

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業について

令和8年6月

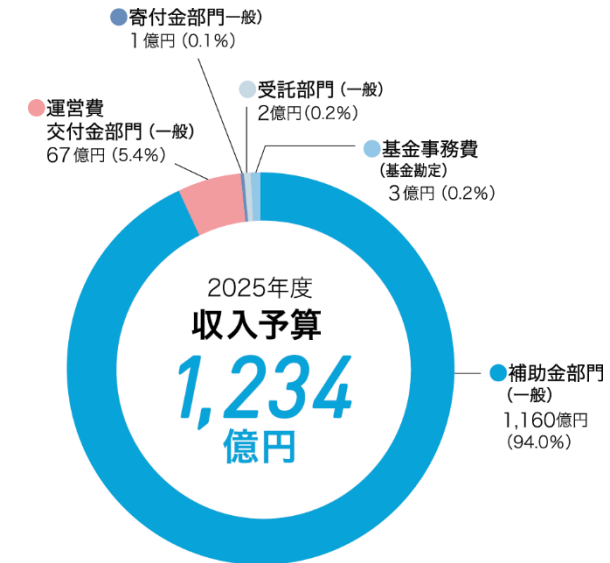
国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（AMED）

創薬事業部 創薬企画・評価課 創薬支援室

ひとめでわかる！AMED

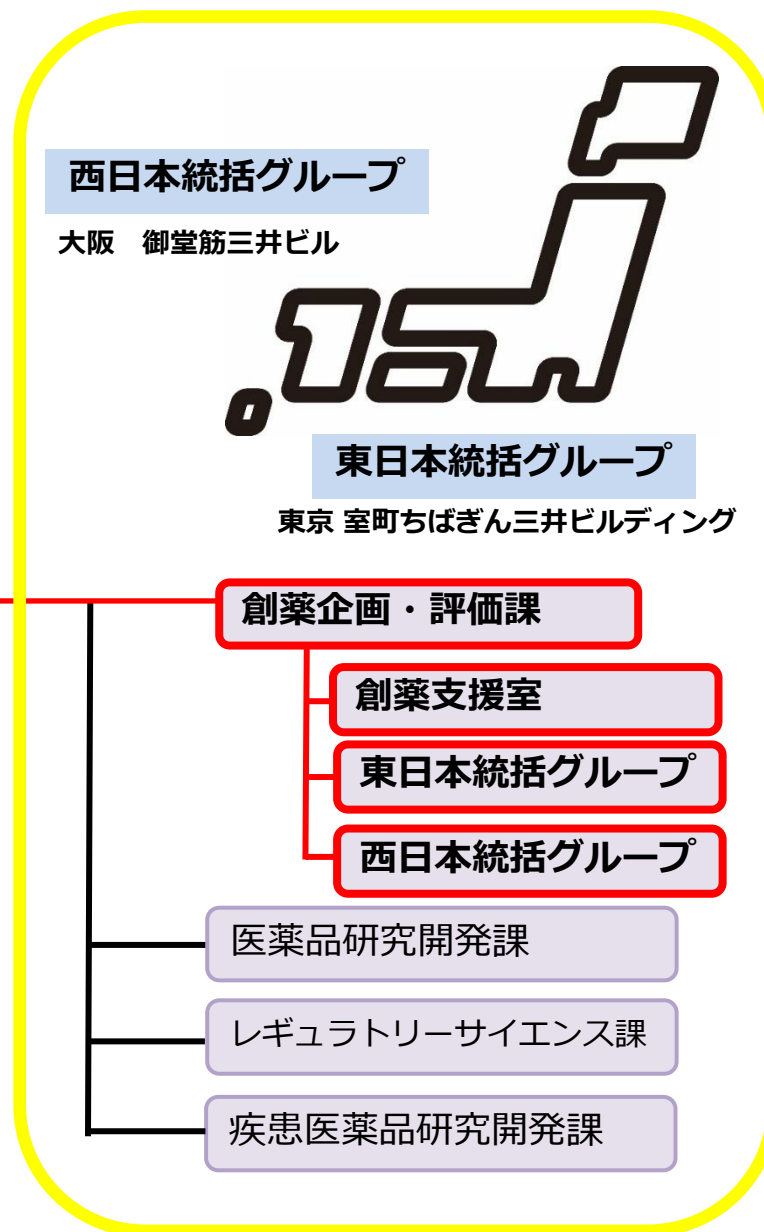
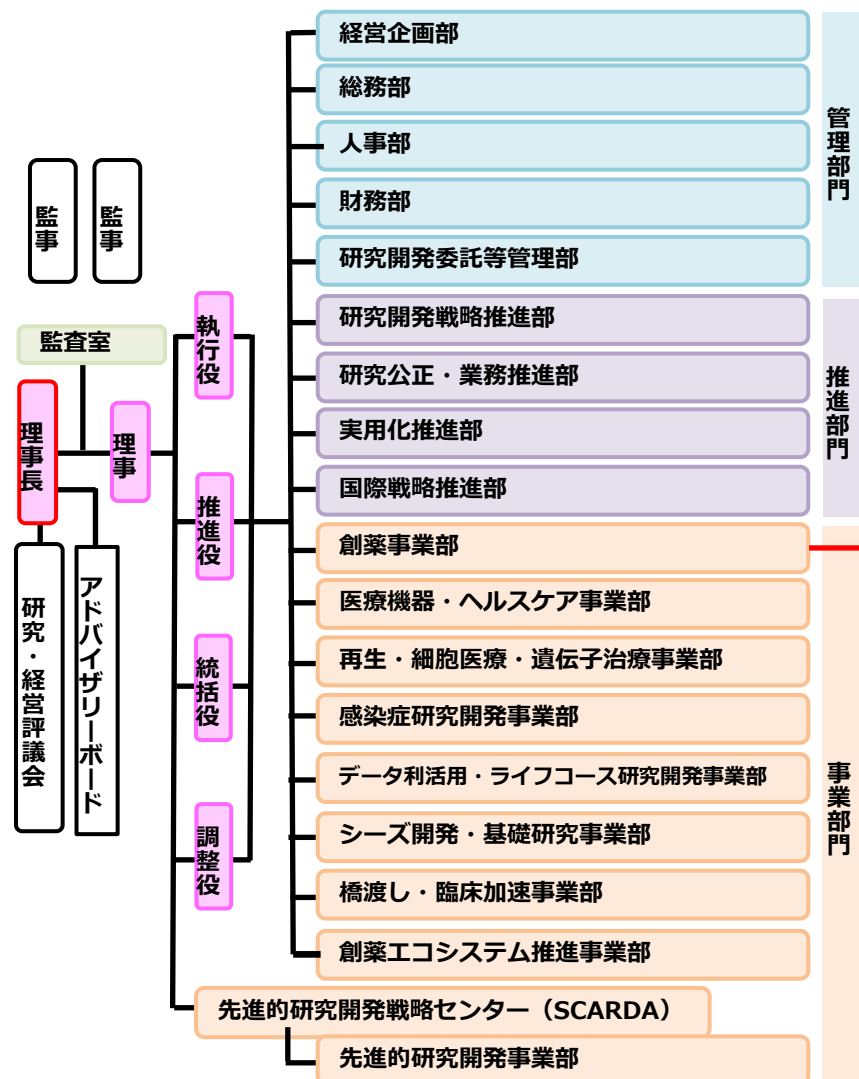
支出予算の内訳と事業

※2025年度の支出予算（2025年3月時点）
※上記経費に加え、内閣府に計上される「科学技術イノベーション創造推進費（555億円）」のうち、175億円を医療分野の研究開発関連の調整費として充当される見込
※内訳は単位未満を四捨五入している



※2025年度の収入予算（2025年3月時点）
※支出予算の「基金等その他事業」に係る収入は、「基金事務費」のみを計上
※上記経費に加え、内閣府に計上される「科学技術イノベーション創造推進費（555億円）」のうち、175億円を医療分野の研究開発関連の調整費として充当される見込
※当初予算のうち「競争的資金事務費」を除く

AMED組織体制図 R8年6月1日現在



創薬企画・評価課における担当事業

創薬支援推進事業

創薬総合支援

- ・ 創薬総合支援事業（創薬ブースター）
- ・ 創薬ナビ（無料相談事業）
- ・ 創薬シーズ実用化支援基盤整備事業（創薬支援推進ユニット）

創薬支援効率化

- ・ ニューモダリティコンソーシアム（Nモダコンソ）
- ・ 産学連携による創薬AIプラットフォーム開発（DAIIA-X）

希少疾病用医薬品指定前支援

- ・ 希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業（プレオーファン）

【プレオーファン事業 事務局】

創薬事業部 創薬企画・評価課 創薬支援室

✉: プレオーファン連絡・応募受付窓口(id3preo@amed.go.jp)

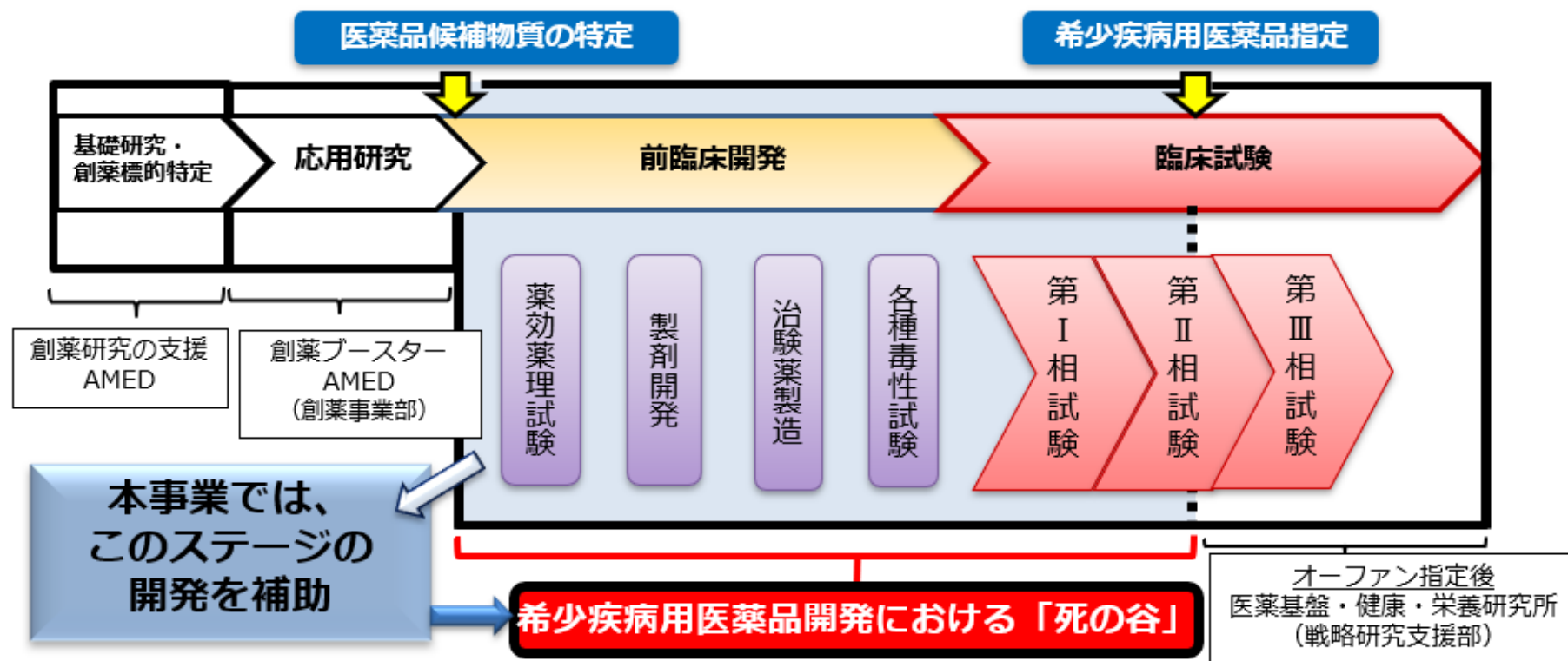
事業ウェブサイト(事業紹介ページ):

https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/001_03-01.html

事業紹介ページ



希少疾病用医薬品指定前における支援事業の背景



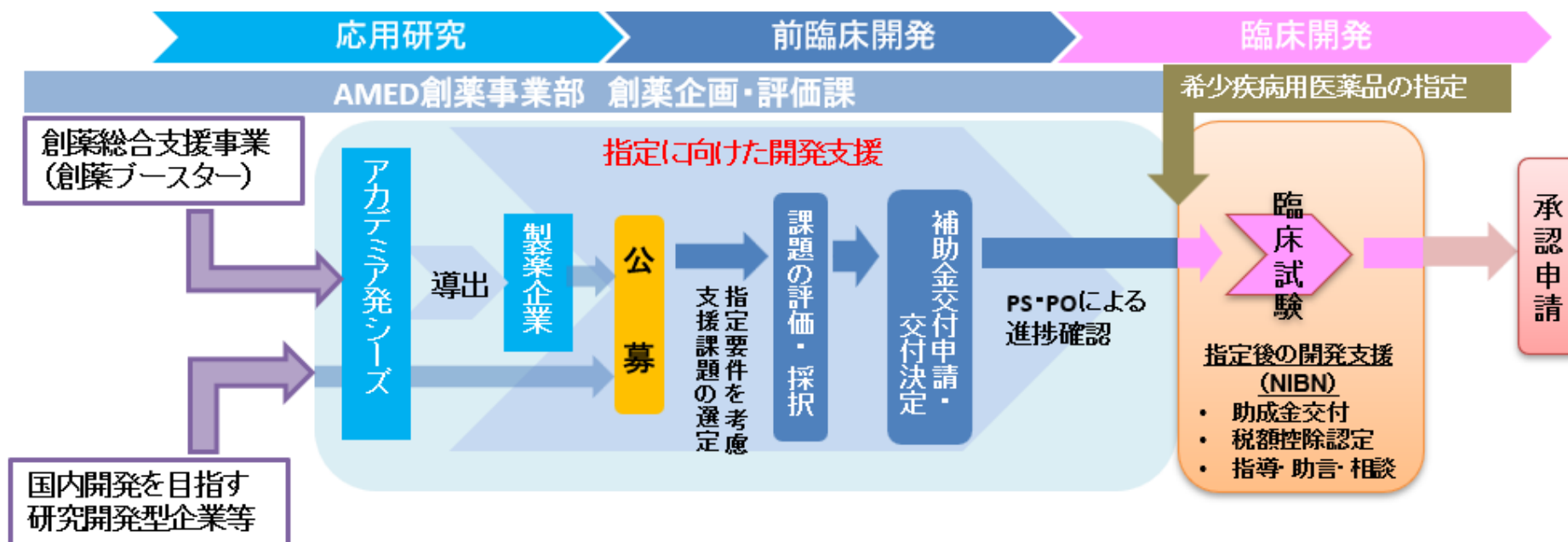
- ◆ オーファン指定前の幅広い開発【非臨床～臨床試験】ステージにおける企業等への支援・助成の仕組みとして、平成27年度より、AMEDにおいて、企業等を対象にした希少疾病用医薬品指定を受ける可能性のある開発品目の開発費の補助事業を開始
- ◆ 補助対象には、ドラッグ・リポジショニングの開発も含まれる

＜オーファン指定前支援＞ 「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任指定を受け、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。

事業の概要（１）

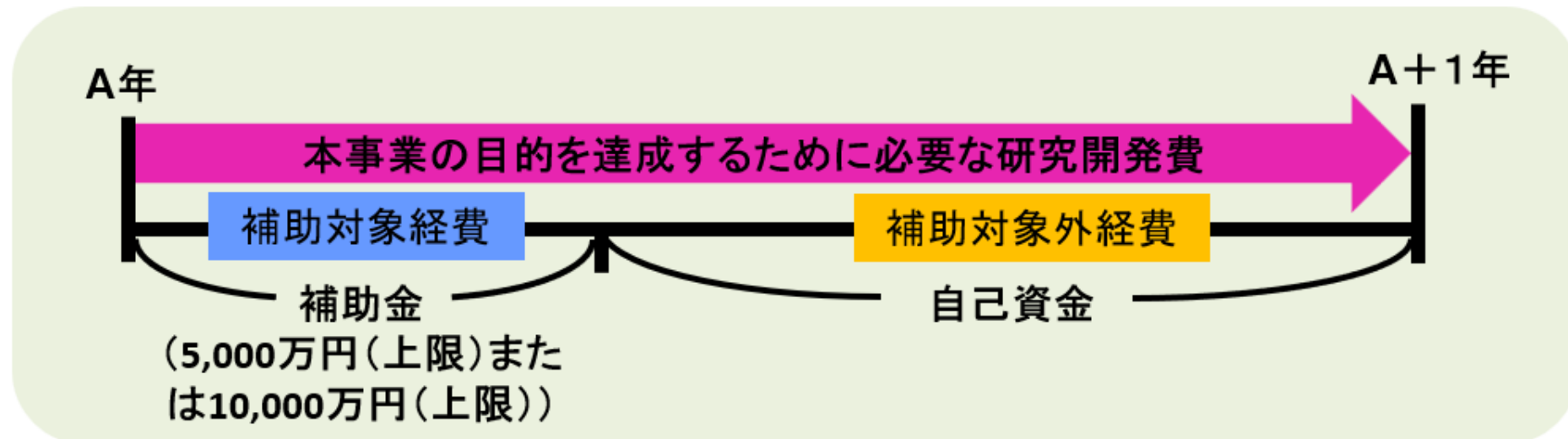
事業の内容：

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推進するため、その環境整備の一環として、**研究開発費用の一部を補助する。**

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(上限)/年**

ヒト初回投与試験以降：**10千万円(上限)/年**



事業の概要（２）

● 補助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（遺伝子治療を含む）は対象外

● 補助対象者

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**国内の研究開発型企业等**

- ・ 同一企業等が複数の開発品目について補助を受けることは可能
- ・ 複数社にて共同開発する品目の場合、共同又は企業別の単独で補助を受けることの、いずれも可能
- ・ 同一品目に対して複数の採択は行わない
※複数の疾患に対して並行して開発を進めている場合は、特定の一疾患を対象疾患として補助を受けることになる。

● 補助期間

最長 3 事業年度

- ✓ ただし、以下の場合は「**指定日**」又は「**AMEDが補助金交付の廃止を決定した日**」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
 - ・ 研究開発を中止した場合、等
- ✓ 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

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研究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	研究用設備・備品・試作品、ソフトウェア（既製品）、研究用物品、書籍、研究用試薬・材料・消耗品など
	人件費※・謝金 （※交付決定額の20%を限度）	人件費：当該研究開発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、被験者等への謝金
	その他	上記のほか、当該研究開発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）

● 研究開発遂行に係る経費とは？

たとえば・・・

- 品質試験、非臨床試験、臨床試験等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)
- ✓ 企業等が直接的に支援課題の研究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）

- 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研究開発費は対象外

(d) 企業等が直接的に本課題の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、AMED事務局へご相談ください。

収益状況報告及び収益納付について

■ 収益状況報告

補助金等に係る予算の執行の適正化に関する法律により、補助事業等の完了により研究機関等に相当の収益が生ずると認められる場合においては、その交付した補助金等の全部又は一部に相当する金額を国に納付していただきます。そのため、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。

■ 納付金

事業者は、補助事業の実施結果の事業化による利益（上市後の売上による利益）が生じたと認めるときは、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。

具体的な納付額の計算式は、「[補助金収益状況報告書](#)」*よりご確認ください。[*令和8年度 事務処理説明書・様式集](#)

また、P38 「よくあるご質問⑩」をご参照ください。

※収益納付は個々の事例について検討させていただきます。
収益納付の可能性がある場合には、事前にAMED事務局にご相談ください。

スタートアップ企業の財務状況確認について

AMEDでは、設立10年以下の中小企業をスタートアップ企業として、支援対象とする場合には当該企業等の財務状況に係る下記資料のご提出をお願いしています。

- 公募への提案時・採択時

法人税申告書一式と資金繰り表(予定される補助事業期間分)

- 支援期間中(最長3事業年度)

最新の法人税申告書一式と各年度の資金繰り表

※追加の財務関連資料や出資情報等をお願いする場合があります。
ご協力をよろしくお願いいたします。

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業に係る採択課題（1）

平成27年度公募

研究開発課題名	採択企業名
抗凝固作用を有する薬剤の新規効能追加	旭化成ファーマ株式会社
膿疱性乾癬の治療薬	SBIバイオテック株式会社
全身性アミロイドーシスに対するGSK2315698及びGSK2398852の開発	グラクソ・スミスクライン株式会社
遠位型ミオパチーに対する <i>N</i> -アセチルノイラミン酸の開発(※1)	ノーベルファーマ株式会社
デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するNPC-14(アルベカシン硫酸塩)の開発	ノーベルファーマ株式会社
マラリアワクチン	ノーベルファーマ株式会社
悪性神経膠腫の治療用放射性医薬品	富士フイルムRIファーマ株式会社
抗FGF2アプタマーを用いた軟骨無形成症治療薬の開発	株式会社リボミック

※1 令和3年2月19日付で希少疾病用医薬品に指定、令和6年3月にアセノベル徐放錠500mgとして「縁取り空砲を伴う遠位型ミオパチー」に対する治療薬として製造販売承認を取得

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業に係る採択課題（2）

平成28年度公募

研究開発課題名	採択企業名
組換えヒトHGF蛋白質による脊髄損傷急性期治療薬(※2)	クリングルファーマ株式会社
ポリ硫酸ペントサンナトリウム(NaPPS)	株式会社レクメド

※2 令和元年9月12日付で希少疾病用医薬品として指定

平成29年度公募

研究開発課題名	採択企業名
脊髄性筋萎縮症治療薬(TEC-1)の開発	株式会社リボルナバイオサイエンス
難治性炎症性腸疾患治療薬の開発(PEG化アドレノメデュリン)	ひむかAMファーマ株式会社

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業に係る採択課題（3）

平成30年度公募

研究開発課題名	採択企業名
難治性血管奇形の治療薬の開発(ART-001)（※5）	ARTham Therapeutics株式会社
強直性脊椎炎の治療薬の開発(FPP003)	株式会社ファンペップ
悪性神経膠腫の治療用放射性医薬品の開発(FF-10158)	富士フイルム富山化学株式会社
特発性肺線維症治療薬の開発(TRK-250/ BNC-1021)	東レ株式会社

※5:令和8年3月19日付で希少疾病用医薬品として指定

平成31年度公募

研究開発課題名	採択企業名
レボドパ誘発ジスキネジアの治療薬の開発	株式会社三和化学研究所
新規重症筋無力症治療薬の開発	日本製薬株式会社

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業に係る採択課題（4）

令和2年度公募

研究開発課題名	採択企業名
常染色体遺伝性皮膚疾患治療薬の開発	田辺三菱製薬株式会社
新規類天疱瘡治療薬の開発(ART-648)	ARTham Therapeutics 株式会社
肝移植後のHBV感染・再燃を予防する新規B型肝炎ワクチンの開発(BCL-201)	株式会社ビークル

令和3年度公募（提案数：25件）

研究開発課題名	採択企業名
低流速型脈管奇形の治療薬の開発(ART-001)(※5)	ARTham Therapeutics 株式会社
全身性強皮症の治療薬の開発	大正製薬株式会社
特発性肺線維症の治療薬の開発(ND-L02-s0201)	日東電工株式会社
特発性肺線維症の治療薬の開発(HL001)	HiLung株式会社
スプライシング変異遺伝病治療薬の開発(RECTAS)	株式会社BTB創薬研究センター
抗FGF2アプタマー(RBM-007)を用いた軟骨無形成症治療薬の開発(※3)	株式会社リボミック

※3:令和7年5月30日付で希少疾病用医薬品として指定

※5:令和8年3月19日付で希少疾病用医薬品として指定

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業に係る採択課題（5）

令和4年度公募（提案数：27件）

研究開発課題名	採択企業名
Cellm-001による初発膠芽腫治療効果無作為比較対照試験	セルメディシン株式会社
ハンナ型間質性膀胱炎の治療薬の開発(TAGX-0003)	タグシクス・バイオ株式会社
家族性高コレステロール血症(ホモ接合体)治療薬の開発(PRD001)	PRD Therapeutics 株式会社
アグレッシブNK細胞白血病治療薬(PPMX-T003)の開発	株式会社ペルセウスプロテオミクス

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業に係る採択課題（6）

令和5年度公募（提案数：22件）

研究開発課題名	採択企業名
新規作用機序を有する難治性MRSA感染症治療薬の開発(ライソシンE)	株式会社ゲノム創薬研究所
骨髄増殖性腫瘍に対するファースト・イン・クラス抗体薬	Meiji Seika ファルマ株式会社
網膜中心動脈閉塞症に対する画期的治療薬の開発(KUS121 Injection)（※4）	株式会社京都創薬研究所
悪性胸膜中皮腫核酸医薬の開発(MIRX002)	株式会社PURMX Therapeutics

※4:令和7年11月27日付けで希少疾病用医薬品として指定

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業に係る採択課題（7）

令和6年度公募（提案数：21件）

支援中

研究開発課題名	採択企業名	備考
クロイツフェルト・ヤコブ病治療薬の開発(P092 マレイン酸塩)	ノーベルファーマ株式会社	(ヒト初回投与試験実施前)
特発性肺線維症治療薬HL001の開発	HiLung株式会社	(ヒト初回投与試験実施前)
成長ホルモン分泌不全性低身長症に対する経口薬の開発(SCO-240)	株式会社スコヒアファーマ	(ヒト初回投与試験以降)
再発・難治性悪性神経膠腫に対する放射性治療薬の開発(^{64}Cu -ATSM)	リンクメッド株式会社	(ヒト初回投与試験以降)
21水酸化酵素欠損症治療薬の開発(S-483)	株式会社スコヒアファーマ	導出し、令和7年度に事業廃止

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業に係る採択課題（8）

令和7年度公募（提案数：24件）

支援中

研究開発課題名	採択企業名	備考
悪性胸膜中皮腫の新規がん免疫療法 の開発(経口がん治療ワクチン B440)	株式会社イムノロック	(ヒト初回投与試験以降)
アグレッシブNK細胞白血病治療薬 (PPMX-T003)の開発	株式会社 ペルセウスプロテオミクス	(ヒト初回投与試験以降)
歯状核赤核淡蒼球ルイ体萎縮症 (DRPLA)の治療薬開発	株式会社三和化学研究所	(ヒト初回投与試験実施前)
抗PD-L1抗体-色素複合体(RM- 0256)を用いた進行・再発の上皮系 皮膚悪性腫瘍の治療薬の開発	楽天メディカル株式会社	(ヒト初回投与試験実施前) ⇒ヒト初回投与試験以降

(参考) 令和8年度公募情報

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(上限)

ヒト初回投与試験以降 : 10千万円(上限)

補助事業期間: 3年間(令和8年度～10年度)

新規採択課題予定数:

ヒト初回投与試験実施前: 0～3課題

ヒト初回投与試験以降 : 0～2課題



※令和8年度公募は終了しています。

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業に係る採択課題（9）

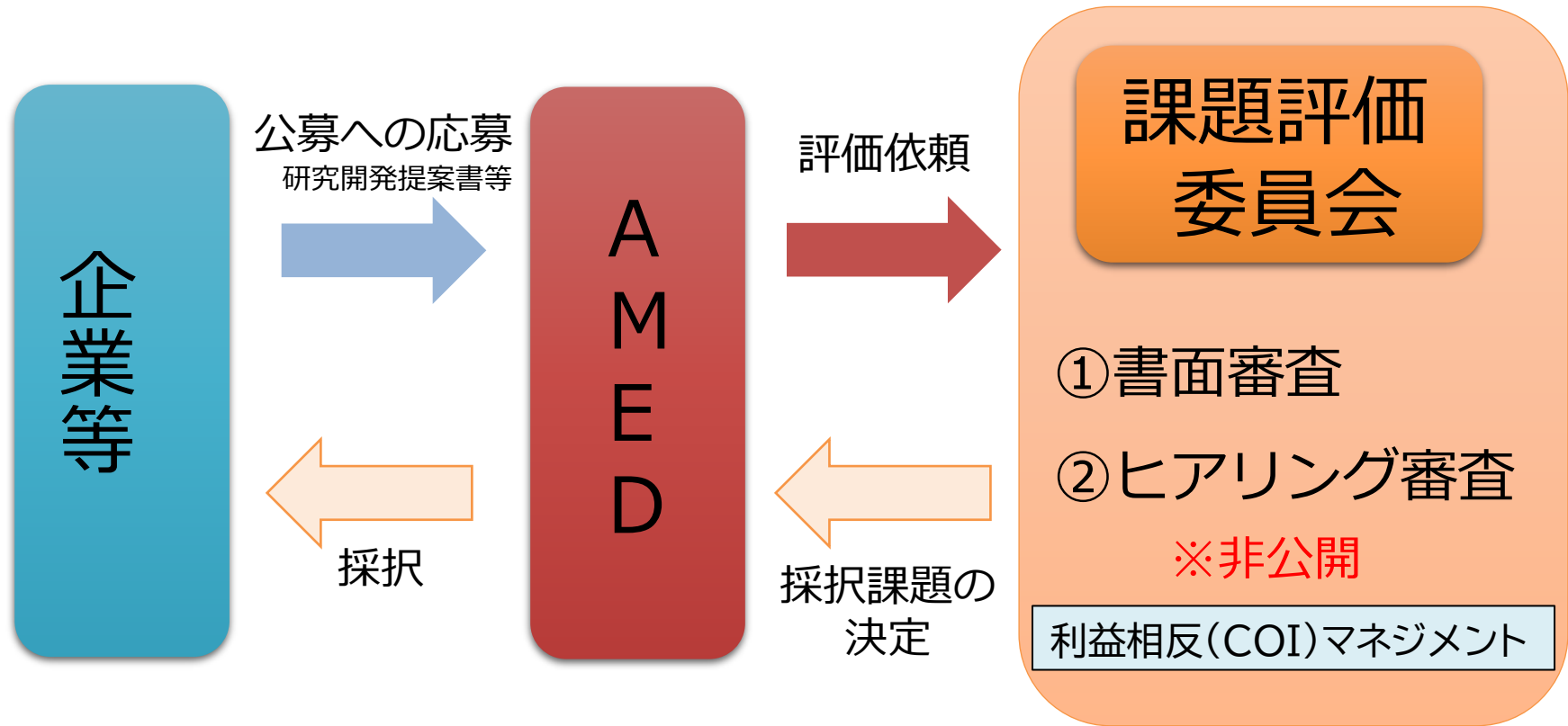
令和8年度公募（提案数：21件）

支援中

研究開発課題名	採択企業名	備考
切除不能な進行再発食道癌に対するBNCT用ホウ素医薬品の開発(ボロファン(¹⁰ B))	ステラファーマ株式会社	(ヒト初回投与試験以降)
特発性肺線維症に向けた細胞外小胞治療用製剤(EM-001)の臨床開発	株式会社EVerMed	(ヒト初回投与試験実施前)
新規作用機序を有する難治性MRSA感染症治療薬の開発(ライソシンE)パート2	株式会社 ゲノム創薬研究所	(ヒト初回投与試験実施前)

採択までの流れと評価項目

応募から採択までの流れ



(参考) 研究開発提案書における記載内容



令和8年度公募での研究開発提案書には、主に以下の項目について記載していただきました。

- 法人概要(経営体制・経営陣について)
- 研究の背景・目的、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(研究開発費)の必要性
- PMDAとの相談実績の概要
- 期待される収益性の概略
- 実用化の全体計画
- 実用化における課題
- 本事業における年度別計画・到達目標(実現可能なスケジュールで計画されているか)
- 研究の将来展望、希少疾病用医薬品指定の可能性
- 研究開発代表者及び研究開発分担者に関する情報
- 実施体制図
- 研究開発の主なスケジュール
- 各年度別経費内訳
- これまでに実施した開発品目の試験及び費用の概算
- 研究・開発の業績
- 研究費の応募・受入等の状況・エフォート(他機関で獲得した研究費の情報を含む)
- これまでに受けた研究費とその成果等
- 本研究開発課題を実施する上で特に考慮すべき事項等

※令和8年度公募は
終了しています。

採択までの流れと評価項目

書面審査及びヒアリング審査の評価項目は、下記のとおりです。

評価項目	観点
①事業趣旨等との整合性	・ 本事業の事業趣旨、目的等に合致しているか
②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 ・ 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 ・ 新技術の創出に資するものであるか ・ 社会的ニーズに対応するものであるか ・ 医療分野の研究開発に関する国の方針に合致するものであるか
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 ・ 品質・有効性・安全性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
④実施体制	・ 研究開発代表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 ・ 十分な連携体制が構築されているか ・ 主要な研究参加者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 ・ 必要に応じ、規制当局等との相談がなされているか
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	・ 研究開発期間終了後、実用化に向けて明確な見通しがあるか ・ 研究開発成果には希少疾病用医薬品指定へつながる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があるか ・ 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

希少疾病用医薬品の研究開発に 当補助金の活用をぜひご検討ください。

【お問い合わせ先】

創薬事業部

創薬企画・評価課 創薬支援室

E-mail: **id3preo**@amed.go.jp

https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/001_03-01.html

<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？

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採択や支援の差はありません。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。

AMED内の他事業の競争的研究費や、他団体の助成金等の支援を受けている場合も応募可能か？

同一の研究開発内容でAMED他事業や他団体の支援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。

なお、本事業への応募段階において、他の事業や助成金等への応募を制限するものではありませんが、他の事業や助成金等に採択された場合には速やかにAMEDの本事業担当課に報告してください。この報告に漏れがあった場合、本事業において、採択の決定の取消し等を行う可能性があります。

<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。

提出いただいた開発計画に基づき、課題評価委員会で審査の上で、採択可否を判断します。

国際共同治験に関しては、補助対象となる経費は、企業等が日本国内での承認取得を目指した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？

補助金を交付する観点から、原則として、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」を指します。

ご不明な点は、AMED事務局までお問合せください。

<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、公募への提案時は対象疾患は特定の一疾患のみ支援対象とします。

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、剤形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>

補助対象経費の計上にあたり、特に注意すべき点はあるか。

補助金交付の申請は、事業年度ごとに行っていただきます。

各年度の、調達における発注・契約から納品・検収は研究開発期間（同一年度）内、支払いは研究開発期間終了日の翌々月末日（当該年度の3月31日までの場合は翌年度の5月31日）までに行われることが原則です。

詳細は「[令和8年度版 事務処理説明書](#)」よりご確認ください。

なお、補助対象とする経費の発注（外注費の場合、契約締結）は、補助金の交付決定日以降である必要がありますので、これより前の発注は対象外となることにご留意ください。

<よくあるご質問⑦>

補助事業期間中にヒト初回投与試験を開始する場合、各年度の補助金額は5千万円（上限）／10千万円（上限）のどちらになるのか？

例えば補助事業2年度目の途中にヒト初回投与試験を開始し、当該試験を本事業の補助のもとで実施する計画の場合、補助金額は1年度目及び2年度目は5千万円（上限）、3年度目は10千万円（上限）として応募していただきます。なお、年度途中で、ヒト初回投与試験実施前からヒト初回投与試験以降に移行する場合には、計画変更の妥当性や本事業予算の執行状況等を勘案して、当該年度の研究開発費が10千万円（上限）となるよう追加交付の可否を決定します。

本事業でのヒト初回投与試験開始以降とは、初回治験計画届を提出し、PMDAの30日調査を終了した段階以降とします。なお、既承認品目の場合は、対象疾患の臨床データパッケージに含まれる新たな臨床試験に係る治験届を提出した段階とします。ヒト初回投与試験のための治験薬製造や、試験開始前のPMDAとの対面助言の段階での補助金額は5千万円（上限）となります。

また、開発段階がヒト初回投与試験以降の場合でも、当該年度における補助対象となる試験が非臨床試験のみの場合、補助金額は5千万円（上限）となります。

<よくあるご質問⑧>

研究開発代表者等が開催する会議や、PMDAとの相談に、AMED職員も同席することは可能か？

本事業は補助事業であり委託研究開発とは異なるため、原則、AMED職員は同席いたしません。

<よくあるご質問⑨>

応募課題の対象疾患が希少疾患に該当するかの判断はどのように考えれば良いか？

希少疾病用医薬品の指定基準については、厚生労働省のHP*を参照いただければと思いますが、希少疾病用医薬品の指定を受ける可能性のある疾患であれば、本事業による支援は可能です。

* <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>

なお、該当するかの判断が難しい場合には、『「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について』（令和6年1月16日、二課長通知）における

(1) 対象患者数 ウ「指定対象となる疾患の範囲」の項や関連する通知のQ&Aも参考に、公募へ応募する対象疾患が、当該通知における「輪切り」には該当しないと考える根拠を、提案書等の資料においてご説明ください。

<よくあるご質問⑩>

開発品目において収益が発生した場合、納付はどのようなのか？

当事業で公募に採択され、補助金による支援を受けた開発品目において、上市前の研究開発期間中に発生した収益は納付の対象外とします。

ただし、上市後の売上からの利益※は納付の対象です。

納付対象か否かによらず、支援を受けた研究開発の完了した日の属する会計年度の翌年度以降5年間は、毎会計年度決算確定後20日以内に、支援を受けた研究開発に係る過去1年間の収益状況を補助金収益状況報告書の提出によってプレオーファン事業事務局 (id3preo@amed.go.jp) へ報告してください。

注意) 上記は当事業独自の運用となります。納付が発生する可能性がある場合には、事前に事業事務局へご相談ください。

※実際の納付額は、収益状況報告書の「事業化実績報告書」に記載している計算式等に則って控除額等を計算し、対象となる利益から算出します。