



# 公 募 要 領

創薬支援推進事業  
(希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業)

平成 27 年 11 月

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

創薬支援戦略部

## 目次

I. はじめに	4
1. 創薬支援推進事業－希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業－について	4
(1) 目的	4
(2) 概要	4
(3) 交付対象者	4
(4) 対象となる経費	4
(5) 対象金額	4
(6) 補助期間	5
(7) 採択予定件数	5
II. 募集対象となる研究開発品目の概要等	5
1. 募集対象となる開発品目	5
2. 課題の採択条件	5
(1) 選定の概要	5
(2) 申請書類の提出	5
(3) 選定結果の通知	5
III. 応募に関する諸条件等	5
1. 応募資格者	5
2. 応募に当たっての留意事項	6
(1) 応募資格を有する者	6
(2) 開発計画策定に当たっての研究倫理に関する留意点について	6
(3) 不正使用等及び研究不正への対応について	7
IV. 公募・選考の実施方法	9
1. 申請書類の受付等	9
(1) 申請書類様式の入手方法	9
(2) 申請書類の様式	9
(3) 郵送による提出	9
(4) 申請書類受付期間	10
(5) スケジュール等	10
(6) 公表等	10
2. 申請書類の選考の実施方法	10
(1) 審査方法	10
(2) 審査項目と観点	11
V. 提出書類の作成と注意	11
1. 申請書類の取扱い	11
2. 申請に当たっての注意事項	11
(1) 申請に対する機関の承認	11
(2) 対象外となる申請について	12

VI. 交付の申請手続き及び交付決定等	12
1. 交付の申請手続き及び交付決定について	12
2. 補助金の範囲及び額の確定等	12
(1) 補助金の範囲	12
(2) 開発経費の計上	12
(3) 補助金の支払い	12
3. 採択された企業等に求める要件	13
(1) 補助金の公正かつ適正な執行	13
(2) 研究倫理教育プログラムの履修・終了	13
(3)	13
確認書の提出	13
VII. 採択課題の管理と評価	13
1. 管理	13
2. 評価	13
3. 進捗評価の実施方法	13
VIII. 成果の取扱い	13
1. 成果報告書の提出	14
IX. 納付金	14
1. 納付金額	14
2. 納付金の徴収開始時期及び徴収期間	14
3. 資料提出	14
4. 納付金の納付期限	14
X. その他	14
1. 採択の取消し等	14
2. 報告義務	14
3. 個人情報の取扱い	15
XI. 照会先	15

## I. はじめに

本事業は、平成 27 年 4 月 1 日に設立された「国立研究開発法人日本医療研究開発機構」（以下「AMED」という。）によって実施される創薬支援推進事業における取組です。

### 1. 創薬支援推進事業－希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業－について

#### (1) 目的

希少疾病用医薬品については、厚生労働大臣による指定後において様々な支援制度が設けられている一方で、指定前の段階においても、製剤開発、非臨床試験から早期の治験に至るまでの幅広い開発が求められているにもかかわらず、現状では、このような指定前における医薬品開発を推進する仕組みが存在せず製薬企業等における研究開発が進みにくい傾向にあります。

このようなことを踏まえ、本事業は、希少疾病用医薬品の製造販売承認取得を目指す研究開発型企業等（以下「企業等」という。）による開発を進めるため、その環境を整備し、迅速かつ効果的に希少疾病用医薬品としての実用化を可能にすることを目的とします。

ただし、本事業での採択は、厚生労働大臣による希少疾病用医薬品の指定を保証するものではありません。

#### (2) 概要

本事業では、希少疾病用医薬品の製造販売承認取得を目指す企業等におけるヒト初回投与試験実施前及びヒト初回投与試験以降の開発を推進するため、その環境整備の一環として、一定の開発費用を補助します。申請された開発品目については、外部有識者による創薬支援推進事業「希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業」課題評価委員会（以下「評価委員会」という。）が評価を行い、その評価結果に基づき採択課題を決定します。

採択後、AMED が別に定める様式により補助金交付申請書を AMED の指示する時期までに提出いただきます。AMED が当該申請書の内容を審査し、補助金を交付すべきものと認めたとときに交付決定を行うこととします。なお、補助にあたっては、AMED 創薬支援戦略部により進捗管理を実施します。

#### (3) 交付対象者

本事業では、希少疾病用医薬品として製造販売承認取得を目指す開発品目を有する企業等を対象とします。開発品目ごとに採択を行うため、同一企業等が複数の開発品目について申請できます。

ただし、複数社にて共同開発する品目の場合、共同申請、企業別の単独申請のいずれも可能ですが、同一品目に対して複数の採択は行いません。

#### (4) 対象となる経費

交付対象となる経費は、希少疾病用医薬品の製造販売承認取得を目指すために必要と考えられる開発の遂行に係る経費です（VI. 2 参照）。

品質試験、非臨床試験、臨床試験などのデータ取得を目的とした試験以外に、治験薬製造費、独立行政法人医薬品医療機器総合機構の対面助言の手数料も対象としますが、承認申請及び審査に関わる費用は対象としません。海外で実施する開発も対象となりますが、対象となる開発品目は国内外を問わず申請者が直接契約するものに限られます。ただし、対象となる経費は、企業等が直接的に開発に要する費用のみとし、かつ、本邦における製造販売承認取得に向けて必要と考えられるものに限られます。

また、既に上市された医薬品の効能追加のための研究開発費も対象とします。

なお、契約年度内であって、医薬品候補物質が特定された日以降における当該物質に係る研究開発経費のみが、経費の算定対象となります。

#### (5) 対象金額

計上可能な対象経費の上限値は 1 品目当たり 2 億円とし、交付対象となる経費をもとに補助金の額を決定します。最終的な交付決定額は、実施内容を確認した上で決定することとします。また、補助金額は、

毎年度、変更する場合があります。

#### (6) 補助期間

補助期間は、原則 3 事業年度とします。ただし、厚生労働大臣から希少疾病用医薬品の指定が行われた場合、開発を中止した場合、若しくは「補助事業事務処理説明書」に定められた中止事由等が発生した場合は、指定日又は中止を決定した日までの補助対象となります。希少疾病用医薬品の指定を受けずに製造販売承認申請を行った場合には、申請を行った事業年度の末日までの補助対象となります。

なお、AMED では毎年 4 月から翌年 3 月までを事業年度としており、この事業年度に沿って対応いただきます。

#### (7) 採択予定件数

テーマ①：ヒト初回投与試験実施前 10 件程度

テーマ②：ヒト初回投与試験以降 5 件程度

## II. 募集対象となる開発品目の概要等

### 1. 募集対象となる開発品目

希少疾病用医薬品として製造販売承認取得を目指す開発品目（医薬品候補物質が特定されたものに限る）

### 2. 課題の採択条件

#### (1) 選定の概要

申請された開発品目は、AMED で申請書類の内容を精査した後、評価委員会委員による評価が行われます。評価委員会では、開発品目の内容を書面審査、ヒアリング審査等により評価のうえ、採択候補となる開発品目を決定し、AMED に提言します。

AMED では、この提言を踏まえて、企業等の研究実施体制等を確認したうえで、最終的に開発品目の採択を決定します。

#### (2) 申請書類の提出

開発品目の書面審査及びヒアリング審査は、提出された申請書類に基づいて行います。また、書面審査の前に、申請開発品目について、守秘義務を課した第三者による希少疾病に係る状況等の調査を実施した上で評価委員会の評価を実施いたします。

なお、必要に応じて追加資料の提出を求めることがあります。また、申請書類は採択、不採択に係る評価以外の目的には使用せず、申請内容について、正当な理由なく、他者に漏洩することはありません。なお、申請書類については返却しません。

#### (3) 選定結果の通知

採択の可否については、あらかじめ提出いただく採択結果通知用封筒にてお知らせいたします。

## III. 応募に関する諸条件等

本事業は、次の条件を満たす企業等が応募できます。

### 1. 応募資格者

(1) 予算決算及び会計令（昭和 22 年勅令第 165 号）第 70 条の規定に該当しない者であること。なお、未成年者、被保佐人又は被補助人であっても、契約締結のために必要な同意を得ている者は、同条の「特別の理由がある場合」に該当する。

(2) 予算決算及び会計令第 71 条の規定に該当しない者であること。

(3) 厚生労働省や他府省等から業務等に関し指名停止を受けている期間中の者でないこと。

(4) 経営状況、信用度が極度に悪化していないこと。

- (5) 資格審査申請書等に虚偽の事実を記載していないこと。
- (6) 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。
- (7) 本事業終了後も、引き続き研究開発を推進できる機関であること。なお、履行能力を確認するため、審査時に、企業等の営む主な事業内容、資産及び負債等財務に関する資料等の提出を求めることがある。
- (8) 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号）第 12 条第 1 項の医薬品の製造販売業の許可を有していること。ただし、医薬品の研究開発についての十分な知識、経験、実績等を有している場合はこの限りでない。
- (9) 希少疾病用医薬品として製造販売承認取得を目指す開発品目を有する企業等であること。

## 2. 応募に当たっての留意事項

### (1) 応募資格を有する者等

- ① 応募資格を有する者は、希少疾病用医薬品として製造販売承認取得を目指す開発品目を有する企業等の代表権者（以下「企業等代表権者」という。）とします。なお、応募にあたっては、応募に係る窓口となる開発担当者を併せて記載してください。
- ② 本応募に関連する課題が AMED の他の事業で採択されている場合、申請中である場合、又は同年度に応募を検討している場合には、事前に AMED に相談すること。

### (2) 開発計画策定に当たっての研究倫理に関する留意点について

法律、各府省が定める以下の省令・倫理指針等を遵守してください。これらの法律・省令・指針等の遵守状況について調査を行うことがありますので、予めご了解ください。また、これらの法令等に違反して本事業に係る研究開発を実施した場合は、補助金の交付決定の取消し、返還等を求めることがあるほか、一定期間当該研究者が加わる研究に対して委託研究の契約や研究補助金の交付をしないことがあります。

- 1) ヒトに関するクローン技術等の規制に関する法律（平成 12 年法律第 146 号）
- 2) 感染症の予防及び感染症の患者に対する医療に関する法律（平成 18 年法律第 106 号）
- 3) 遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物多様性の確保に関する法律（平成 15 年法律第 97 号）
- 4) 再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号）
- 5) 特定胚の取扱いに関する指針（平成 13 年文部科学省告示第 173 号）
- 6) ヒト ES 細胞の樹立に関する指針（平成 26 年文部科学省・厚生労働省告示第 2 号）
- 7) ヒト ES 細胞の分配及び使用に関する指針（平成 26 年文部科学省告示第 174 号）
- 8) ヒト iPS 細胞又はヒト組織幹細胞からの生殖細胞の作成を行う研究に関する指針」（平成 22 年文部科学省告示 88 号）
- 9) ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針（平成 25 年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第 1 号）
- 10) 医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 9 年厚生省令第 28 号）
- 11) 医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 17 年厚生労働省令第 36 号）
- 12) 再生医療等製品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 26 年厚生労働省第 89 号）
- 13) 手術等で摘出されたヒト組織を用いた研究開発の在り方について（平成 10 年厚生科学審議会答申）
- 14) 人を対象とする医学系研究に関する倫理指針（平成 26 年度文部科学省・厚生労働省告示第 3 号 平成 27 年 4 月 1 日施行）
- 15) 遺伝子治療臨床研究に関する指針（平成 16 年文部科学省・厚生労働省告示第 2 号）
- 16) ヒト受精胚の作成を行う生殖補助医療研究に関する倫理指針（平成 22 年文部科学省・厚生労働省告示第 2 号）
- 17) 研究機関等における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年文部科学省告示第 71 号）、厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年 6 月 1 日付厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知）又は農林水産省の所管する研究機関等における動物実

(3) 不正使用等及び研究不正への対応について

① 不正使用・不正受給に対する措置の法的根拠

本事業において、補助金の不正使用・不正受給があった場合、「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」（平成 26 年 3 月 31 日 厚生労働省大臣官房厚生科学課長決定）及び AMED の「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」に基づき、研究機関及び研究者に対して、措置を行います。

「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」

（平成 26 年 3 月 31 日 厚生労働省大臣官房厚生科学課長決定）

[http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10600000-](http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10600000-Daijinkanboukouseikagakuka/0000043065.pdf)

[Daijinkanboukouseikagakuka/0000043065.pdf](http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10600000-Daijinkanboukouseikagakuka/0000043065.pdf)

AMED の「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」

[http://www.amed.go.jp/content/files/jp/kenkyukousei/amed\\_kenkyufuseikisoku.pdf](http://www.amed.go.jp/content/files/jp/kenkyukousei/amed_kenkyufuseikisoku.pdf)

② 不正使用・不正受給が認められた場合の措置

(a) 契約の解除等の措置

AMED は、補助金の不正使用・不正受給が認められた課題について、企業等に対し、開発の中止、補助金の全部又は一部の返還を求めます。また、次年度以降の契約についても締結しないことがあります。

(b) 応募及び参加の制限等の措置

本事業において 不正使用・不正受給を行った研究者及びそれに関与又は責任を負うと認定された研究者等に対し、不正の程度に応じて下記の表のとおり、AMED の事業への応募及び参加の制限措置等をとります。

補助金等の使用の内容等	相当と認められる期間
1 補助金等の不正使用の程度が、社会への影響が小さく、且つ行為の悪質性も低いと判断されるもの	1 年
2 補助金等の不正使用の程度が、社会への影響が大きく、且つ行為の悪質性も高いと判断されるもの	5 年
3 1 及び 2 以外で、社会への影響及び行為の悪質性を勘案して判断されるもの	2～4 年
4 1 から 3 にかかわらず、個人の経済的利益を得るために使用した場合	10 年
5 偽りその他不正の手段により研究活動の対象課題として採択される場合	5 年
6 補助金等の不正使用に直接関与していないが、善管注意義務に違反して使用を行ったと判断される場合	1～2 年

※ 以下の場合、応募申請の制限を科さず、嚴重注意を通知する。

- ・ 1～4 において、社会への影響が小さく、行為の悪質性も低いと判断され、かつ不正使用額が少額な場合
- ・ 6 において、社会への影響が小さく、行為の悪質性も低いと判断された研究者に対して、善管注意義務を怠った場合

また、本事業において、不正使用・不正受給が認定され、応募及び参加制限措置が講じられた場合、関係府省及び関係府省所管の独立行政法人が配分する競争的資金制度等の担当に情報提供すること

により、関係府省の研究資金制度において、同様に、応募及び参加が制限される場合があります。

(c) 他の研究資金制度で応募及び参加の制限が行われた研究者に対する措置

本事業以外の国又は独立行政法人等が所掌する、原資の全部又は一部が国費である研究資金制度において、研究活動における不正使用・不正受給により応募及び参加の制限が行われた研究者については、その期間中、本事業への応募及び参加資格を制限します。

(d) 不正事案の公表

本事業において、上記(a)及び(b)の措置を実施するときは、本事業の財源に応じて対象となるガイドラインに従い、当該措置の内容等を公表することがあります。

③ AMEDの「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」等の遵守

企業等は、本事業への応募及び研究活動の実施に当たり「厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」(平成27年1月16日科発0116第1号厚生科学課長決定)及びAMEDの「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」等を遵守することが求められます。

④ 不正行為に対する措置の法的根拠

本事業において、研究活動における不正行為(捏造、改ざん、盗用)があった場合、「厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」(平成27年1月16日科発0116第1号厚生科学課長決定)及びAMEDの「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」に基づき、措置を行います。

「厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」

(平成27年1月16日 科発0116第1号厚生科学課長決定)

<http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10600000-Daijinkanboukouseikagakuka/husei2.pdf>

AMEDの「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」

[http://www.amed.go.jp/content/files/jp/kenyukousei/amed\\_kenyufuseikisoku.pdf](http://www.amed.go.jp/content/files/jp/kenyukousei/amed_kenyufuseikisoku.pdf)

⑤ 研究活動において不正行為が認められた場合の措置

(a) 契約の解除等の措置

AMEDは、不正行為が認められた課題について、企業等に対し、開発の中止、補助金の全部又は一部の返還を求めます。また、次年度以降の契約についても締結しないことがあります。

(b) 応募及び参加の制限等の措置

本事業において、不正行為を行った研究者及びそれに関与及び責任を負うと認定された研究者等に対し、不正の程度に応じて下記の表のとおり、AMEDの事業への応募及び参加の制限措置等をとります。

不正行為への関与による区分		不正行為の程度		相当と認められる期間	
不正行為に関	1	研究の当初から不正行為を行うことを意図していた場合など、特に悪質な者		10年	
	2	不正行為があった研究に係る論文等の著者	当該論文等の責任を負う著者(監修責任者、代表執筆者又はこれらのものと同等の責任を負うものと認	当該分野の研究の進展への影響や社会的影響が大きく、又は行為の悪質性が高いと判断されるもの	5~7年
				当該分野の研究の進展への影響や社会的影響が小さく、又は行為の悪質性が	3~5年

与 し た 者	定されたもの)	低いと判断されるもの	
	上記以外の著者		2～3年
	3 1及び2を除く不正行為に関与した者		2～3年
	不正行為に関与していないものの、不正行為のあった研究に係る論文等の責任を負う著者（監修責任者、代表執筆者又はこれらの者と同等の責任を負うと認定された者）	当該分野の研究の進展への影響や社会的影響が大きく、又は行為の悪質性が高いと判断されるもの	2～3年
		当該分野の研究の進展への影響や社会的影響が小さく、又は行為の悪質性が低いと判断されるもの	1～2年

また、本事業において、不正行為が認定され、応募及び参加制限措置が講じられた場合、関係府省及び関係府省所管の独立行政法人が配分する競争的資金制度等の担当に 情報提供することにより、関係府省の研究資金制度において、同様に、応募及び参加が制限される場合があります。

(c) 他の研究資金制度で応募及び参加の制限が行われた研究者に対する措置

本事業以外の国又は独立行政法人等が所掌する、原資の全部又は一部が国費である研究資金制度において、研究活動の不正行為により応募及び参加の制限が行われた研究者については、その期間中、本事業への応募及び参加資格を制限します。

(d) 不正事案の公表

本事業において、上記 (a) 及び (b) の措置を実施するときは、本事業の財源に応じて対象となるガイドラインに従い、当該措置の内容等を公表することがあります。

## IV. 公募・選考の実施方法

### 1. 申請書類の受付等

募集期間及び申請書類の提出先等は以下のとおりです。申請書類の提出は、原則として郵送によることとし、申請書類は、提出期限内に提出してください（郵送物は提出期限内必着）。

#### (1) 申請書類様式の入手方法

申請書類の様式等、応募に必要な資料の入手については、AMED のホームページ (<http://www.amed.go.jp/>) からダウンロードしてください。

#### (2) 申請書類の様式

申請書類の様式は、別添の「希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業申請書」（以下「申請書」という。）とします。簡潔かつ明瞭に申請書の各項目を記載してください。

様式とは別に、「厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年厚生労働省大臣官房厚生科学課通知）」に定められた動物種を用いて動物実験を実施する機関については、本基本指針に基づき、機関自らが実施した本基本指針への適合性に関する自己点検・評価結果のうち、直近で実施したものの写しを提出してください。

なお、字数制限や枚数制限を定めている様式については、制限を守ってください。また、申請書類の作成はカラーでも可としますが、白黒コピーをした場合でも内容が理解できるように作成して下さい。

#### (3) 郵送による提出

郵送については、簡易書留、特定記録郵便等又は宅配便など配達されたことが証明できる方法による提出が必要になります（着払い不可）。

「FAX」又は「電子メール」による提出は受け付けませんので注意してください。

- ① 申請書類を封入した封書等の表に、朱書きにて、「創薬支援推進事業「希少疾病用医薬品指定前  
実用化支援事業」申請書類」と記載してください。
- ② 申請書（紙媒体 20 部、電子媒体（CD-R）1 部）、直近の財務諸表及び法人税申告書の写し（1  
部）をご提出ください。
- ③ 紙媒体提出資料は、日本工業規格 A 列 4 番の用紙を用い、両面印刷とします。カラー、白黒は問  
いません。
- ④ 申請書類は、下中央に通し頁（-1-）を付与、左上ホチキス止め、左長辺 2 穴パンチで整えてくだ  
さい。
- ⑤ 電子媒体に保存する形式は、Microsoft Office 2007 及びそれより新しいバージョンの Microsoft  
Office で扱える形式でお願いします。
- ⑥ 提出いただいた申請書類の返却、差替え等には応じられません。なお、秘密保持については厳守いた  
します。
- ⑦ 書類の量が多い等やむを得ない場合は、下記「⑨送付先」への直接持ち込み（午前 10 時から 12  
時、及び午後 1 時から 5 時までの時間帯に限る。）による提出でも差し支えありません。なお、  
その場合には、必ず事前に事務局（XI 参照）まで連絡をお願いします。
- ⑧ 採択結果について通知しますので、封筒の表に「開発担当者」の郵便番号・住所・氏名を記載す  
るとともに、82 円切手を貼付した封筒 1 枚を、「採択結果通知用封筒」として同封してください。  
（記載は手書きでも差し支えありません。）
- ⑨ 送付先  
国立研究開発法人日本医療研究開発機構 創薬支援戦略部 東日本統括部  
〒103-0022 東京都中央区日本橋室町 1-5-5 室町ちばぎん三井ビル 8 階

#### （4）申請書類受付期間

平成 27 年 11 月 4 日（水）～平成 27 年 12 月 2 日（水）正午（厳守）

（注 1）郵送による提出期限も、同日（平成 27 年 12 月 2 日）必着とします。

（注 2）全ての申請書類について、期限を過ぎた場合には一切受理できませんのでご注意ください。

#### （5）スケジュール等

以下に今回実施する公募の公募開始から採択までのスケジュールを示します。

公募期間	平成 27 年 11 月 4 日（水）～12 月 2 日（水）正午
書面審査	平成 27 年 12 月 2 日（水）～平成 28 年 1 月下旬（予定）
ヒアリング	平成 28 年 2 月上旬のいずれか 2 日（予定）

※注 ヒアリング対象課題の開発担当者に対して、ヒアリング審査の 1 週間前を目途にお知らせします。

採択可否の通知 平成 27 年 2 月下旬（予定）

※注 採択対象となった開発品目の申請者に対しては、ヒアリング結果を踏まえた計画の修正を求めることや、採択  
条件を付することがあります。これらの場合においては、計画の妥当性について、再度検討を行う可能性がある  
ことについてご承知おきください。

#### （6）公表等

##### ① 採択された課題に関する情報の取扱い

採択された個々の課題に関する情報（制度名、事業名、開発品目名、所属機関名、申請者名、予算  
額及び実施期間）については、行政機関の保有する情報の公開に関する法律（平成 11 年法律第 42 号）  
第 5 条第 1 号イに定める「公にすることが予定されている情報」に該当することから、開示請求がな  
された場合には、開示請求者に公開することがあります。

## 2. 申請書類の選考の実施方法

### （1）審査方法

課題の採択に当たっては、外部有識者による委員から構成される評価委員会での審査で採択開発品目候

補を決め、これを基に AMED が決定します。

- ①審査は、AMED に設置した評価委員会において、非公開で行います。
- ②評価委員会は、提出された応募書類の内容について書面審査及びヒアリングによる審査を行い、合議により採択課題案を決定します。なお、審査の過程で追加書類を求める場合もありますので、その点をご承知願います。
- ③課題選考に携わる者は、審査の過程で取得した一切の情報を、その職にある期間だけではなく、その職を退いた後でも第三者に漏洩しないこと、情報を善良な管理者の注意義務をもって管理すること等の秘密保持を遵守することが義務づけられます。
- ④採択に当たっては、評価委員会等の意見を踏まえ、目標や実施計画等の修正を求めることがあります。なお、今回設定された目標は進捗評価の際の評価指標の一つとなります。
- ⑤全ての審査終了後、採択の可否を通知します。なお、選考の途中経過についての問い合わせには一切応じられません。
- ⑥AMED における採択課題の決定後、AMED ホームページへの掲載等により、評価委員等についての情報を公開します。

## (2) 審査項目と観点

課題の選定に当たっては、申請書記載の各項目について以下の観点に基づいて審査を行います。

- ①事業目的への適合度
    - ・本事業の目的に即した研究開発プロジェクトであるか
  - ②実施体制
    - ・開発体制、施設の設備等の観点から、実用化に向けた開発の遂行が可能な体制となっているか
  - ③開発計画の妥当性
    - ・期間内の計画が明確であり、実現可能な研究開発か
  - ④実用化の可能性
    - ・開発期間終了後、実用化に向けて明確な見通しがあるか
  - ⑤保健医療への貢献度
    - ・国民の治療ニーズに即した研究開発プロジェクトであるか
    - ・国家政策上の重要性
    - ・国民の保健医療水準の向上につながる成果が期待できるか
  - ⑥総合評価
    - ①～⑤を勘案して総合評価する
- なお、①～⑤の項目のうち、「①事業目的への適合度」及び「⑤保健医療への貢献度」の評価項目の評点については、他の項目の2倍の重きをおくものとします。

## V. 提出書類の作成と注意

### 1. 申請書類の取扱い

申請書類は、行政機関の保有する個人情報の保護に関する法律等を踏まえ、申請者の不必要な不利益が生じないように、応募内容に関する秘密は厳守し、X. 3項に記載されている事項を除き、審査以外の目的には使用しません。

詳しくは総務省のホームページ\*をご参照ください。

※ [http://www.soumu.go.jp/gyoukan/kanri/horei\\_kihon.html#7\\_2](http://www.soumu.go.jp/gyoukan/kanri/horei_kihon.html#7_2)

### 2. 申請に当たっての注意事項

#### (1) 申請に対する機関の承認

複数社と共同開発する品目であって共同申請する場合には、参加する全ての企業等の長の上で申請書類を提出してください。

(2) 対象外となる申請について

以下に示す申請課題の申請は本事業の対象外となります。

- ①単に既成の設備備品の購入を目的とする申請
- ②他の経費で措置されるのがふさわしい設備備品等の調達に必要な経費を、本事業の経費により賄うことを想定している申請

## VI. 交付の申請手続き及び交付決定等

### 1. 交付の申請手続き及び交付決定について

採択された申請者が、別に定める様式により AMED に補助金交付申請書を提出し、それに対して AMED が当該申請書の内容を審査し、補助金を交付すべきものと認めたときに交付決定通知書を申請者に送付します。

採択決定後から交付決定までの間に、適正な交付を行うため必要があるときは、補助金の交付の申請に係る事項につき、修正を加えて補助金の交付決定をすることがあります。また、交付条件が合致しない場合には、交付決定ができない場合もありますのでご了承ください。

なお、交付決定後においても、やむを得ない事情が生じた場合若しくは「補助事業事務処理説明書」に定められた事由が発生した場合には、研究開発計画の見直し又は中止を求めることがあります。

また、事務処理は、「補助事業事務処理説明書」に基づき、必要となる事務処理を行ってください。

### 2. 補助金の範囲及び額の確定等

#### (1) 補助金の範囲

補助の対象範囲は、希少疾病用医薬品として製造販売承認取得を目指すために必要と考えられる開発の遂行に係る経費とします。

本事業では、以下のとおり費目構成を設定しています。

	大項目	定義
補助の対象	物品費	備品、試薬・材料・消耗品等の購入費用
	人件費	当該開発のために雇用する研究員等の人件費
	その他	上記の他、当該開発を遂行するための経費 例) 運搬費、印刷費、検査業務費等

なお、次の点についてご注意ください。

- (a) 物品費において、取得価格 50 万円以上の備品等の計上は、原則として認めません。
- (b) 旅費は対象となりません。
- (c) 別の公的資金により行われた開発費は対象となりません。
- (d) 企業等が直接的に研究開発に要する費用のみ対象とします。

#### (2) 開発経費の計上

契約年度ごとに、研究開発に必要な経費を項目ごとに算出し、総額を計上してください。

計上可能な対象経費の上限値は、1 品目当たり 2 億円とします。また、金額の決定に際し、人件費はその対象となる経費総額の 20% を限度とします。

なお、契約年度内であって、医薬品候補物質が特定された日以降における当該物質に係る研究開発経費のみが計上対象となります。

#### (3) 補助金の支払い

補助金は、毎年度、原則 2 回、年度当初及び年度末に概算払いにより交付しますので、企業等代表権者

は概算払請求書を AMED に提出して下さい。1 回目は補助率 10%、2 回目は残額を概算払いすることとなります。ただし、採択年度（本年度）については、交付決定後の 1 回の交付となります。

### 3. 採択された企業等に求める要件

#### (1) 補助金の公正かつ適正な執行

AMED の補助金が国民の貴重な税金で賄われていることを十分に認識し、公正かつ適正な執行及び効率的な執行を行う責務があります。

#### (2) 研究倫理教育プログラムの履修・終了

AMED の事業に参画する研究者は、不正使用・不正受給・不正行為を未然に防止するために研究倫理教育に関するプログラムを修了する必要があります。詳しくは、後日 AMED からご案内いたします。

なお、研究倫理教育プログラムの修了がなされない場合には、修了が確認されるまでの期間、補助金の執行を停止等することがありますので、ご留意ください。

#### (3) 確認書の提出

申請した課題が採択された後、企業等代表権者は、研究開発の公正かつ適正な実施について遵守する事項を確認していただき、あわせてこれらを確認したとする文書を AMED に提出していただきます。

詳しくは、後日 AMED から御案内させていただきます。

## VII. 採択課題の管理と評価

### 1. 管理

全ての採択品目について、毎年度、成果報告書の提出を求めます。また、本事業では進捗評価を実施し、そのために必要な関連する報告を求めるとともに、開発実施場所において実際の開発状況の確認を行うことがあります。

その結果、進捗状況に応じて、計画の変更を求めたり、補助金の交付を中止することがあります。

### 2. 評価

開発品目の進捗評価は、新規申請課題の採択の可否等について審査する「事前評価」、進捗状況や成果等を把握するための「進捗評価」の二つの課程に分けられます。その達成度（未達成の場合にはその理由、計画の練り直し案）如何によっては、補助金の交付を中止する場合があります。また、必要に応じて、開発期間終了後 3 年を経過した後、追跡評価（開発成果の活用状況等を把握する。）を行います。

### 3. 進捗評価の実施方法

(1) AMED は、「補助事業事務処理説明書」における定めを遵守して業務を遂行します。

(2) 業務が完了したときは、「補助事業事務処理説明書」に基づき、成果報告や経理報告を様式に従って AMED に提出することが義務付けられています。

(3) AMED は、毎年度、課題の進捗管理を厳密に行います。これら進捗管理・評価等の状況を踏まえ、AMED の判断により、必要に応じ計画の見直し、変更、中止、各課題の実施体制の変更等の事業の再編を求めることがあります。

(4) 関係法令・指針等に違反し、開発計画を実施した場合、参画する研究者について不正行為が認定された場合等は、補助金の交付をしないことや、補助金の交付を取り消すこと、既に交付した補助金の返還を求めることがあります。

(5) ここに定めるものの他、業務の実施や事業の推進等に当たっては、AMED の指示、及び「補助事業事務処理説明書」における定めに従うこととします。

## VIII. 成果の取扱い

## 1. 成果報告書の提出

受託者は、開発成果をとりまとめた成果報告書を提出していただきます。

平成 27 年度分の本報告書の提出期限は平成 28 年 5 月 31 日（火）となりますので注意してください。

なお、期限までに成果報告書の提出がなされない場合、契約が履行されなかったこととなり、補助金の支払い等が行えなくなるため、提出期限は厳守してください。

## IX. 納付金

本補助金の交付を受けた開発品目の上市により、企業等が得た収益の一部を納付金として徴収するものとします。

### 1. 納付金額

企業等の事業年度において、AMED が徴収する納付金の額は、前事業年度における補助金の交付を受けた希少疾病用医薬品の売上高につき、次の算式により算定した額とします。ただし、同一の開発に係る各事業年度の納付金の額の合計額は、当該開発について AMED が交付した補助金の額の合計額をもって限度とします。

算式：(売上高－1 億円) × 1/100

売上高が 1 億円以下の場合には納付金の額は 0 円とする。

### 2. 納付金の徴収開始時期及び徴収期間

納付金の徴収は、補助金の交付を受けた希少疾病用医薬品が製造販売承認を受けた日の属する各企業等の事業年度から開始し、その算定対象期間は希少疾病用医薬品の製造販売承認を受けた日から 10 年間とします。ただし、1 のただし書に該当する場合はこの限りではありません。

また、AMED は納付金を徴収しようとするとき、企業等代表権者等に納付金の徴収通知書を納付期限の 2 週間前までに送付するものとします。

### 3. 資料提出

企業等から納付金の徴収を行うため必要と認める資料として、次に掲げる資料を企業等に納付金徴収期間内の各事業年度の終了した日から起算して 4 か月以内に提出させるものとします。

- (1) 希少疾病用医薬品の売上高を証する書類
- (2) その他 AMED が必要と認める書類

### 4. 納付金の納付期限

企業等の事業年度が終了した日から起算して 6 か月を経過した日とします。なお、企業等が納付期限までに納付金を納付しないときは、AMED は企業等に督促するものとします。また、企業等が納付期限までに納付金を納付しなかったときは、納付期限の翌日から納付日までの日数に応じ、その未納付額につき一定の割合で計算した延滞金を納付させるものとします。

## X. その他

### 1. 採択の取消し等

開発品目採択後において、AMED が指示する補助金交付申請書や成果報告書等の提出期限を守らない場合や、不正行為の認定により当該研究に参加する研究者について、一定期間補助金を交付しないこととされた場合等は、採択の取消しを行うことがあります。また、交付決定後においても、上記の場合には、補助金の返還等を求めることがありますので十分留意してください。

### 2. 報告義務

採択された開発について、予定の期間内に完了しない場合又は開発の遂行が困難となった場合は、速やか

に AMED に報告してください。AMED は報告内容に応じて必要な指示を行います。指示に従わない場合には採択の取消しを行うことがあります。また、交付決定後においても、補助金の返還等を求めることがありますので十分留意してください。

### 3. 個人情報の取扱い

補助金に係る申請書等に含まれる個人情報は、本事業のために利用及び提供されます。また、採択された個々の課題に関する情報（事業名、開発品目名、企業等の名称、予算額及び実施期間）は、行政機関の保有する情報の公開に関する法律第 5 条第 1 号イに定める「公にすることが予定されている情報」に該当し、情報開示することがあるほか、マクロ分析に必要な情報は「政府研究開発データベース」への入力のため内閣府に提供され、分析結果が公表される場合があります。

## XI. 照会先

本事業の概要、応募の手続き等に関する問合せについて

### (1) 問合せ先

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 創薬支援戦略部

「創薬支援推進事業－希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業－」担当  
〒103-0022 東京都中央区日本橋室町 1-5-5 室町ちばぎん三井ビル 8 階  
電話 03-3516-6181 FAX 03-3516-6182

E-mail : id3desk@amed. go. jp

### (2) 受付時間

平日 午前 10 時～12 時、午後 1 時～5 時

注) 審査状況、採否等に関する問合せには一切回答できません。



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構  
創薬支援戦略部

〒100-0004 東京都中央区日本橋室町1-5-5 室町ちばぎん三井ビル8階  
Tel 03-3516-6181 Fax 03-3516-6182