

令和6年度 再生医療等実用化基盤整備促進事業 公募説明資料

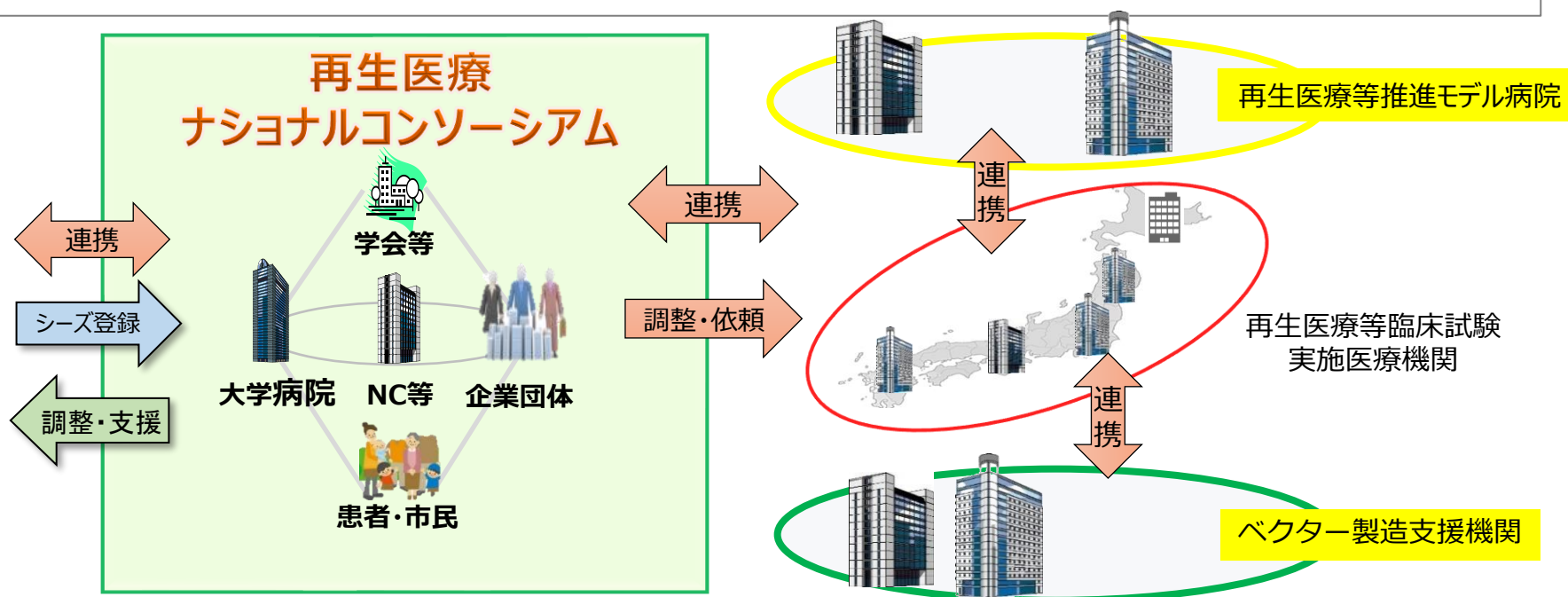
国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（AMED）
再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 再生医療研究開発課

本資料の内容

1. 再生医療等実用化基盤整備促進事業の概要
2. 令和6年度公募の概要
3. 応募資格者
4. 各公募課題の概要
5. 令和6年度公募のスケジュール
6. 応募に必要な提案書類
7. ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式について
8. 提案書類の提出方法
9. お問い合わせ先

1. 再生医療等実用化基盤整備促進事業の概要

再生医療等実用化基盤整備促進事業は、再生医療ナショナルコンソーシアムの構築による臨床研究及び医師主導治験等の計画に対する技術的支援や必要な人材の育成等への支援、再生医療等推進モデル病院の選定による臨床研究及び医師主導治験等の円滑な実施に対する支援、遺伝子治療シーズの国際展開に当たって必要な技術指導等を実施するベクター製造支援機関に対する支援を通して、再生・細胞医療・遺伝子治療研究の効率化、標準化、コストの削減等の基盤整備を図ることを目的とした事業です。



2. 令和6年度公募の概要

令和6年度は、以下の3つの課題を公募します。

#	公募課題	研究開発費の規模 (間接経費を含まず)	研究開発実施 予定期間	新規採択課題 予定数
1	再生医療ナショナルコンソーシアムの充実	1 課題当たり年間 100,000千円 (上限)	最長3年間 令和6～8年度	0～1 課題 程度
2	再生医療等推進モデル病院の充実	1 課題当たり年間 31,000千円 (上限)	最長3年間 令和6～8年度	0～2 課題 程度
3	ベクター製造支援	1 課題当たり年間 82,000千円 (上限)	最長3年間 令和6～8年度	0～1 課題 程度

3. 応募資格者

- 本事業の応募資格者は、以下（１）～（５）の要件を満たす**国内の研究機関等に所属し、かつ、主たる研究場所とすること。**
- また、応募に係る研究開発課題について、**研究開発実施計画の策定や成果の取りまとめなどの責任を担う研究者（研究開発代表者）**とします。

（１）以下の（Ａ）から（Ｈ）までに掲げる研究機関等に所属していること。

- （Ａ） 国の施設等機関
- （Ｂ） 公設試験研究機関
- （Ｃ） 学校教育法に基づく大学及び同附属試験研究機関等（大学共同利用機関法人も含む。）
- （Ｄ） 民間企業の研究開発部門、研究所等
- （Ｅ） 研究を主な事業目的としている一般社団法人、一般財団法人、公益社団法人及び公益財団法人
- （Ｆ） 研究を主な事業目的とする独立行政法人及び地方独立行政法人
- （Ｇ） 非営利共益法人技術研究組合
- （Ｈ） その他AMED理事長が適当と認めるもの

（２） 課題が採択された場合に、課題の遂行に際し、機関の施設及び設備が使用できること。

（３） 課題が採択された場合に、契約手続等の事務を行うことができること。

（４） 課題が採択された場合に、本事業実施により発生する知的財産権（特許、著作権等を含む。）及び研究開発データの取扱いに対して、責任ある対処を行うことができること。

（５） 本事業終了後も、引き続き研究開発を推進し、他の研究機関及び研究者の支援を行うことができること。

4. 各公募課題の概要（公募課題1）

公募課題 1	再生医療ナショナルコンソーシアムの充実
研究開発費	年間100,000千円（上限）
研究開発期間	3年間（令和6～8年度）
公募内容	再生医療ナショナルコンソーシアムにおいて、以下（i）～（v）の項目の実施を支援することにより、円滑な再生医療等の実用化にむけた研究基盤の更なる底上げを目指します。 （ i ） 臨床研究計画等に対する技術的支援と臨床研究に必要な人材教育 （ ii ） 再生医療等の安全性・科学的妥当性を評価する体制の構築 （ iii ） 再生医療等臨床研究の産学連携支援（知的財産取得・管理等支援を含む） （ iv ） 再生医療等に関する患者・市民参画の推進 （ v ） 再生医療等の国際展開を見据えた支援

本課題ではin vivo遺伝子治療への支援は対象外とします。

4. 各公募課題の概要（公募課題1）

公募課題 1	再生医療ナショナルコンソーシアムの充実
採択条件	以下の全ての条件を満たす研究課題を採択します。（採択条件を満たさない研究課題は不採択とします。） • 様々な疾患分野を網羅した再生医療等の専門家等によって構成される支援体制を有すること。 • 関連学会との連絡会・協議会を早期に構築可能な実施体制を有すること。 • 再生医療等に関連する企業団体等と、再生医療等の実用化に向けた協力体制を構築して推進すること。 • 本公募課題 2 として採択される再生医療等推進モデル病院と協力体制を構築して、円滑に事業を推進すること。 • 医薬品医療機器総合機構（PMDA）等と協力体制を構築して、薬機法に基づく再生医療等製品等の開発を目指す医師主導治験等を推進すること。 • 全国の特定認定再生医療等委員会と密接な協力体制を構築して、安確法に基づく再生医療等の臨床研究等を推進すること。 • 年数回程度、再生医療ナショナルコンソーシアムを構成する全ての機関、AMED、PSPO、規制当局等が参加する会議を主催し、連携を行うこと。

このほか、公募要領第3章に記載の研究実施上の留意点を踏まえてください。

4. 各公募課題の概要（公募課題1）

公募課題 1	再生医療ナショナルコンソーシアムの充実
求められる成果	（ i ） 臨床研究計画等に対する技術的支援と臨床研究に必要な人材教育 ➤ 将来的な自走を目指した技術支援料の設定と有償での運用開始 ➤ 令和 8 年度までの3年間で安確法に基づく再生医療の臨床研究及び薬機法に基づく再生医療等製品等の開発を目指す医師主導治験の準備や実行に対する30件以上の支援 ➤ 上記支援により見いだされた課題の解決に向けた提言の取り纏めと研究成果の発表 ➤ 再生医療等従事者のための教育プログラム等の充実及び運用（講習会の開催等） （ ii ） 再生医療等の安全性・科学的妥当性を評価する体制の構築 ➤ 再生医療等の安全性・科学的妥当性を適切に評価する体制の構築及び運用 （ iii ） 再生医療等臨床研究の産学連携支援（知的財産取得・管理等支援を含む） ➤ 再生医療等を開発するアカデミアと企業が交流する産学連携イベント、知財関係セミナー等の定期開催

4. 各公募課題の概要（公募課題1）

公募課題 1	再生医療ナショナルコンソーシアムの充実
求められる成果 (つづき)	(iv) 再生医療等に関する患者・市民参画の推進 ➤ 再生医療等に関する情報共有や対話・議論を目的とした、患者・市民との双方向のコミュニケーションによるエンゲージメント（Engagement）活動※¹と、活動を通じて得られた科学コミュニケーションに関する知見やノウハウの集約と成果の社会還元 ➤ 再生医療等に関する研究への患者・市民参画（PPI：Patient and Public Involvement）の普及に向けた体制の構築※²と、研究開発を通じて得られたPPIに関する知見やノウハウの集約と成果の社会還元 ➤ 再生医療等に関する患者・市民からの問合せに応じる窓口の設置と持続可能な運用体制の構築※³と、各種問合せに関するQ & Aの作成 ※ 1 中高生等を含む幅広い年代を対象とした市民講座や公開シンポジウム等のイベント開催等 ※ 2 再生医療等に関するPPI推進に必要な患者・市民向けの教育研修の提供、研究者向けの教育研修の提供、再生医療等に関するPPIのファシリテート機能、患者・市民と研究者のマッチング機能等 ※ 3 各種医療職や臨床倫理学・臨床心理学等に精通する各種カウンセラー・コンサルタント等の登用も検討する等、窓口対応者として専門人材を確保することを含む (v) 再生医療等の国際展開を見据えた支援 ➤ CGMP(Current Good Manufacturing Practice)基準の構築等、国内シーズの国際的な導出に向けた企画 ➤ 再生医療ナショナルコンソーシアム及び日本発の優れた再生医療等の世界に向けた情報発信と国内シーズの国際展開に向けた企画 ➤ 海外の最新の再生医療等に関する定期的な情報提供

4. 各公募課題の概要（公募課題2）

公募課題2	再生医療等推進モデル病院の充実
研究開発費	年間31,000千円（上限）
研究開発期間	3年間（令和6～8年度）
公募内容	特に高度な技術を要する、臨床研究及び再生医療等製品等の開発を目指す医師主導治験等の支援・受け入れに対応できる「再生医療等臨床研究モデル病院」を選定します。当該医療機関において、(i)～(iv)に記載の臨床研究及び医師主導治験等の支援・受け入れ、細胞培養加工支援、規制対応等を行うことを通じて、再生医療の臨床研究及び医師主導治験を広く普及させることを目的とします。 (i)臨床研究及び医師主導治験等の遂行支援 (ii)細胞培養加工又はベクター製造支援 (iii)規制対応支援 (iv)その他、再生医療等の臨床研究及び医師主導治験等の支援推進に資すること

本課題ではin vivo遺伝子治療への支援も対象とします。

4. 各公募課題の概要（公募課題2）

公募課題 2	再生医療等推進モデル病院の充実
採択条件	以下の全ての条件を満たす研究課題を採択します。なお、複数の医療機関（3機関程度）による相互補完的な共同実施体制も可能とします。 • 医療法に基づく臨床研究中核病院として承認されていること。また、多能性幹細胞（iPS細胞又はES細胞）等を用いた高度な安確法に基づく臨床研究及び薬機法に基づく医師種主導治験を実施可能な機関であり、当該臨床研究または医師主導治験を現在実施中、または今後数年以内に実施する予定があること。 • 自機関に特定認定再生医療等委員会を設置しており、当該委員会において複数の第一種又は第二種再生医療等提供計画の審査実績を有し、今後も、他機関からの審査案件を含め、審査を行う予定となっていること。なお、審査実績について研究開発提案書に記載すること。 • 他機関の臨床研究または医師主導治験等に用いるシーズを自機関に受け入れて実施することが可能な体制を構築できること。また、他機関の臨床研究または医師主導治験等に用いるシーズを受け入れて実施する際に、受け入れた他機関の研究者が主となる手術等が可能であり、それを自機関メンバーがサポートする仕組みを構築できること。すでに体制が整備されており、臨床研究または医師主導治験の受け入れ予定があればなお望ましい。 • 自機関においてGxP（GMP、GCTP 等）等、対応可能な設備・体制を保有していること。また、臨床研究または医師主導治験等の受け入れ時には、細胞調整等の支援や受け入れた研究者に対する当該設備・体制の使用が許可できること。

4. 各公募課題の概要（公募課題2）

公募課題 2	再生医療等推進モデル病院の充実
採択条件 (つづき)	• 多施設での疾患レジストリを構築している等、被験者候補の検索が可能なシステムを有すること。 • 個々の研究課題に係るデータマネジメントが可能な体制を有していること。 • 再生・細胞医療については、本公募課題1において採択される再生医療ナショナルコンソーシアムと協力して、円滑に事業を推進すること。 • in vivo遺伝子治療については、厚生労働省が実施する予定の遺伝子治療実用化基盤整備促進事業と協力して、円滑に事業を推進すること。

このほか、公募要領第3章に記載の研究実施上の留意点を踏まえてください。

4. 各公募課題の概要（公募課題2）

公募課題 2	再生医療等推進モデル病院の充実
求められる成果	(i)臨床研究及び医師主導治験等の遂行支援 ➤ ・外部機関の臨床研究または医師主導治験等の受け入れ 2 件以上 (ii)細胞培養加工又はベクター製造支援 ➤ ・外部機関からの細胞培養、細胞調整、ベクター製造等の請負2件以上 (iii)規制対応支援 ➤ ・再生医療等臨床研究提供計画、治験届、各種基準書等の作成請負2件以上 ➤ ・PMDAの事前面談及び対面助言等への対応支援2件以上 (iv)その他、再生医療等の臨床研究及び医師主導治験等の支援推進に資すること ➤ ・広報活動等による外部シーズ受け入れの促進 ➤ ・臨床研究及び医師主導治験等受け入れに必要な体制や設備等に関する検討結果等の報告書の公表 ➤ ・得られた知見を他医療機関等に展開することによる再生医療等の臨床研究及び医師主導治験の普及

4. 各公募課題の概要（公募課題3）

公募課題3	ベクター製造支援
研究開発費	年間82,000千円（上限）
研究開発期間	3年間（令和6～8年度）
公募内容	既にGxP（GMP、GCTP）等に対応可能な設備・体制を有する機関（アカデミア及びアカデミア発ベンチャー等の民間機関）に対して、in vivo遺伝子治療の非臨床安全性試験やFirst in Human（FIH）試験で使用するための高い品質を有するベクターの製造設備・提供体制の構築を支援します。ベクターは主としてウイルスベクターを対象としますが、非ウイルスベクターについても対象とします。当該機関において下記（i）～（iii）を実施することで、国際展開を見据えたベクターの品質確保等を目指し、遺伝子治療の実用化促進を図ります。 （i）アカデミアの研究規模を踏まえた費用で少量・高品質の非臨床安全性試験やFIH試験用 GMP/GCTP グレードでのウイルスベクター等を製造するために必要な環境整備 （ii）アカデミア等から依頼のあった非臨床安全性試験やFIH試験用 GMP/GCTP グレードでのウイルスベクター等の製造・提供 （iii）その他、in vivo遺伝子治療の支援推進に資すること

4. 各公募課題の概要（公募課題3）

公募課題 3	ベクター製造支援
採択条件	以下の全ての条件を満たす研究課題を採択します。 • アカデミアの研究規模を踏まえたベクター提供価格が設定されていること（事業期間内は実費相当の価格帯とすること）。 • ウイルスベクター等の製造管理及び品質管理の手法が構築された製造設備を日本国内に有し、国内で製造すること。 • ウイルスベクター等の製造・品質管理技術に関する人材を有すること。 • 遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（カルタヘナ法）の第一種使用等または第二種使用等への申請・承認に係る対応を実施していること。 • 厚生労働省が実施する予定の遺伝子治療実用化基盤整備促進事業が主催する会議に参加する等、緊密な協力体制を構築して、円滑に事業を推進すること。

このほか、公募要領第3章に記載の研究実施上の留意点を踏まえてください。

4. 各公募課題の概要（公募課題3）

公募課題 3	ベクター製造支援
求められる成果	(i) 環境整備 ➤ 令和7年度上期までにGMP/GCTP グレードによるベクター等の製造ができる環境整備の完了 ➤ 国際展開を見据えたベクターの品質確保等に向けた環境整備に関して、留意すべき課題の抽出と取り纏め及び公表 (ii) 製造・提供 ➤ 令和8年度末までの3年間で、in vivo遺伝子治療におけるGMP/GCTP グレードのベクター製造を1製品以上受託 ➤ 国際展開を見据えたベクターの品質確保等に向けた製造や提供に関して、留意すべき課題の抽出と取り纏め及び公表 (iii) その他、in vivo遺伝子治療の支援推進に資すること ➤ GMP/GCTP グレードのベクター製造における日本の技術力向上に資する提言や、研究成果の発表等 ➤ 外部機関からのベクター製造依頼を促進するような広報活動の実施

5. 令和6年度公募のスケジュール

	公募期間	令和5年10月3日（火）～ 令和5年11月1日（水） 正午12:00（厳守）
	書面審査※	令和5年11月上旬～ 令和5年11月下旬（予定）
	ヒアリング審査※	令和6年1月中旬（予定）
	採択可否の通知	令和6年2月中旬（予定）
	研究開発開始 （契約締結）	令和6年4月1日（予定）

※審査は公募要領第4章の審査項目と観点に沿って実施します。

6. 応募に必要な提案書類

(1) 全公募研究開発課題で共通して必要な提案書類

No.	必須/任意	必要な提案書類	備考
1	必須	(様式1) 研究開発提案書	別紙を含めて記載漏れがないように注意してください。
2	該当する場合は必須	(別添1) ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式	ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合
3	必須	(別添2) 直接経費の内訳	

- (注1) 別紙1～別紙6は、(様式1) 研究開発提案書に雛形が付いていますので、注意事項に従って記載してください。
- (注2) 公募要領 第3章に記載の研究開発提案書作成上の留意点にも注意して記載してください。
- (注3) 提出書類に不備がある場合は、不受理となる場合があります。
- (注4) ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合で、(別添1) ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式の提出がない場合は、不受理とします。

7. ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式について

公募要領 第2章 2.2.6

研究開発計画においてヒトの全ゲノムシーケンス解析（注1）を実施するにあたっては、その解析に用いるプロトコール情報の提出を必須とします。

（注1）全ゲノムシーケンス解析

- ここでは、次世代シーケンサーを利用した全ゲノムシーケンス解析及び全エクソーム解析を指します。
- 次世代シーケンサーを用いる解析のうち、全ゲノムまたは全エクソーム以外を対象とするゲノム解析や、アレイ解析、サンガー法によるシーケンス解析は含みません。
- 生体試料からVCFデータを得るまでのプロセスを指します。

公募要領 第2章 2.2.6（つづき）

ヒト全ゲノムシーケンス解析のプロトコールについては、特に下記の項目について明記することが求められます。

- ライブラリー作成（キット名、断片長等）
- シーケンス反応（キット名、リード長等）
- 解析装置の機種名（機種名・型番等。外注の場合は外注先も記入）
- クオリティコントロール（QC）の方法
- リファレンスゲノムとのマッピング及びアセンブルの方法

※ ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合で、ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式の提出がない場合は、「不受理」となり、審査の対象となりません。

※ 詳細については、必ず公募要領を確認してください。

8. 提案書類の提出方法

- 提案書類は、受付期間内にe-Radにて提出してください。
- 提出書類受付の締め切り直前は、アクセス集中のため不具合が発生する場合があります。期限に余裕を持って提出してください。
- 受付期間内に提出が完了していない場合は応募を受理しません。

提案書類の受付締め切り

令和5年11月1日（水） 正午12:00（厳守）

9. お問い合わせ先

**本事業の公募内容に関するご質問は、
以下のメールアドレスまでお願いします。**

E-mail: saisei3"AT"amed.go.jp

アドレス"AT"の部分を@に変えてください

- ※ お問い合わせの受付は、E-mailのみとさせていただきます。
メールのタイトルに、「公募に関する問合せ」と明記してください。