

**令和3年度
医療研究開発推進事業費補助金
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
公募説明資料**

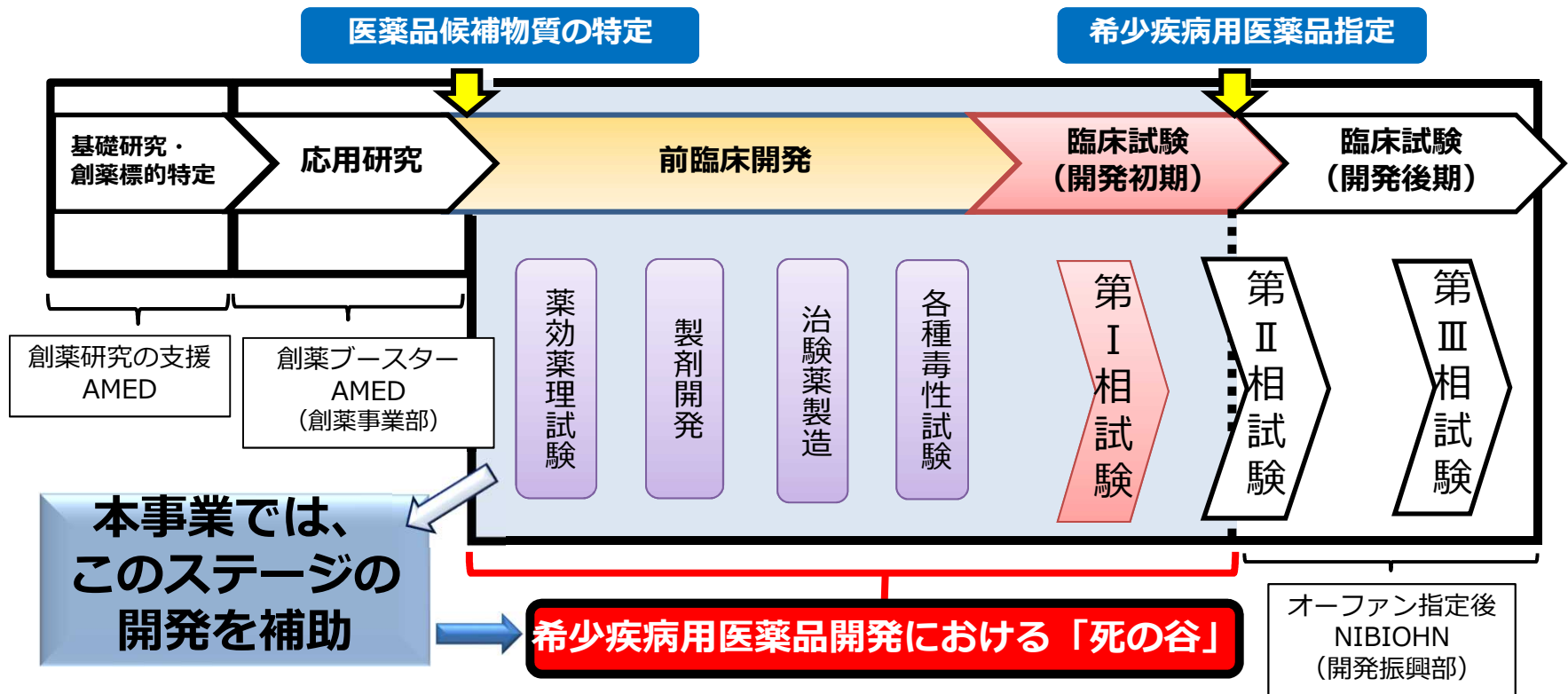
**国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）
創薬事業部 創薬企画・評価課 創薬支援室**

本資料の内容

1. 令和3年度希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業の概要
2. 公募・選考について
3. 採択決定後の手続き等
4. 収益状況報告及び収益納付について
5. その他（令和2年度公募からの変更点、よくあるご質問等）

1. 令和3年度希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業の概要

希少疾病用医薬品指定前における支援事業の背景



- ◆ 従来、企業等における希少疾病用医薬品の支援・助成は、オーファン指定後に限定。オーファン指定前においても幅広い開発【非臨床～臨床試験（PⅡ）】が必要だが、このステージにおける企業等への支援・助成の仕組みは存在しなかった。
- ◆ このため、平成27年度より、AMEDにおいて、企業等を対象にした**希少疾病用医薬品指定を受ける可能性のある品目の開発費の補助事業を実施**
- ◆ 補助対象には、**ドラッグ・リポジショニングの開発も含まれる**

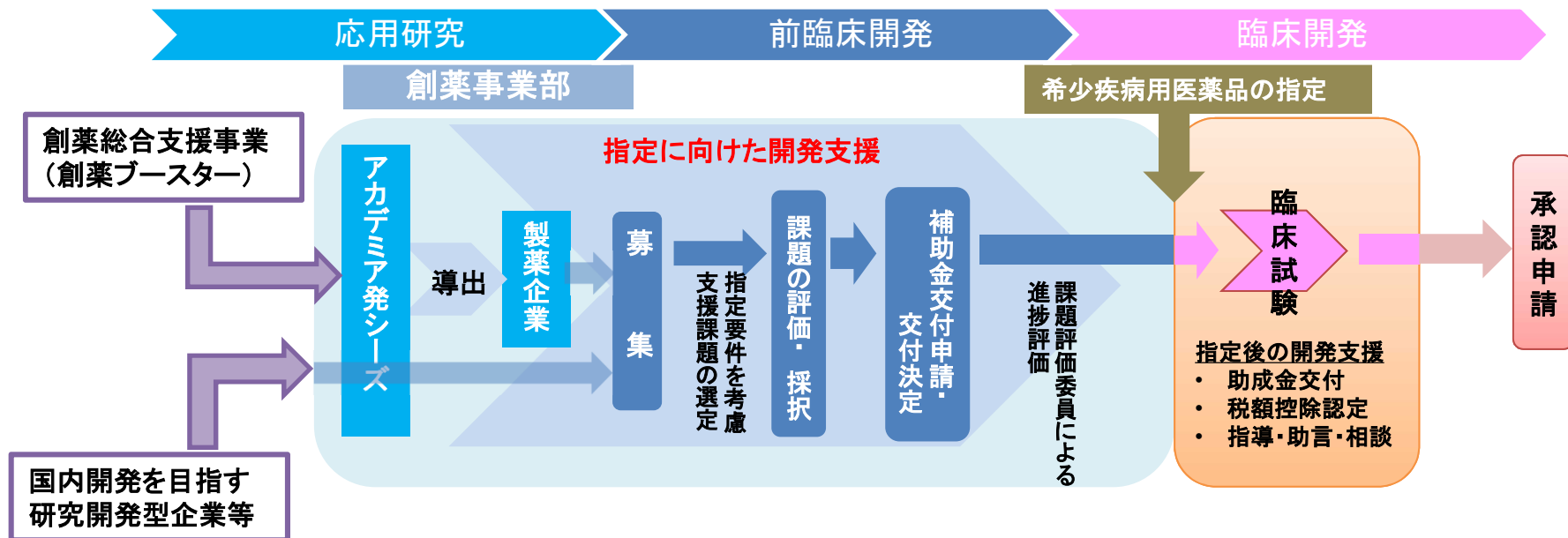
<オープン指定前支援>

「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-」

(本事業の目的)

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业等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*を可能とすること

*希少疾病用医薬品の大臣指定を受け、製造販売承認を取得すること



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ない。

公募情報（概要）

公募課題：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

補助金額：1 研究開発品目当たり年間

ヒト初回投与試験実施前：5千万円程度

ヒト初回投与試験以降：10千万円程度（※）

（※）令和2年度公募内容から変更

支援実施予定期間：3年間（令和3～5年度）

新規採択課題予定数：0～8 課題程度

令和3年度の公募スケジュール

公募期間

- 令和2年10月9日(金)～令和2年11月25日(水)正午(厳守)

書面審査

- 令和2年11月下旬～令和2年12月中旬(予定)

ヒアリング

- 令和3年1月14日(木)、15日(金)(必要に応じて開催)

採否通知

- 令和3年2月中旬(予定)

交付決定

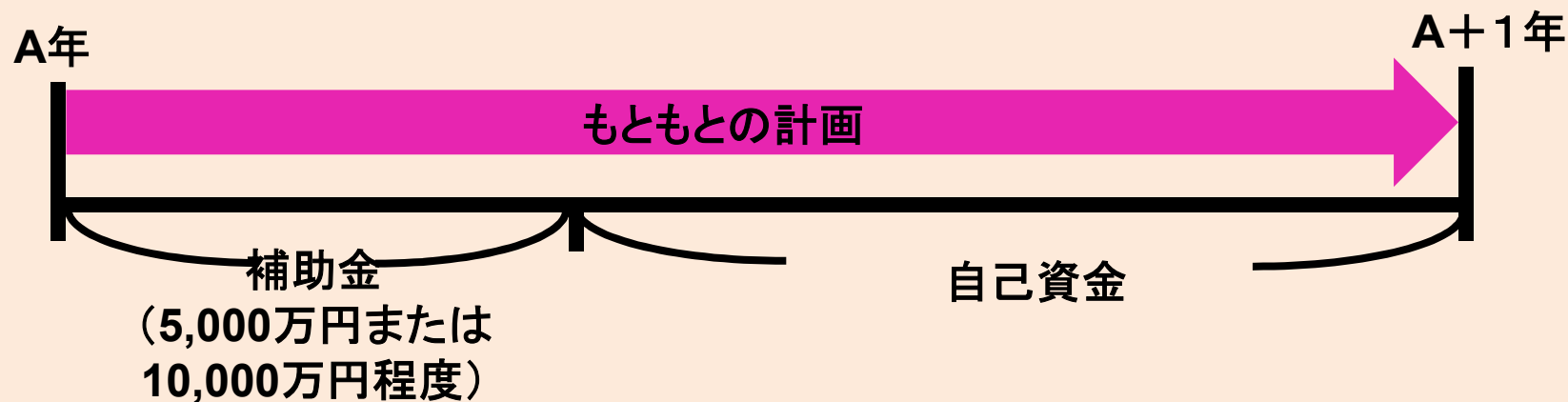
- 令和3年4月上旬(予定)

事業の概要（１）

事業の目的：

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**

→ 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**



事業の概要（２）

○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）

※ 医療機器・再生医療等製品は含まれません

○交付対象者

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
を有する研究開発型企业等

- 同一企業等が複数の開発品目について申請可能（開発品目ごとに採択を行うため）
- 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、**いずれも可能**
- ただし、同一品目に対して複数の採択は行わない

事業の概要（３）

○補助期間

原則 **３事業年度（令和３～５年度）**

ただし、以下の場合は指定日又は中止を決定した日まで。

- ・ 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

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は、申請を行った事業年度の末日まで。

補助対象となる経費（１）

○補助の対象

公募要領 p21～22

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
開発遂行に係る経費

- ※ **交付決定日以前に発生した経費（発注含む）は補助対象になりません。**
- ※ **企業等における意思決定から契約・検収・支払いまでの過程が確認できる一連の証憑類（証拠書類）が確認できない場合、経費として認めないことがあります。**

	大項目	定義
直接経費	物品費	補助事業用設備・備品・試作品、ソフトウェア（既製品）、書籍購入費、補助事業用試薬・材料・消耗品の購入費用
	人件費・謝金 （交付決定額の20%を限度）	人件費：当該補助事業のために雇用する研究員等の人件費 謝金：当該開発品目に係る指導・助言、被験者、単純労働等の謝金等の経費
	その他	上記の他、当該補助事業を遂行するための経費 例） 試験・検査業務費等の外注費、運搬費、機器リース費用、機器修理費用、印刷費、等

補助対象となる経費（２）

○開発遂行に係る経費とは？

たとえば、

- ・ 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
- ・ 治験薬製造費
- ・ 既に上市された医薬品の効能追加のための研究開発費
- ・ 海外で実施する開発費
- ・ 独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）の対面助言の手数料

ただし、承認申請及び審査に関わる手数料は対象外

※ 対象となる経費は、

- ・ **国内外を問わず企業等が直接契約するもの（外注費*を含む）**
- ・ **企業等が直接的に開発に要する費用のみ、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のみ**

***大学等の研究機関への外注費も対象**

補助対象となる経費（３）

公募要領 p21～22

○経費計上に当たっての留意事項

- （a）物品費において、取得価格50万円以上の設備・備品の計上は、原則として認めない。
- （b）旅費は対象外
- （c）別の公的資金により行われた開発費は対象外
- （d）企業等が直接的に研究開発に要する費用のみ対象

なお、本事業では、間接経費／一般管理費は計上できません。

経費計上に当たって、研究開発に要する費用について判断に迷う場合は、事前にAMEDに相談してください。

補助対象となる経費（４）

公募要領 p23

○補助対象経費からの消費税の除外について

補助金額に消費税及び地方消費税額（以下「消費税等」という。）が含まれている場合、「医療研究開発推進事業費補助金取扱要領」に基づき、消費税等の確定に伴う報告書を求めることになります。

これは、補助事業者が消費税等の確定申告時に、仕入控除とした消費税等額のうち補助金充当額について報告をさせ返還を命じることにより、補助事業者に仕入控除とした消費税等額のうち補助金充当額が滞留することを防止するため規定されています。

しかしながら、上記の報告書は、補助金精算後におこなった確定申告に基づく報告となり、失念等による報告漏れが散見されることや、補助事業者における煩雑な事務手続回避の観点から、以下のとおり取り扱うものとします。

交付申請書の補助金申請額算定段階において、消費税等は補助対象経費から除外して補助金額を算定し、交付申請書を提出してください。

2. 公募・選考について

応募資格者

公募要領 p3

以下(1)～(9)の要件を満たす **国内の企業等の代表権者**

- (1) 以下の(A)から(C)までに掲げる研究機関等
 - (A) 民間企業の研究開発部門、研究所等
 - (B) 研究を主な事業目的としている特例民法法人並びに一般社団法人、一般財団法人、公益社団法人及び公益財団法人(以下「特例民法法人等」という。)
 - (C) その他AMED理事長が適当と認めるもの
- (2) 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
- (3) 経営状況、信用度が極度に悪化していないこと
- (4) 補助事業提案書等に虚偽の事実を記載していないこと
- (5) 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
- (6) 課題が採択された場合に、補助金交付の申請手続き等の事務を行うことができること
- (7) 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。)に対して、責任ある対応を行うことができること
- (8) 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、本事業に係る必要な手続等を行うことができること
- (9) 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又は医薬品の製造販売業の許可の申請を予定していること。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。

なお、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れば、より望ましい。

大学、公的研究機関は、補助事業提案者になることができません。

提案書の提出について

公募要領 p9、p13～15

○提案書の入手方法

AMED ホームページからダウンロード
(<https://www.amed.go.jp/koubo>)

○提案書類受付期間

令和2年10月9日（金）～**令和2年11月25日（水）正午（厳守）**

- ・ 期限を過ぎた場合には一切受理できません！
- ・ 受付期間終了後の提案書類の差し替え等には応じられません！

○提出方法

**郵送により、紙媒体20 部及び電子媒体（CD-R）1 部を
AMED創薬事業部 創薬企画・評価課 東日本統括部**まで
(〒103-0022東京都中央区日本橋室町一丁目5番5号
室町ちばぎん三井ビルディング8階)
・ e-RADの登録は不要です。

審査項目と観点

公募要領 p11～12

審査項目	
①事業趣旨等との整合性	・ 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科学的・技術的な意義及び優位性	・ 独創性、新規性、革新性を有しているか ・ 医療分野の進展に資するものであるか
③計画の妥当性	・ 全体計画の内容と目的は明確であるか ・ 年度ごとの計画は具体的なものでかつ、実現可能であるか ・ 生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守した計画となっているか＊
④実施体制	・ 申請者を中心とした研究開発体制が適切に組織されているか ・ 現在の技術レベル及びこれまでの実績は十分にあるか ・ 十分な連携体制が構築されているか ・ 申請者等のエフォートは適切であるか ・ 不合理な重複／過度の集中は無い
⑤所要経費	・ 経費の内訳、支出計画等は妥当であるか
⑥事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目	・ 開発期間終了後、実用化に向けて明確な見通しがあるか ・ 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
⑦総合評価	①～⑥を勘案して総合評価する

各審査項目では何をみるのか？

補助事業提案書には、以下の項目について記載していただきます。

- 法人概要（経営体制・経営陣について）
- 医薬品開発の知識・経験・実績
- 開発品目の要旨（対象疾患、対象者数、医療上の必要性、開発の可能性、開発品目の作用機序）**
- 本補助金の必要性
- 保健医療への貢献度**
- これまでの研究開発の進捗状況、PMDAとの相談実績
- 今後の研究開発計画、収益性
- 実用化の全体計画、年度別計画・到達目標、スケジュール
- 実用化における課題
- 所要経費
- これまでに実施した試験及び費用の概算
- 当該開発品目に係る他の公的資金への申請状況（他機関で獲得した情報を含む）
- 研究開発実施体制
- 倫理面への配慮

提案書類作成上の注意

公募要領 p13～14

○法令・倫理指針等の遵守

○課題の提案に対する機関の承認

複数の企業等が共同で研究を実施する提案を提出する場合には、参加する全ての企業等の長の下承を得た上で提案書類を提出してください。

○提案内容の調整

課題の採択に当たっては、予算の制約等の理由から、提案された計画の修正を求めることがあります。

また、今後、採択された課題の実施に当たって、割り当てられる経費・実施期間は、予算状況により変わる場合があります。

○対象外となる提案

- ・単に既製の設備備品の購入を目的とするもの
- ・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、直接経費により賄うことを想定しているもの

○その他

応募書類等の作成費は経費に含まれません。また、選定の正否を問わず、提案書の作成費用は支給されません。

3. 採択決定後の手続き等

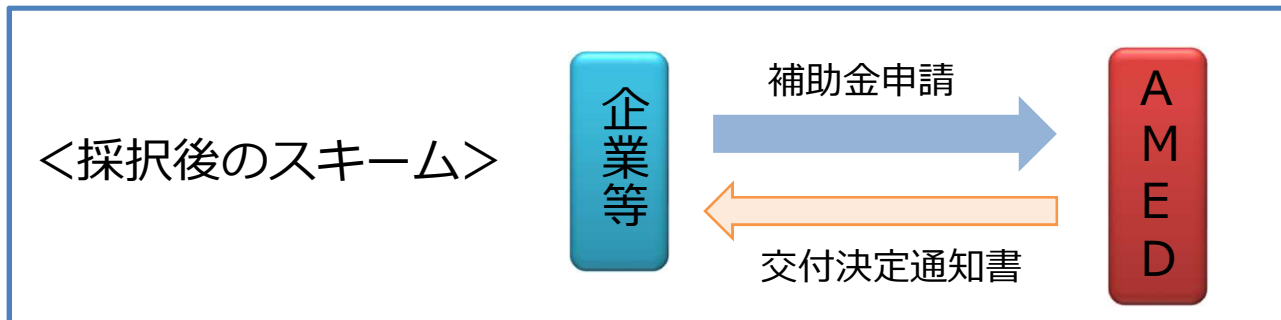
採択決定後の手続き等

公募要領 p21

○補助金交付決定手続き

採択後、速やかに補助金交付申請手続きを進められるよう、次を開始してください。

- ・補助事業計画書の作成
- ・業務計画に必要な経費の見積
- ・会計規定及び職務発明規定等の整備



- 交付決定日（交付決定通知書の日付）をもって事業開始となります。
- 計画の内容や方法（経費の積算を含む）が双方の合意に至らない場合は、採択された課題であっても、交付決定しないことがあります。
- 交付決定後においても、予算の都合等により、やむを得ない事情が生じた場合には、計画の見直し又は中止を求めることがあります。
- 交付申請に係る様式は、AMEDホームページからダウンロードしてください。

https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_hojo.html

採択決定後の手続き等（補足）

- 採択後の手続き、補助事業の事務手続き全般の詳細は、公募要領のほか、「補助事業事務処理説明書」をご覧ください。

「令和2年度版 補助事業事務処理説明書」は、AMED ホームページからダウンロードできます。

<https://www.amed.go.jp/content/000067086.pdf>

採択課題の管理と評価

○管理

- ・採択品目について、毎年度、補助事業成果報告書の提出を求めます。
- ・また、経費の面では、実績報告書の提出を求めます。
- ・本事業ではPS、PO等が進捗管理を実施し、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。
- ・進捗状況により、計画の見直しや補助金の交付を中止する場合もあります。

○評価

- ・課題終了前後の適切な時期に事後評価を実施します。

4. 収益状況報告および収益納付について

収益状況報告および収益納付について

公募要領 p8

1. 収益状況報告

補助事業の完了した日の属する会計年度の翌年度以降5年間は、「補助金収益状況報告書」により当該補助事業に係わる過去1年間の収益状況を報告してください。

2. 納付金

事業者は補助事業の実施結果の事業化、産業財産権の譲渡又は実施権の設定及びその他補助事業の実施結果の他への供与による利益が生じたと認めたときは、補助事業の完了した会計年度の翌会計年度以降の会計年度において、事業者に対して交付した補助金の全部又は一部に相当する金額をAMEDに納付していただきます。ただし、AMEDに納付する金額は、補助金の確定額の合計額を上限とします。

具体的な納付金の計算式は、複数のパターンがあり複雑なため、「補助金収益状況報告書」*よりご確認ください。

*<https://www.amed.go.jp/content/000061495.docx>

5. その他（令和2年度公募からの変更点、よくあるご質問等）

令和2年度公募内容からの変更点①

項目	変更前	変更後
補助金額	1 研究開発品目当たり年間 5 千万円程度	1 研究開発品目当たり年間 ヒト初回投与試験実施前： 5 千万円程度 <u>ヒト初回投与試験以降： 10千万円程度</u>
補助対象となる経費	国内外を問わず申請者が直接 契約するもの（外注費*を含む） <u>*大学等の研究機関への外注費は 原則補助対象外とする。</u>	国内外を問わず申請者が直接 契約するもの（外注費*を含む） <u>*大学等の研究機関への外注費も補助 対象とする。</u> 但し、仮にアカデミアと共同研究 をしている場合のアカデミアが負 担する費用は、本事業の補助対象 外。

令和2年度公募内容からの変更点②

項目	変更前	変更後
補助事業終了後の納付金	本補助金の交付を受けた開発品目が上市した場合は、企業等が得た収益の一部を納付金として徴収。 1. 納付金の徴収開始時期 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 2. 徴収期間 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 3. 納付金額 次の算式により算定した額 算式：$(\text{売上高} - 1\text{億円}) \times 1/100$ ※売上高が1億円以下の場合は納付金の額は0円とする。 ※各事業年度の納付金の額上限：当該開発についてAMEDが交付した補助金の額の合計額	補助事業の完了した日の属する会計年度の翌年度以降5年間は、「補助金収益状況報告書」により当該補助事業に係わる過去1年間の収益状況を報告。<u>事業者に補助事業の実施結果の事業化、産業財産権の譲渡又は実施権の設定及びその他補助事業の実施結果の他への供与による利益が生じたと認めたときは</u>、納付金を徴収。 1. 納付金の徴収開始時期 補助事業の完了した日の属する会計年度の翌年度 2. 徴収期間 上記から5年間 3. 納付金額 収益状況報告書に記載の計算式に基づく（4パターンあり） ※各事業年度の納付金の額上限：当該開発についてAMEDが交付した補助金の額の合計額

<よくあるご質問①>

ベンチャー企業であり、製造販売業の許可を有していないが、応募可能か？

公募要領に記載しておりますとおり、製造販売業の許可を有していない場合でも「医薬品の研究開発について十分な知識・経験・実績等を有している場合」には応募可能です。

十分な知識・経験・実績を有することを提案書中にご記載ください。また、将来的に補助対象となる開発品目の導出を目指している場合も、その旨をご記載ください。

なお、内資系企業と外資系企業では差はありません。本事業は、国内の希少疾患領域の患者さんに早く薬を届けることを目的としており、国内で希少疾病領域でオーファン指定をとろう！という品目であれば、対象となります。

<よくあるご質問②>

AMED内の他事業の支援を受けている場合も応募可能か？

前提として、同一内容でAMED他事業と重複して支援を受けることはできません。

本事業に対して申請しようとしている内容が、他事業の課題と内容が重複していない、すなわち切り分けが可能である、ということであれば応募は可能です。

但し、課題評価委員会により、他事業の課題と本事業に対して申請しようとしている内容が重複していると判断される場合には、審査対象から除外する可能性があることを、ご承知おきください。

<よくあるご質問③>

海外で先行して臨床試験を実施している／国際共同試験を実施する場合も応募可能か？

海外で開発が先行している、又は国際共同試験を実施する場合であっても、国内で希少疾病用医薬品として製造販売承認取得を目指したものであれば応募対象となります。

国内の製造販売承認取得に向けた開発計画等を含めた評価基準の内容で審査いたしますので、海外で開発が先行していることだけで有利/不利ということはありません。

提出頂いた開発計画に基づき、課題評価委員会で審査のうえで、採択可否を判断します。

国際共同試験に関しては、補助対象となる経費は、企業等が日本国内の開発のために使用した直接経費となりますので、ご注意ください。

<よくあるご質問④>

開発品目は「医薬品候補物質が特定されたものに限る。」となっているが、特定の一つの物質、複数の物質を含む候補群のどちらを意図しているのか？

開発の可能性の観点から、医薬品としての「『有効成分となる物質』が特定されている段階」が望ましいです。一方、例えば低分子化合物においてはバックアップ化合物も含め、最適化研究が終了した化合物が複数あり、これら複数の化合物を高次モデルにより絞り込んでいく段階であっても差し支えないと考えます。

「リード最適化が終了し、開発候補物質が複数あっても、有効成分となる物質を最終的に決定することを目的とする段階」であれば申請いただくことで差し支えありませんが、内容によっては対象外となり得る場合があることにご留意ください。

<よくあるご質問⑤>

開発品目について、同一品目で多疾患の薬効を並行して開発している場合、応募は特定の一疾患でのみ行うのがよいのか？

同一品目に対して複数の採択を行わないため、対象疾患は特定の一疾患で応募してください。

また、複数の疾患領域を対象に開発を進めている場合、本事業は希少疾患や難病の開発に資する部分のみが対象となることに留意してください。特に、希少疾患や難病以外の領域で必要な試験、例えば希少疾患や難病以外のモデル動物により有効性の確認をする場合は、希少疾患や難病を目指したものではないので対象外となります。

なお、本事業では、剤型や投与経路が異なっても、有効成分が同じであれば同一品目とみなします。

<よくあるご質問⑥>

事業終了後に開発品目を導出した場合、納付金の支払いはどうなるのか？

導出した場合のライセンス料等は、事業終了後5年間は収益状況報告書により収益として報告していただき、収益額に応じた納付額を、補助金の交付を受けた企業等に納めていただきます。

補助事業を途中で中止し、その後開発品目の導出にいたった場合にも、同様の取扱いとなります。

その他、ご質問事項等の照会先

公募要領 p42

照会内容	連絡先
公募課題（開発品目）、評価、提案書類の記載方法等	AMED創薬事業部 創薬企画・評価課 「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 Tel: 03-3516-6181 E-mail : id3desk"AT"amed.go.jp
不正行為・不正使用・不正受給に関して	AMED研究公正・業務推進部 研究公正・法務課 E-mail: kouseisoudan"AT"amed.go.jp
利益相反管理・研究倫理教育プログラムに関して	AMED研究公正・業務推進部 研究公正・法務課 E-mail: kenkyuukousei"AT"amed.go.jp