



# 再生医療実現拠点ネットワークプログラム 令和4年度新規公募について

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題
2. 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム

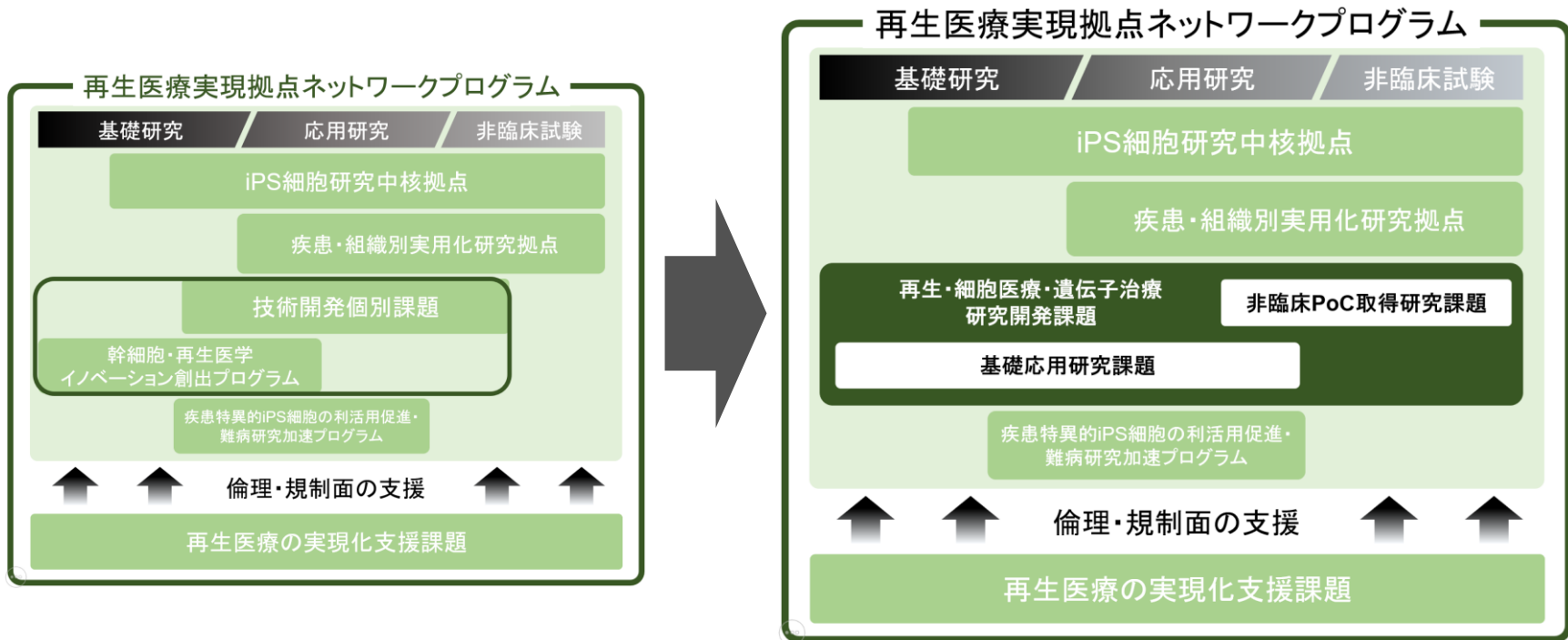
令和4年3月8日

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

# 1. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題 (再生医療実現拠点ネットワークプログラム全体における位置付け)



【現行：平成29年度～実施中】

【本公募：令和4年度】

- 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」のうち、「技術開発個別課題」、「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」を再編し、再生・細胞医療・遺伝子治療の基礎・応用から非臨床PoC取得段階までを対象として、持続的に臨床研究・治験段階に進展するシーズを育成。
- 特に、異分野の研究者とのコラボレーションや、本分野の研究者を糾合した最適なチーム構成による研究開発を推進。
- 「基礎応用研究課題」では将来的な再生・細胞医療・遺伝子治療の実現及びそれらに係る基盤技術の開発を目指す基礎研究・応用研究を推進。
- 「非臨床PoC取得研究課題」ではチーム型の研究開発体制により総合力を発揮させることで、既に基礎的な研究実績があるシーズについて非臨床PoCの確立を実施。

# 1. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題 (「基礎応用」及び「非臨床PoC取得」の概要及び目標)

## 基礎応用研究課題

### 【概要】

- 将来的な再生・細胞医療・遺伝子治療の実現及び関係基盤技術の開発を目指す基礎研究・応用研究を支援。
- 多様な優れた研究シーズを支援し、本分野の裾野を広げるとともに、科学的根拠の裏付けをもって臨床研究・治験に活用される幅広い研究シーズの育成につなげる。
- これまでに実施した臨床研究・治験から作用機序の解明等の基礎的な研究に立ち戻り、新たな基礎研究・応用研究を行うリバーシブル・トランスレーショナル・リサーチ(rTR)も支援。
- 研究の継続的な発展には、人材の育成が必要であることから、若手研究者に対する支援も併せて実施。

### 【目標】

- 将来的な再生・細胞医療・遺伝子治療の実現を目指した研究開発において、研究開発代表者が基礎から応用の段階で達成目標を設定し、革新的・独創的な発想に基づく国際的競争力の高い研究成果を出すことを目標とする。

## 非臨床PoC取得研究課題

### 【概要】

- チーム型の研究開発体制により総合力を発揮させることで、既に基礎的な研究実績があるシーズの非臨床PoCを確立するトランスレーショナル・リサーチ(TR)や、これまでに実施した臨床研究・治験から作用機序の解明等の基礎的な研究に立ち戻ることによって新たな非臨床PoCを確立するリバーシブル・トランスレーショナル・リサーチ(rTR)を支援。

### 【目標】

- 再生・細胞医療・遺伝子治療に関する臨床研究や治験の実施に向けた研究シーズについて、事業終了年度末までに、科学的根拠の裏付けをもって堅牢性のある非臨床PoCを確立することを目標とする。

# 1. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題

(研究開発費の規模／研究開発期間／採択課題予定数等)



	分野等、公募研究開発課題	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	基礎応用研究課題 (個別型・一般)	1課題当たり年間 25,000千円以下	最長3年 令和4年度 ～令和6年度	0～3課題程度
2	基礎応用研究課題 (個別型・若手)	1課題当たり年間 20,000千円以下	最長3年 令和4年度 ～令和6年度	0～7課題程度
3	基礎応用研究課題 (チーム型)	1課題当たり年間 50,000千円以下	最長3年 令和4年度 ～令和6年度	0～3課題程度
4	非臨床PoC取得研究課題 (チーム型)	1課題当たり年間 85,000千円以下	最長5年 令和4年度 ～令和8年度	0～3課題程度

# 1. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題 (主要なスケジュール)

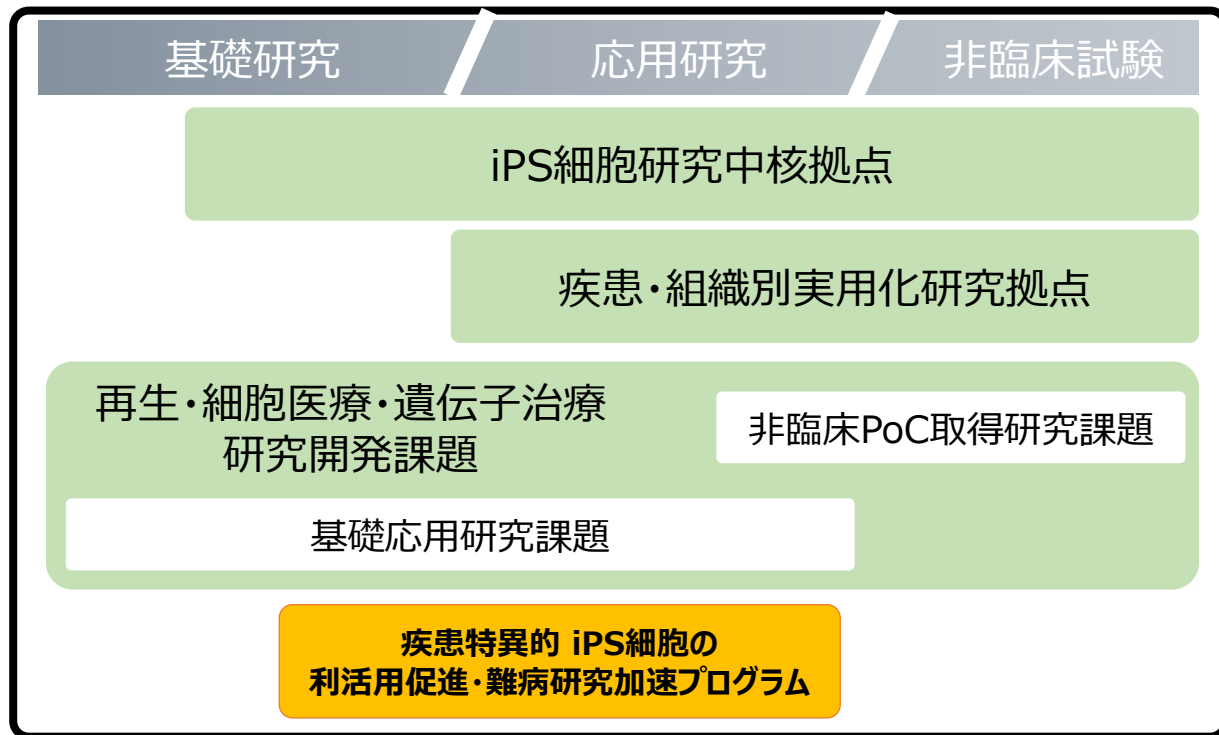
提案書類受付期間	令和4年1月17日～令和4年2月24日【正午】
書面審査	基礎応用 : 令和4年3月上旬～令和4年4月上旬 非臨床PoC取得 : 令和4年3月上旬～令和4年3月下旬
ヒアリング審査	基礎応用 : 令和4年5月9日、10日、12日、17日 非臨床PoC取得 : 令和4年4月19日、20日
採択可否の通知	基礎応用 : 令和4年6月中旬 非臨床PoC取得 : 令和4年5月下旬
研究開発開始（契約締結等）日	基礎応用 : 令和4年7月下旬 非臨床PoC取得 : 令和4年7月上旬

※スケジュールは予定であり変わりうる。

## 2. 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム (全体における位置付け／事業全体の目標及び概要)



### 再生医療実現拠点ネットワークプログラム



### 疾患特異的 iPS細胞の 利活用促進・難病研究加速プログラム

【目標】  
疾患特異的iPS細胞を用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等をさらに加速させるとともにiPS細胞の利活用を促進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを旨とする。

【概要】  
疾患特異的iPS細胞を用いた  
・病態解明、創薬や予防・治療薬の開発促進、  
・iPS細胞技術の普及と支援によるヒトiPS細胞に関する情報共有のプラットフォームの創設、  
・分化誘導法に関する開発&検証を促進し、iPS細胞利活用の環境整備等。

倫理・規制面の支援

再生医療の実現化支援課題

## 2. 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム (プログラム全体における位置付け／事業全体の目標及び趣旨)

### ① 研究拠点Ⅰ (H29～R4)

- 疾患特異的iPS細胞の樹立、目的細胞への分化誘導、創薬に向けた難病等の病態解明
- 企業と連携した創薬スクリーニング系の確立等

### ② 研究拠点Ⅲ (R2～4)

- 疾患特異的iPS細胞の樹立、目的細胞への分化誘導、創薬に向けた難病等の病態解明

### ③ ロバストな分化誘導法開発課題 (R2～4)

- 様々なiPS細胞株やクローンで適用可能で、培養環境や手技による影響が小さい分化誘導法の開発

### ④ 病態解明課題 (R3～5)

- 疾患特異的iPS細胞を活用した難病等の病態解明

### ⑤ 研究者マッチング・共同研究促進課題 (R2～4)

- 疾患研究者とiPS細胞研究者との最適なマッチング
- iPS細胞を活用した、共同研究による疾患研究の促進

### ⑥ ヒトiPS細胞バンク充実課題 (R2～4)

- バンクに寄託されたiPS細胞が多くの研究者や企業に活用される環境を整備



### 新規公募課題 (R4～6)

- ⑦ 難病等疾患特異的iPS細胞の樹立・バンク拡充課題
- ⑧ 疾患付随情報充実バンク課題

- iPS細胞技術の普及・支援
- iPS細胞を用いた疾患研究の推進
- 治療薬の創出促進

## 2. 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム (各新規公募課題の目標及び趣旨)

### 難病等疾患特異的iPS細胞の樹立・バンク拡充課題

#### 【概要】

- これまで理研 BRC に寄託した主に指定難病を中心とした疾患特異的iPS細胞に加え、新たな指定難病の疾患特異的 iPS細胞の寄託や、これまで寄託された 疾患特異的iPS細胞の症例数の増加を図り、疾患特異的 iPS細胞の利活用促進に資する。

[必須条件] 対象疾患の特異的iPS細胞を樹立できる技術が確立している機関の参加

[対象疾患] 主に指定難病を中心とし、アカデミア・企業の要望調査等で決定

- ・現在BRCに寄託されていない指定難病等
- ・すでに寄託されているが症例数の少ない指定難病等

[症例数] 対象疾患の研究に活用できる症例数を目標と定め、その根拠を明示

[付随情報] 病歴や確定診断の元になる疾患情報を含む基本的な患者情報  
及び品質管理内容を理研BRCに提供

#### 【目標】

- 理研 BRCバンクと連携して 理研 BRCバンクの疾患特異的 iPS細胞の利活用促進に繋げること。
- 1年間に50症例程度の疾患特異的iPS細胞の樹立・寄託。



## 2. 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム (各新規公募課題の目標及び趣旨)

### 疾患付随情報充実バンク課題

#### 【概要】

- 特定の疾患や対象領域に特化し、症例数や付随情報が特に充実した疾患特異的iPS細胞バンクを構築することを通じて、理研BRCバンクの利用頻度の向上を図り、iPS細胞研究の裾野拡大及び疾患特異的iPS細胞を用いた疾患研究・創薬の更なる加速に資する。

[必須条件] 対象疾患の特異的iPS細胞を樹立できる技術が確立している機関が参加  
疾患研究も計画する場合は、目的細胞への分化誘導技術を有すること

[対象疾患] アカデミア・企業等の要望を調査し結果を反映して決定

(推奨) 成果として疾患の分類や疾患概念の整理につながる疾患

(推奨) 本事業で層別化やバイオマーカーの確立を目標できる疾患

(推奨) ヒトiPS細胞を使うことで病態モデルや疾患モデルの作成が可能となる疾患

[症例数] 疾患特性や遺伝的背景に応じて広く疾患研究に活用できるような症例を収集し、その根拠を明示

[付随情報] 疾患情報、全ゲノム情報、分化誘導法、家系情報等。多因性疾患や慢性疾患は病歴を定期的に更新

#### 【目標】

- 特定の疾患や対象領域に特化し、症例数や付随情報を特に充実した細胞バンクを構築。
  - ・対象疾患の患者リクルート数、疾患特異的iPS細胞の樹立・寄託数
  - ・患者情報や付随情報の具体的内容
  - ・病態解明研究を行う場合は、研究目標とマイルストーン、知的財産の出願数

## 2. 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム (研究開発費の規模／研究開発期間／採択課題予定数／スケジュール等)

	公募研究開発課題	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	難病等疾患特異的 iPS細胞の樹立・ バンク拡充課題	1課題当たり年間 50,000千円程度	最長3年 令和4年度～ 令和6年度	0～1課題 程度
2	疾患付随情報充実 バンク課題	1課題当たり年間 40,000千円程度※	最長3年 令和4年度～ 令和6年度	0～3課題 程度

※新たな全ゲノムデータなどの取得に際しては、15,000千円程度（間接経費含む）の追加支援を行うことがある。

審査等項目	スケジュール（予定）
提案書類受付期間	令和3年12月28日～令和4年2月14日【正午】
書面審査	令和4年2月中旬～令和4年2月下旬
ヒアリング審査	令和4年3月24日
採択可否の通知	令和4年4月中旬
研究開発開始（契約締結等）	令和4年5月中旬

※スケジュールは予定であり変わりうる。 9

# 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 事業概要

基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した研究開発の支援を行うとともに、再生・細胞医療・遺伝子治療に係る事業のための基盤整備、並びにiPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援等を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。

文科省  
厚労省  
経産省

基礎・応用研究

非臨床試験

臨床研究・治験

再生医療等製品の実現化

### ■ 再生医療実現拠点ネットワークプログラム

- iPS 細胞研究中核拠点
- 疾患・組織別実用化研究拠点（拠点A、拠点B、拠点C）
- 技術開発個別課題
- **再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題**
- 再生医療の実用化支援
- 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム

- 難治性疾患実用化研究事業
- 革新的がん医療実用化研究事業

- 再生医療実用化研究事業
- 再生医療実用化基盤整備促進事業

### ■ 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業

- 再生・細胞医療・遺伝子治療 産業化促進事業
- QbDに基づく再生医療等製品製造の基盤開発事業
- 再生医療等製品用ヒト（同種）体性幹細胞原料の安定供給促進事業
- 遺伝子治療製造技術開発

再生医療の実用化（市販・医療への普及等）

創薬等への活用

### ■ 再生医療実現拠点ネットワークプログラム

- **疾患特異的 iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム**
- 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム
- 再生医療の実用化支援

- 再生医療実用化研究事業

### ■ 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業

- 再生医療技術を応用した高度な創薬支援ツール技術開発