

難病・希少疾病治療 グローバル研究開発支援事業

Global Research and Development Support Project for the Treatment of Intractable/Rare Diseases

革新的医療技術研究開発推進事業
(産官学共同型)グローバルタイプ

公募説明資料



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

公募説明会における注意事項

- 今回の説明は、時間の都合上、事業概要と、公募要領の中でも特に注意すべき点について扱います。
- **公募要領は「全て重要」な事項**となりますので、説明会で触れなかった事項についても必ずご確認ください、不明な点は応募前に解消してください。
- 説明会では、質疑を中心に進めますが、個別の課題に関するご質問に対してはお答えできないことがあります。

事業概要



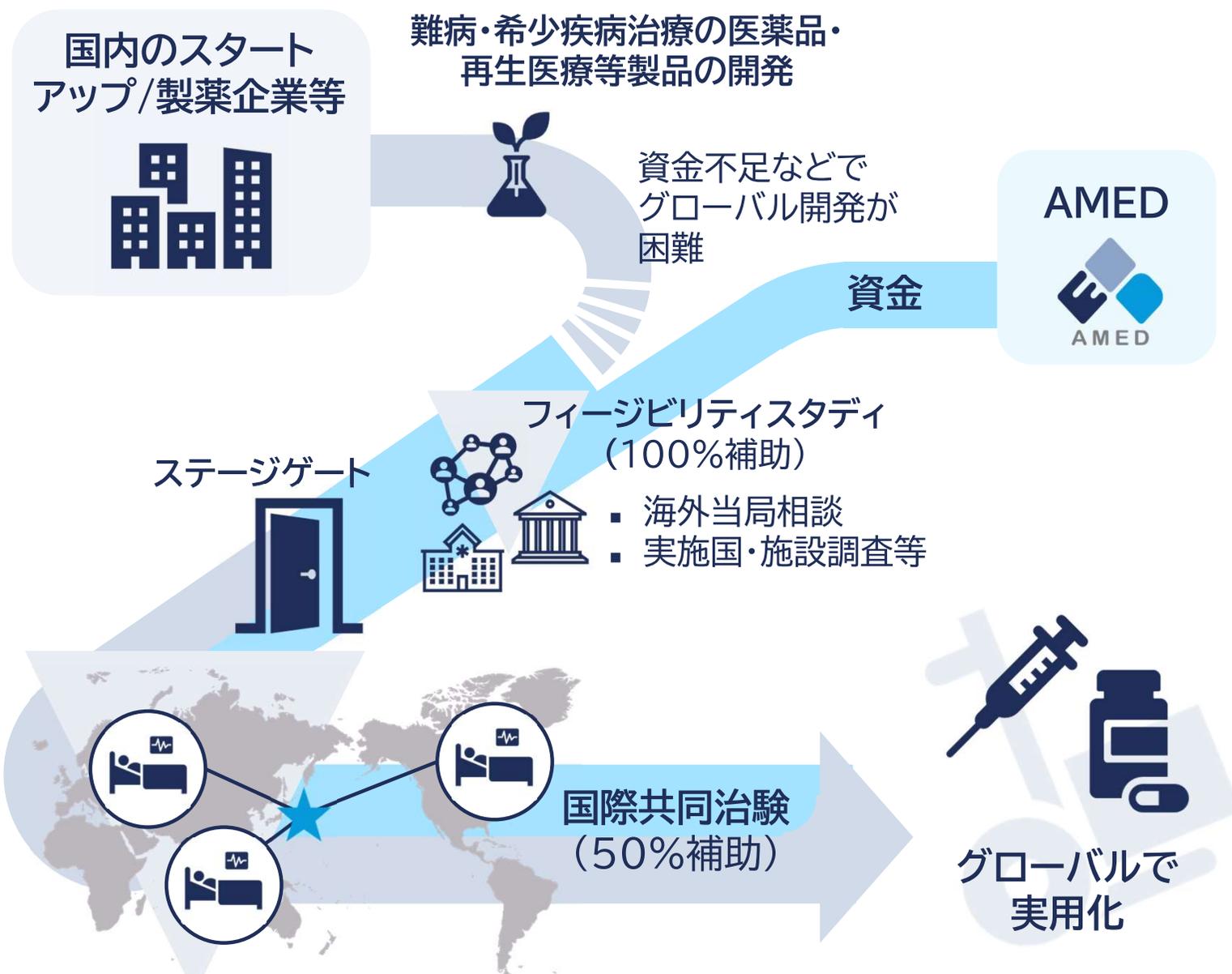
GRiT実施の背景と目的

難病や希少疾病では患者数が少ないため市場規模が小さく、治療薬の開発が遅れやすい状況があります。また、治験に必要な症例数を集めるには国際共同治験が必要になることも多いですが、費用が高く、十分な資金を確保できないことが研究開発の大きな課題となっています。

本事業は、こうした分野の医薬品・再生医療等製品の実用化を促すため、国際共同治験にかかる費用の2分の1(上限15億円)を支援します。また国際共同治験に向けたフィージビリティスタディ(実現可能性調査)の費用もAMEDが負担します。

これにより、国内企業による国際共同治験の推進と、有望な治療法の早期実用化、日本の臨床開発力の強化を目指します。

スキーム図



GRiTの特徴

- **難病・希少疾病にフォーカス**
 - 治験で必要症例数を確保しにくい
 - 市場規模が小さいため資金投入が進みにくい
- **研究開発の臨床試験を支援**
 - 現時点で、AMEDによる支援はPOC取得までの支援が一定の割合を占める
 - 成果の実用化に向けてレイターフェイズ支援へのニーズは高い
- **グローバルな研究開発を支援**
 - 必要症例数の組み入れをより確実に
 - 日本を含むグローバル開発の推進
- **フィージビリティ(実現可能性)の評価段階から支援**
 - 実用化までの道筋が必ずしも明確でない有望なシーズについて、治験の実現可能性の評価段階から支援

公募の詳細



公募概要

■ 対象となる研究開発

■ 難病^{※1}・希少疾病^{※2}に対する医薬品・再生医療等製品を対象とする国際共同治験^{※3}

- ※ 1. 難病とは、厚生労働省が指定する疾患を指します。
- ※ 2. 希少疾病とは、対象製品の用途に係る治療対象者数が、日本国内で5万人未満であることを指します。希少疾病用医薬品・希少疾病用再生医療等製品の指定は問いません。例えば小児領域に限定した場合に5万人未満であれば対象とします。
- ※ 3. 国際共同治験とは、医薬品等の世界的規模での開発及び承認を目指して企画される治験であって、一つの治験に複数の国や地域の医療機関が参加し、共通の治験実施計画書に基づき、同時並行的に進行するものとしてします。

■ 補助の対象

- フィージビリティスタディ：上限**2億円**、補助率**10/10**
- 国際共同治験：上限**15億円**、補助率**1/2**

■ 研究開発実施予定期間

- 原則、**3年以内**

補助対象の詳細(1)

■ 対象となる事業者

■ 国際共同治験を主体的に実施する企業**単独**

- 以下の条件を満たす医薬品または再生医療等製品を開発する日本法人であること：
 - **日本に登記**されている民間企業で、その事業活動に係る技術開発を含めた事業活動のための**拠点を日本国内に有すること**
 - 医療用医薬品または再生医療等製品事業の**過去3年間の売上平均値が3,000億円未満**であり、かつ、**過去10年以内に海外で承認を取得した製品が3製品以下**であること

※ 「応募資格者」に設けられた他の要件についても、公募要領を確認すること

■ 補助対象となる疾患および製品カテゴリー

- 難病または希少疾病の治療を目的とした医薬品や再生医療等製品

■ 補助対象となる実施項目

- フィージビリティスタディ(国際共同治験の準備として実施する調査)
- 国際共同治験

※ フィージビリティスタディを既に終了している場合、国際共同治験のみの提案も可

補助対象の詳細(2)

■ 補助対象となる治験

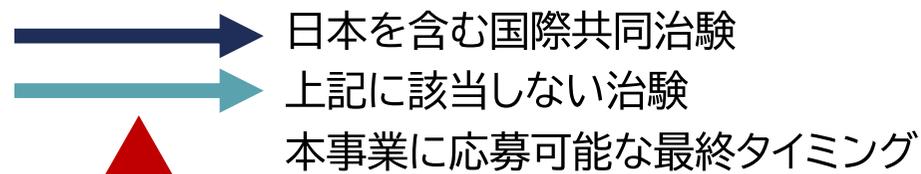
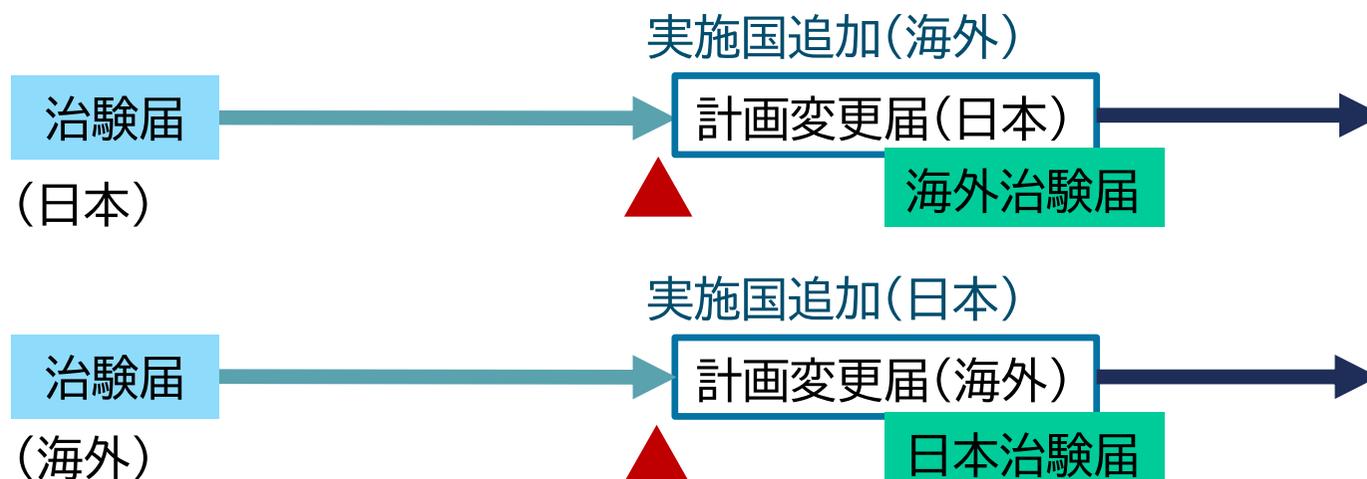
- 実施国に**日本を含む**
- **国際共同治験**の条件を満たす
 - 医薬品の世界的規模での開発及び承認を目指して企画される治験であって、一つの治験に複数の国や地域の医療機関が参加し、共通の治験実施計画書に基づき、同時並行的に進行するもの
- 以下のいずれかに該当する
 - 医薬品の場合：**第Ⅰ相臨床試験**、**第Ⅱ相臨床試験**、または**第Ⅲ相臨床試験**
 - 再生医療等製品の場合：**探索的試験**、または**検証的試験**
- **1つ**の国際共同治験である(=フェーズまたぎ不可)
- 応募時点で、以下のいずれかの条件を満たす
 - 未実施(=**応募時点で治験届が未提出**)
 - **既に実施中**の治験を、以下のいずれかの条件を満たすことで、**日本を含む国際共同治験に変更**する
 - 日本の治験に海外を追加する際の、**海外治験届が未提出**の場合
 - 複数国或いは単独国での海外治験に日本を追加する際の、**国内治験届が未提出**の場合

《図解》パターン別 応募可能なタイミング

最初から日本を含む国際共同治験



途中から国際共同治験に変更



補助対象の詳細(3)

■ 補助対象となる経費

■ 申請額は原則として、

- フィージビリティスタディ: **10/10*** (上限2億円)
- 国際共同治験: 治験に要する費用の**1/2** (上限15億円)

※ フィージビリティスタディにおける補助対象経費は、治験の実施に必要となる事前準備として行う、海外の患者数の調査や審査機関への相談などに要する費用を対象とする

■ 補助対象となる期間

■ 補助対象となる研究開発期間は**原則3年以内**とする

- フィージビリティスタディを実施する場合、その期間も含めて3年以内
- 3年間での研究開発完了が困難な場合、それ以上の期間を許容する場合もある

■ 分担機関の設定

- 課題に参画するアカデミアまたは国際共同治験を共同実施する企業※は、研究開発分担機関として登録

※ 国際共同治験に関連して実施される治験で採取した**検体を用いる研究**(アカデミアや他企業への委託を含む)も**補助対象**とし、課題に参画するアカデミアまたは国際共同治験を共同実施する企業は、研究開発分担機関として登録する

《図解》 国際共同治験の補助事業費(補助対象経費)・補助金の額

補助事業費が30億円を超える例

研究開発課題に要する経費50億円のうち、補助事業費(補助対象経費)が40億円の場合の補助金の額:

$$\begin{aligned} & \text{補助対象経費(40億)} \times \text{補助率(1/2)} \\ & = 20\text{億} > \text{上限15億} \end{aligned}$$

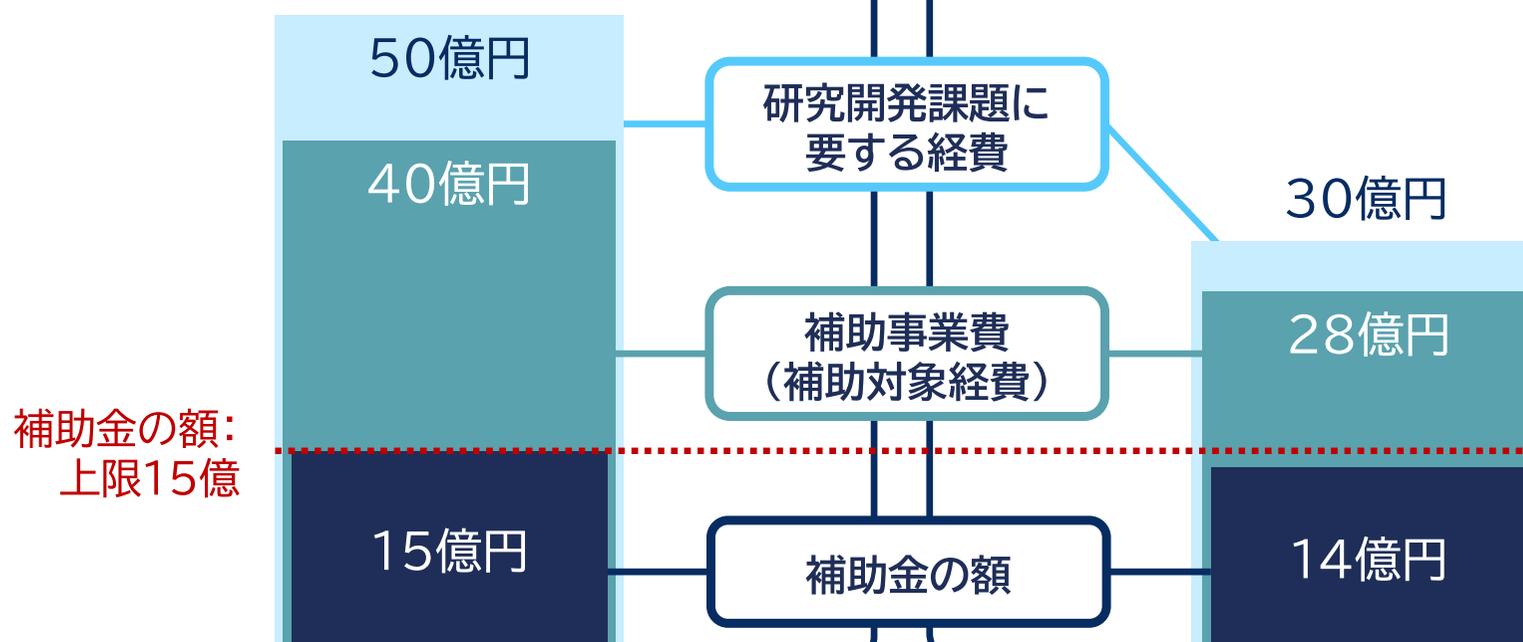
➔ 補助金の額は、上限の15億円になります。

補助事業費が30億円以下の例

研究開発課題に要する経費30億円のうち、補助事業費(補助対象経費)28億円の場合の補助金の額:

$$\begin{aligned} & \text{補助対象経費(28億)} \times \text{補助率(1/2)} \\ & = 14\text{億} \end{aligned}$$

➔ 補助金の額は、14億円になります。



補助対象の詳細(4)

注意事項

- 治験費用の交付決定から1年以内に治験が開始されない場合、課題廃止となることがあります
- 以下の場合、AMEDの判断にもとづき、研究開発課題を**早期に終了**します。
 - 研究開発期間の途中で、国際共同治験を**早期に完了**した場合
 - 会社合併、M&A、ライセンスアウト等により研究開発代表機関が**主体的に研究開発を継続することが困難**となった場合、または**事業継承先が本事業の応募資格者の要件を満たさない**場合
 - その他、AMEDが研究開発課題を早期に終了すべきと判断した場合

中間評価(ステージゲート評価を含む)

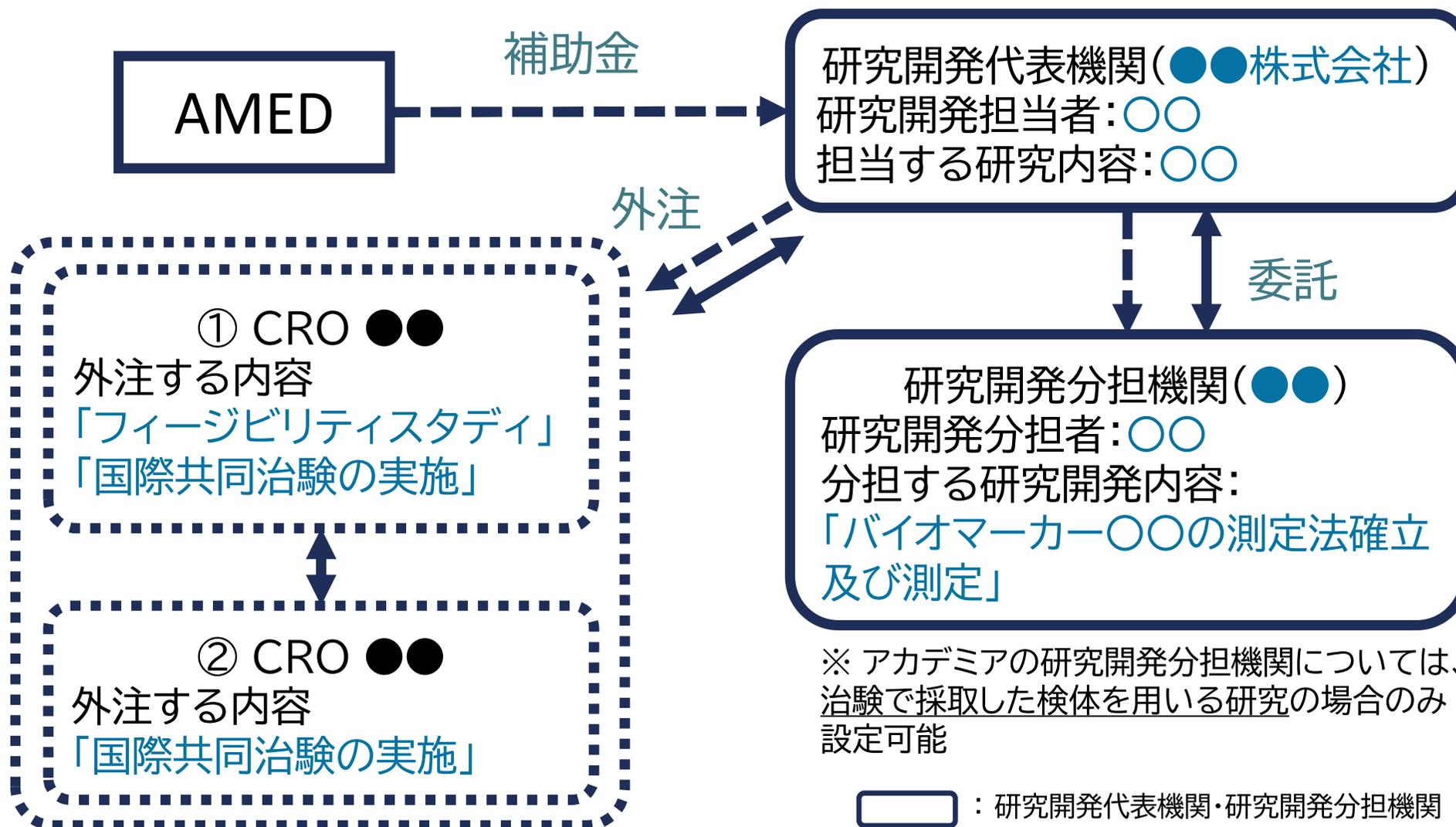
- フィージビリティスタディを実施する課題では、フィージビリティスタディ終了後の調査結果をもとに**ステージゲート評価を実施**し、国際共同治験への**移行の可否(継続の可否)**を評価します。
- フィージビリティスタディの結果に基づき、採択時の**研究開発計画**(治験内容、実施期間、治験費用等)を適正な範囲で**見直すことが可能**です。その見直しも含めた研究開発計画についてステージゲート評価により妥当性、実施可能性を評価します。
- フィージビリティスタディを実施する課題では、ステージゲート評価で国際共同治験への**移行が可**と評価された後に、当該治験に係る**費用の補助を受ける**ことが可能となります。
- 採択時の研究開発計画から**著しい変更**が生じる場合、ステージゲート評価において、**継続を不可**とする場合があります。

事業の流れ



補足等

課題の実施体制



※ アカデミアの研究開発分担機関については、治験で採取した検体を用いる研究の場合のみ設定可能

- : 研究開発代表機関・研究開発分担機関
- : 外注先
- ▶ : AMED資金の流れ
- ⇄ : 業務分担、情報等のやり取り

※ CRO間で連携・協業する場合、その内容を要明示

応募に必要な提案書類

No.	必要な提案書類	必須/任意
1	【様式1】研究開発提案書	必須
2	医療用医薬品・再生医療等製品事業の直近3年間の平均売上に関する資料	必須
3	財務状況資料 ・財務スコアリング ・直近3年分の法人税申告書一式 ・【様式2】資金繰り表	代表機関が非上場 企業の場合は必須
4	登記事項証明書(履歴事項証明書)	必須
5	希少疾病における治療対象患者数(国内)に関する資料	該当する場合は必須
6	規制当局との相談記録	該当する場合は必須
7	治験実施計画書(シノプシス)	必須
8	【様式3】ターゲットプロダクトプロファイル (TPP: Target Product Profile)	必須
9	【様式4】研究開発概要図(グラフィカルアブストラクト)	必須
10	【様式5】経費等内訳・補助金項目シート	必須
11	特許に係る書類	該当する場合は必須
12	【様式6】ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式	該当する場合は必須

応募に必要な提案書類の詳細(1)

3. 財務状況資料(研究開発代表機関／研究開発分担機関が非上場企業等の場合)

- **非上場企業**が応募する場合は、提案時点の以下3点の財務状況書類を、提案書類とともに提出してください。設立3年未満等の理由により3期分の決算書類が揃わない場合、提出可能な範囲で提出してください(詳細は公募要領参照)。
 - 財務スコアリング
 - 直近3年分の法人税申告書一式
 - 資金繰り表
- **上場企業**については、財務状況資料の提出は不要です。また、設立後一年を経過していないなどの理由で法人税の申告実績がない企業は、直近の残高試算表と資金繰り表を提出してください。
- 作成対象期間は、研究開発開始予定日から1年後の前月までを最短期間とします。例えば、研究開発開始日が10月中の場合、少なくとも10月から翌年9月までを含むものを提出してください。

応募に必要な提案書類の詳細(2)

6. 規制当局との相談記録

- PMDA等が実施する相談業務のうち、対面助言を実施済みの場合は、対面助言記録及び別紙(相談内容)を添付してください。なお、対面助言を実施していなくとも、対面助言の日程が決まっている場合は、提案書に「予定する対面助言の日程」を記載してください。

7. 治験実施計画書(シノプシス)

- 目的、対象、選択基準、除外基準、症例数、観察内容、介入内容、統計的手法、研究体制等の情報を記載してください。様式は自由です。応募時点で未作成の場合、「案」と明記の上、提出してください。

10. 経費等内訳・補助金項目シート

- 事業年度毎の補助対象経費は、経費等内訳・補助金項目シートの年度別経費内訳書に記載します。経費等内訳・補助金項目シートはフィージビリティスタディ用と国際共同治験用の2種類に分かれていますので、フィージビリティスタディを実施する課題は2種類を、実施しない課題は国際共同治験用の1種類のみを作成してください。

提案書類の提出方法

- 提案書類は、「府省共通研究開発管理システム(以下「e-Rad」)」を通じてご提出いただきます。
- e-Radは、各府省が所管する公募型研究資金制度の管理に係る一連のプロセス(応募受付→採択→採択課題の管理→成果報告・会計実績の登録受付等)をオンライン化する府省横断的なシステムです。
- 詳細は、<https://www.e-rad.go.jp/>をご参照ください。操作マニュアル、FAQ、お問い合わせ方法等について記載があります。
- **e-Rad以外の方法による応募は受け付けておりません。**特にe-Radの新規利用者は、研究機関/研究者の新規登録手続も必要であり、これらに要する日数も考慮の上、早めの対応をお願いします。

e-Rad
Research and Development

府省共通研究開発管理システム

▶ ホーム ▶ English

ログイン ▶

▶ ID・パスワードを忘れた方

e-Radとは 公募一覧 登録・手続き ▼ 操作マニュアル ▼ お問合せ方法

府省共通研究開発システム（e-Rad）は、各府省等が所管する競争的研究費制度を中心とした公募型の研究資金制度について、研究開発管理に係る手続きをオンライン化し、応募受付から実績報告等の一連の業務を支援するとともに、研究者への研究開発経費の不合理な重複や過度の集中を回避することを目的とした、府省横断的なシステムです。

e-Radは、公募型の研究資金制度を所管する関係9府省により運営しており、各府省の協力の下、内閣府がシステムの開発及び運用を行っています。

よくある質問と答え (FAQ)

科研費電子申請システム
科研費の応募、交付申請はこちら

審査

提案書類の審査（1）

事業における課題の採択に当たっては、提案書類について以下の観点に基づいて審査します。研究開発分担機関の必要性と、分担機関における研究開発の遂行能力等も審査の対象となります。

審査項目と観点：

A) 事業趣旨等との整合性

- 事業趣旨、目標等に合致しているか
- 各種要件を満たしているか

B) 科学的・技術的な意義及び優位性

- 現在の技術レベル及びこれまでの実績は十分にあるか
- 社会的・医療的ニーズに対応するものであるか
- 競合する国内外の技術や製品が調査され、独自性・優位性があるか

提案書類の審査(2)

審査項目と観点(続き):

C) 計画の妥当性

- 全体計画の内容と目的は明確となっているか
- 計画は具体的なもので、かつ、実現可能であるか
- 有効性・安全性・品質にかかる検討が具体的、かつ適切に計画されているか
- 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

D) 事業性

- 市場動向が分析され、海外を含めた事業化までの戦略(適応症拡大、知財戦略・差別化戦略も含む)が具体的かつ適切に検討されているか
- 事業化に至るまでの研究開発費の準備、あるいは資金調達が計画されているか
- 事業化のために解決すべき課題が明らかで、具体的な解決計画が提示されているか

E) 実施体制

- 役割分担が明確で、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
- 本事業に取り組めるだけの基盤(人員・マネジメント体制)を有するか
- 国内CROが積極的に活用されているか

F) 所要経費

- 委託先・外注先を含め、補助対象経費の総額・内訳・支出計画が有効かつ効率的か
- 委託先・外注先を含め、経費の内訳、支出計画等は妥当であるか

スケジュールおよび問い合わせ先

提案書類の受付期間・選考スケジュール

提案書類受付期間	令和8年4月1日(水)～5月29日(金)正午
書面審査	令和8年7月上旬～令和8年7月下旬(予定)
ヒアリング審査	令和8年8月下旬(予定)
採択可否の通知	令和8年9月中旬(予定)
研究開発開始(契約締結等)日	令和8年10月以降順次(予定)

問い合わせ先:

本公募に関する質問は、AMED 革新的医療技術研究開発推進事業(産学官共同型)グローバルタイプ(難病・希少疾病治療グローバル研究開発支援事業)のホームページをご確認の上、下記よりお問い合わせください。

grit@amed.go.jp