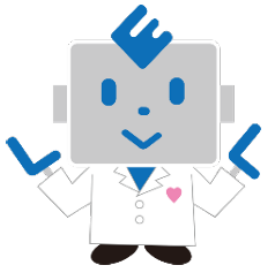
国立研究開発法人日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

令和９年度
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．希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業の概要・・P3-5

２．令和９年度公募・選考について・・・・・・・・・・ P6-20

３．採択決定後の手続き等・・・・・・・・・・・・・・・P21-24

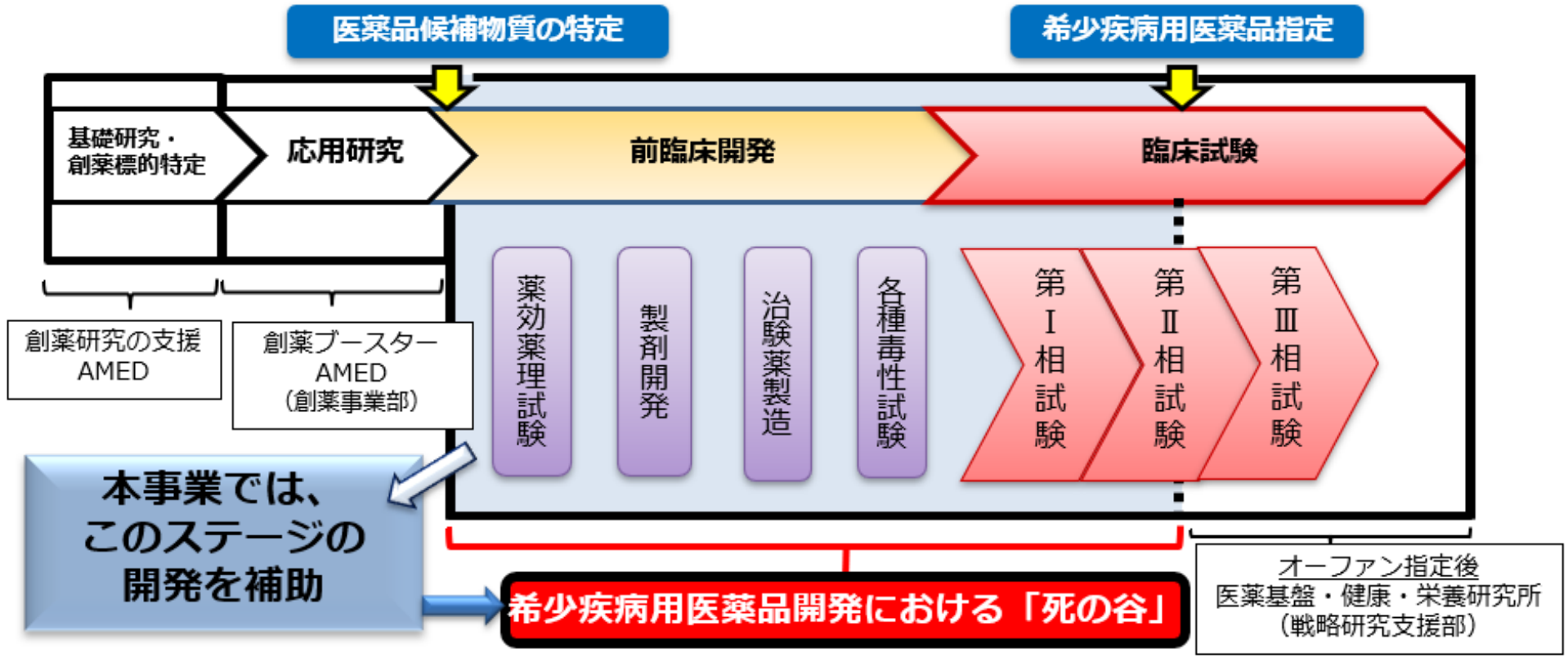
４．収益状況報告及び収益納付について・・・・・・・P25-26

５．その他（よくあるご質問等）・・・・・・・・・・・P27-41

６．その他、ご質問事項等の照会先・・・・・・・・・・P42

１．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

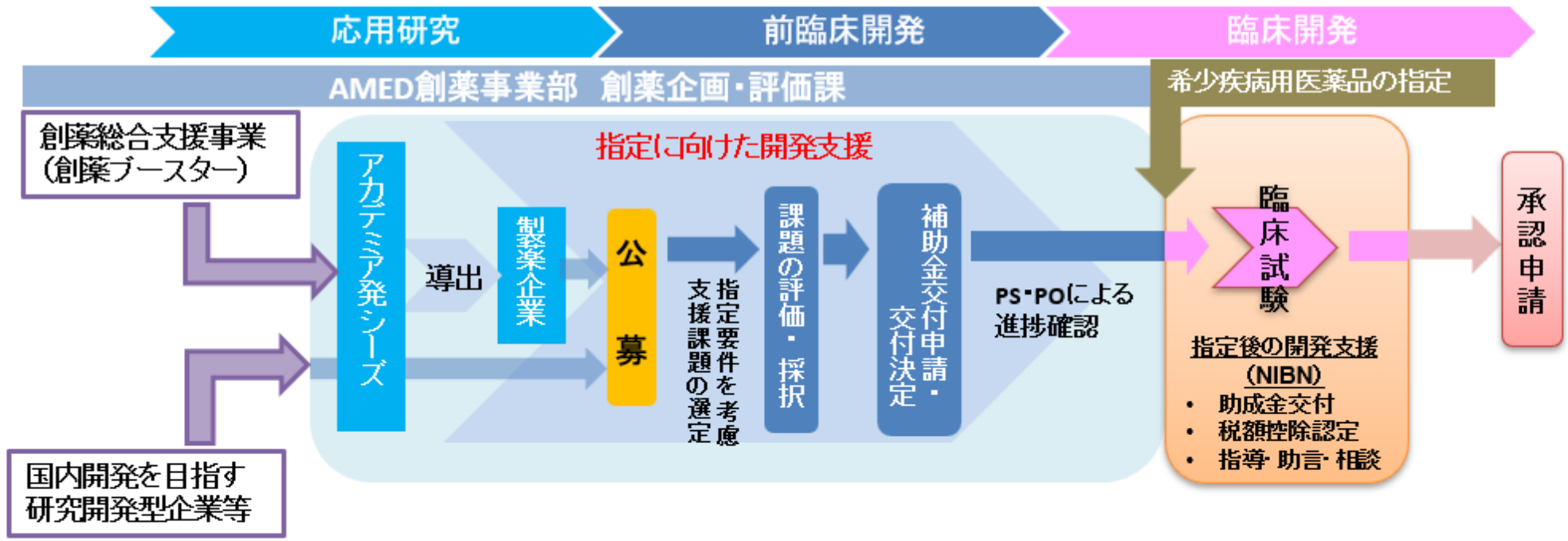


- オーファン指定前の幅広い開発【非臨床～臨床試験】ステージにおける企業等への支援・助成の仕組みとして、平成２７年度より、AMEDにおいて、企業等を対象にした**希少疾病用医薬品指定を受ける可能性のある開発品目の開発費の補助事業を開始**
- **補助対象には、ドラッグ・リポジショニングの開発も含まれる**

＜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。

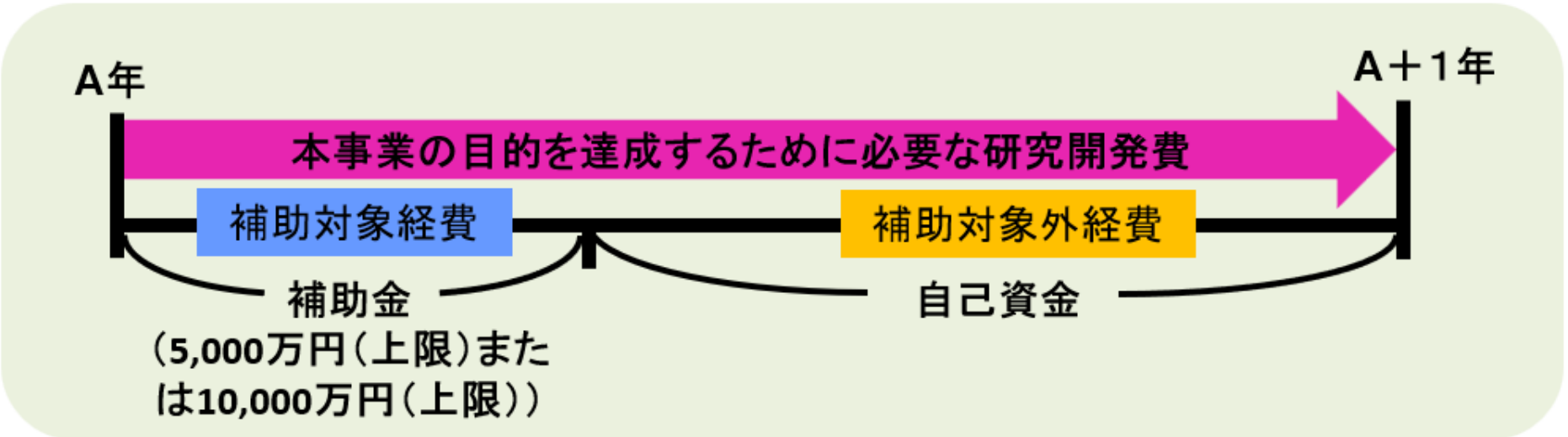
2．令和9年度公募・選考について

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



公募対象課題の概要（2）

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
（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）は本事業の支援対象外です。

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（非臨床段階）：5千万円（上限）
ヒト初回投与試験以降（臨床段階）　：10千万円（上限）

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

事業の概要（３）

● **研究開発期間：令和９年度～令和11年度**

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

公募対象課題の概要（4）

●公募へ応募が可能なのは・・・

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国内の研究開発型企業等

- 同一企業等が複数の開発品目について申請可能
- **同一品目で、複数の対象疾患の開発に係る提案はできません。**

※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に絞って提案ください。

- 本事業で支援中（ただし支援期間の最終年度である場合を除く）の品目は、異なる対象疾患であっても提案できません。
- 複数企業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

公募ウェブサイトに掲載している「応募書類送付前チェックリスト」にも、その他の要件を記載しております。応募の際の確認にご活用ください。

応募資格者

研究開発代表者：以下(1)～(9)の要件を満たす国内の企業等に所属する研究者

(1)以下の(A)から(C)までに掲げる研究機関等に所属していること。
　(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
　(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)研究開発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。)及び研究開発データの取扱いに対して、責任ある対処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、収益状況報告、追跡調査等AMEDの求めに応じて協力すること。
(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はない。

**大学、公的研究機関は、研究開発代表機関になることはできません。
研究開発代表機関から医師主導治験を委託され、治験調整医師または治験責任医師を担う医師が所属する大学、公的研究機関は、医師主導治験を実施する年度に限り、研究開発分担機関として参画できます。**

提案書の提出について

○研究開発提案書の様式の入手方法

AMED　ホームページからダウンロード
（https://www.amed.go.jp/koubo/03001/03/B 00004.html）

○提案書類受付期間　令和8年10月1日（木）～令和8年11月4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。
- 受付期間が令和8年度公募以前とは異なっておりますのでご注意ください。

○提出方法

E-mail添付により下記メールアドレスへ送付
id3preo@amed.go.jp

※提出書類の容量が多い等でメール添付が困難な場合は、申請機関のクラウド等で提出してください。

※e-RADへの登録は不要です。

応募に必要な書類について

公募要領 Ⅰ - 第4章

No.	必須／任意	書類
1	必須	研究開発提案書
2	必須	応募課題登録表
3	必須	研究マネジメントに関してのチェック項目記入表
4	①②スタートアップ企業等の場合は必須 ③　※3参照	①財務スコアリング※1、②法人税申告書一式※2、 ③資金繰り表※3
5	任意 / 実施している場合は必須	PMDAの対面助言の記録等
6	任意 / 該当する場合は必須	臨床試験に関する資料等
7	必須	応募書類送付前チェックリスト

※1 財務診断資料：経営自己判断システムhttps://k-sindan.smrj.go.jp/
※2 財務諸表を含む、研究開発代表機関の直近3年分の法人税申告書一式を一続きの PDF として提出してください。
※3 原則、スタートアップ企業等については、ヒアリング対象課題に選定後、資金繰り表（支援開始から12ヶ月以上）もあわせて提出いただきます。
〇研究マネジメントに関してのチェック項目記入表に関する説明及びダウンロードはAMEDホームページをご参照ください。
https://www.amed.go.jp/koubo/iyakuhin check.html
〇臨床試験に関する資料等は、治験実施計画書等を提出してください。

令和９年度の公募スケジュール

公募要領　I-2.2項

公募期間
・令和8年10月1日(木)～令和8年**11月4日(水)正午(厳守)**

書面審査
・令和8年11月上旬～令和8年12月上旬(予定)

ヒアリング審査
・令和9年1月13日(水)、14日(木)（予定）　※Web開催

採否通知
・令和9年2月中旬(予定)

交付決定
・令和9年4月上旬(予定)

評価項目と観点

公募要領 I-5.1.2項

評価項目	
①事業趣旨等との整合性	・本事業趣旨、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	・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 ・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／過度の集中はないか ・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	・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

各評価項目では何をみるのか？

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す。

- ✓ 法人概要（経営体制・経営陣のプロフィールについて）
- ✓ 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（実現可能な研究計画と到達目標を設定してください。）
- ✓ 研究開発の将来展望、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
- ✓ 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
- ✓ 開発候補品のTPP

提案書類作成上の注意

〇法令・指針等の遵守（公募要領II-5.1.1項）

〇研究開発課題の提案に対する機関の承認（公募要領I-4.1.3項）

複数の研究機関が共同で研究を実施する研究提案を提出する場合には、参加する全ての研究機関の了承を得てください。

〇提案内容の調整（公募要領I-4.1.3項）

研究開発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、採択された研究開発課題の実施に当たって、割り当てられる経費・実施期間は、予算の制約等により変わる場合があります。

〇対象外となる提案（公募要領I-4.1.3項）

- 単に既製の設備・備品の購入を目的とする提案
- 本研究開発課題に使用しない設備・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提案

補助対象となる経費（１）

公募要領　Ⅱ - 第4章4.2項

○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 （人件費は、交付決定額の20％を上限とする）	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？

例えば、

・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

※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、

- **国内外を問わず研究開発代表機関が直接契約するもの（委託費、外注費を含む）**
- **研究開発代表機関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**

補助対象となる経費（３）

公募要領　Ⅱ - 第4章4.2項

○経費計上に当たっての留意事項

A）物品費：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。
　　消耗品については、取得価格の上限はない。

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）研究開発代表機関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、企業等の研究開発代表機関及び研究開発分担機関においては、間接経費／一般管理費を計上できません。
研究開発代表機関から委託され、医師主導治験を実施する治験調整医師又は治験責任医師が所属する機関は当該実施年度において研究開発分担機関として事業計画に参画し、委託された実施項目の直接経費の30%を上限として間接経費を計上できます。

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事務局にご相談ください。

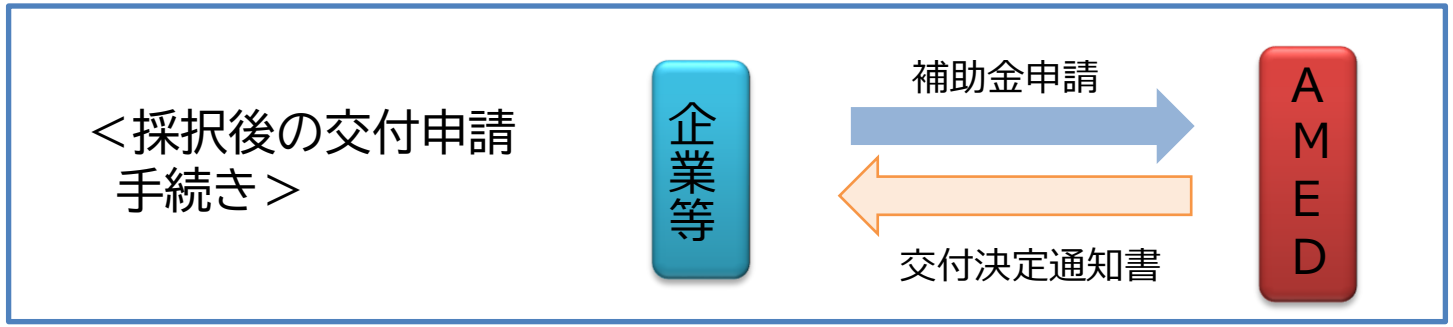
3．採択決定後の手続き等

採択決定後の手続き等

○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、下記を開始してください。

- 研究開発計画書等の作成
- 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.html（令和8年度版）

採択決定後の手続き等（補足）

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

「令和8年度版　事務処理説明書」は、AMEDホームページ（https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki.html）からダウンロードできます。

採択課題の管理と評価

公募要領 Ⅱ－第5章、第6章

○課題管理

- 毎年度、補助金取扱要領に基づき、実績報告書の別添として、成果報告書の提出を求めます。（提出をお願いする資料は適宜変更する場合があります）
- プログラムスーパーバイザー（PS）、プログラムオフィサー（PO）等が進捗管理を実施し、研究の進捗状況を示す書類、個別課題ごとの面談、サイトビジット（研究開発実施場所における実際の研究開発状況の確認）等を通じて研究計画の実現を図っていきます。
- 採択課題の研究開発計画書等と照らし合わせて、進捗状況等により、計画の見直しや課題の廃止を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。
（事後評価報告書の提出、適宜ヒアリング審査を実施）
- 必要と認める課題については時期を問わず中間評価を実施し、研究開発計画の達成度や研究開発成果等を評価します。

４．収益状況報告及び収益納付について

収益状況報告及び収益納付について

公募要領　Ⅱ - 第4章4.2項

■ 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

事業者に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、本説明資料P37「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。

5．その他（よくあるご質問等）

＜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。

＜よくあるご質問②＞

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、ご留意ください。

＜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、納付はどうなるのか？

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。

大学等のアカデミアを研究開発代表機関/分担機関とすることはできるか？

大学等のアカデミア機関は、研究開発代表機関として本公募へ提案することができません。

ただし、大学発ベンチャー企業等にあって、アカデミアの研究者が企業（代表/分担機関）にも所属している場合は、研究開発代表者/分担者/参加者となることができます。

また、提案における研究開発計画において、研究開発代表機関（企業等）から委託された医師主導治験を治験調整医師又は治験責任医師として実施する場合のみ、当該医師を研究開発分担者、医師主導治験を実施する所属大学等のアカデミアを研究開発分担機関とすることができます。

	大学・公的研究機関	企業
研究開発代表機関	×	○
研究開発代表者 研究開発分担者 研究開発参加者	△ （企業に所属する者として参画する場合は可）	○
研究開発分担者 （研究開発分担機関）	○ （研究開発代表機関から委託された医師主導治験で治験調整医師又は治験責任医師を担う場合のみ）	○

＜よくあるご質問⑫＞

その他、提案書記載にあたり注意すべき点はあるか？①

『「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）に基づいて、医療上の必要性として、対象疾患の重篤性及び対象疾患に対する開発品目の有用性等についても、提案書等の資料において詳細にご説明ください。

なお、対象疾患に対する既存の治療方法がある場合、希少疾病用医薬品の指定に向けて、当該治療方法を上回る有用性をどのように示す予定であるのか、得られている非臨床試験成績等を含めてご説明ください。

＜よくあるご質問⑬＞

その他、提案書記載にあたり注意すべき点はあるか？②

公募への応募に先立ち、厚生労働省等へ提案課題の開発候補品が希少疾病用医薬品指定を受けられる可能性について相談している場合は、提案書にその旨と相談結果を記載ください。

提案書には、希少疾病用医薬品指定までの実現可能な想定スケジュールを記載してください。

なお、本事業での採択は希少疾病用医薬品指定を保証するものではありません。

＜よくあるご質問⑭＞

その他、提案書記載にあたり注意すべき点はあるか？③

これまでに本事業の公募に応募又は採択された研究開発課題と同様の提案である場合には、それぞれ前回応募時の提案内容又は支援終了時点からの発展性、改善点等を、研究開発提案書要約や研究計画・方法等のページにわかりやすく記載してください。

6．その他、ご質問事項等の照会先

公募要領「◆お問合せ先」

※お問合せは電子メールでお願いします。
（以下アドレス“AT”部分を@に変えてください）

照会内容	連絡先
公募や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 E-mail：id3preo“AT”amed.go.jp
不正行為・不正使用・不正受給	AMED研究評価公正部　研究公正課 E-mail: kouseisoudan”AT”amed.go.jp お問い合わせにあたっては、以下のウェブサイトをご確認ください。 https://www.amed.go.jp/kenkyu kousei/soudan kokuhatu.html
利益相反管理	AMED研究評価公正部　研究公正課 E-mail: amedcoi”AT”amed.go.jp お問い合わせにあたっては、以下のウェブサイトをご確認ください。 https://www.amed.go.jp/kenkyu kousei/riekisohan kanri.html