



希少疾病用医薬品指定前における 開発支援について

平成28年度 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器・
希少疾病用再生医療等製品の開発振興に係る説明会

(大阪) 平成28年10月19日

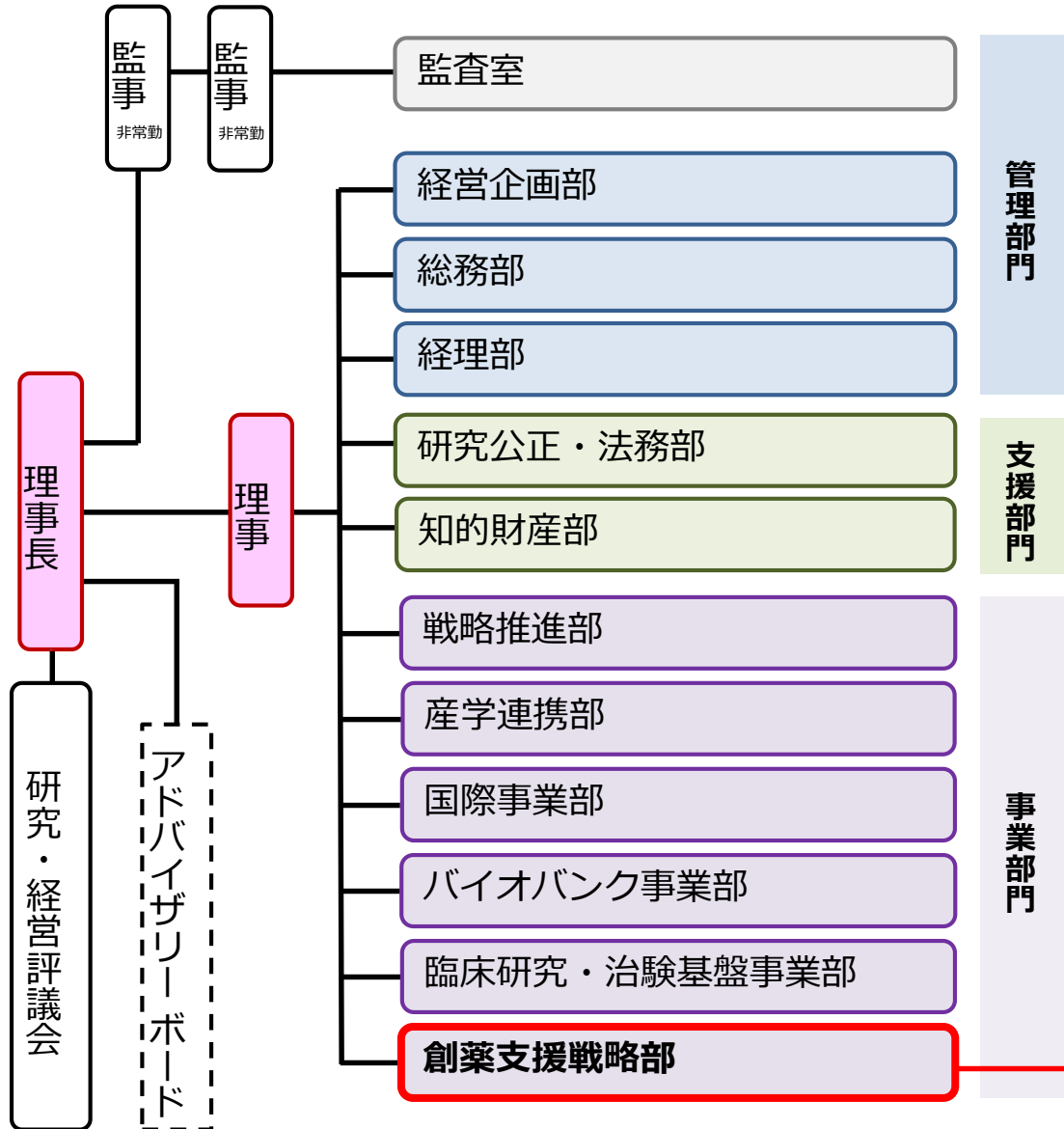
(東京) 平成28年10月31日

創薬支援戦略部
東日本戦略企画グループ 調査役

林 亜紀子

国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)

「日本医療研究開発機構」の組織体制



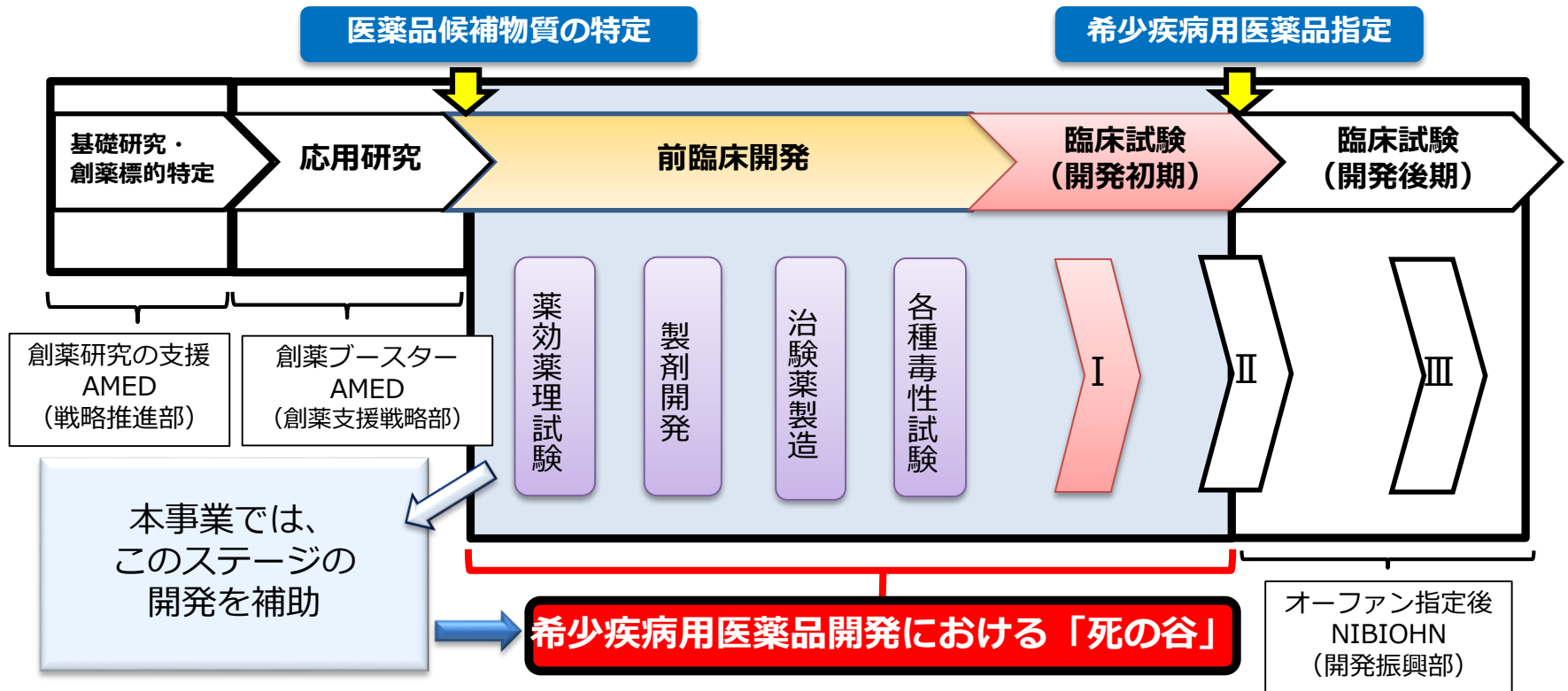
西日本統括部／西日本戦略企画G

大阪府大阪市北区大深町3-1
 グランフロント大阪 タワーB 11階

東日本統括部／東日本戦略企画G

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

希少疾病用医薬品指定前における支援事業の背景



(現状) ・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い。

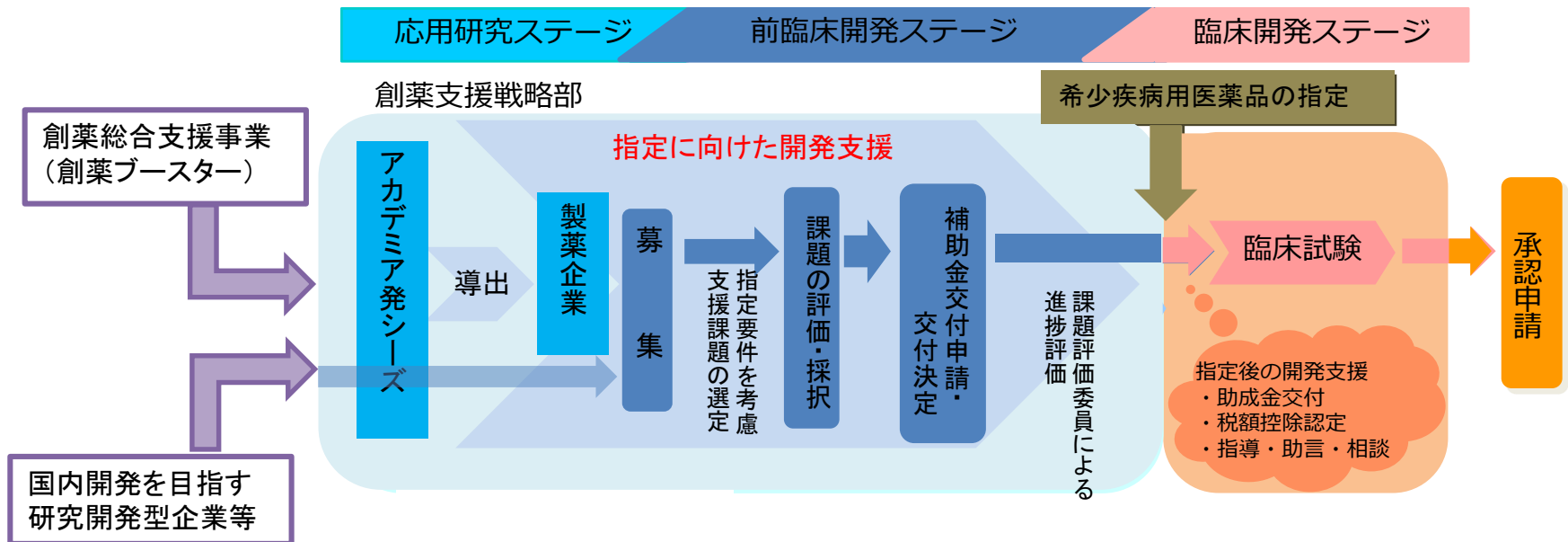
- ◆ 平成27年度より、AMEDにおいて、企業等を対象にした**希少疾病用医薬品指定を受ける可能性のある品目の開発費の補助事業を新たに創設**
- ◆ **補助対象には、ドラッグ・リポジジョニングの開発も含まれる**

＜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



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。

本事業における「**実用化**」とは？

「実用化」とは**製造販売承認**を意味します。

つまり、本事業を活用することにより、
希少疾病用医薬品の大臣指定を受け
さらに
製造販売承認取を可能とすること
を目的としています。

平成28年度公募情報（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の上限を5千万円

支援実施予定期間：3年間（平成28～30年度）

新規採択課題予定数：0～3課題

平成28年度の公募スケジュール

公募期間：平成28年7月6日～平成28年8月3日

書面審査：平成28年8月上・中旬

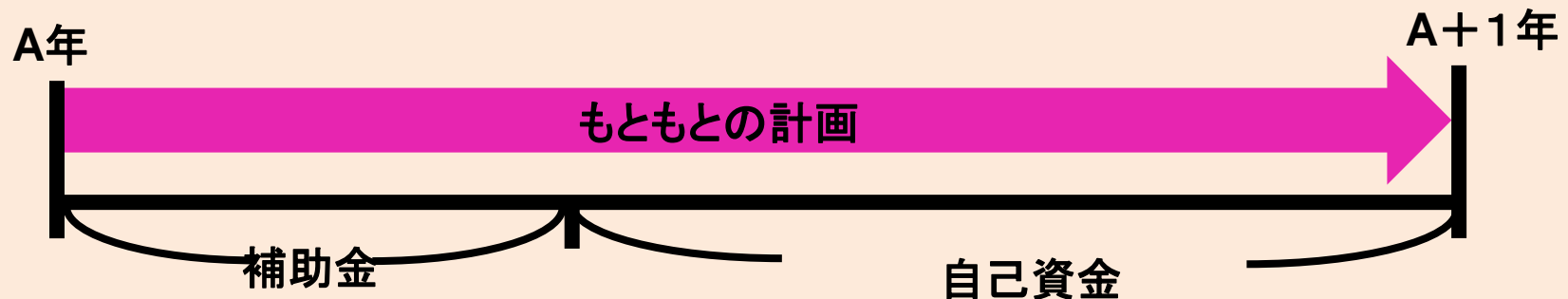
ヒアリング：平成28年8月下旬

採択可否の通知：平成28年9月12日

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业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、**開発費用の一部**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）

※ 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
同一品目に対して複数の採択は行わない

応募資格者

次の（１）～（９）の要件を満たす国内の企業等

- （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） 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。

事業の概要（3）

○補助期間

原則 3 事業年度（平成28～30年度）

ただし、以下の場合に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

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**

	大項目	定義
補助の対象 (直接経費のみ)	物品費	備品、試薬・材料・消耗品等の購入費用
	人件費・謝金	当該開発のために雇用する研究員等の人件費、 当該開発に係る助言等の謝金 (経費総額の20%を限度)
	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

(留意事項)

- (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

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費用は対象外

- ※ **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**
- ※ **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、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）

医師主導治験の経費は対象になるの??

「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」となっているため、医師主導治験の場合、例えば、企業等による治験薬の提供のように、企業等が直接費用を負担するような場合は、その経費は算定の対象となります。

一方、仮にアカデミアと共同研究をしている場合は、アカデミアが担当し、アカデミアが負担する費用は、本事業の対象とはなりません。

課題の採択条件



○審査項目と観点

審査項目	
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	<ul style="list-style-type: none"> ・ 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

※「①事業目的への適合度」及び「⑤保健医療への貢献度」は、他の項目の2倍の重きをおく

各審査項目では何をみるのか？

申請書の記載項目（平成28年度公募の場合）

- 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（対象者数、医療上の必要性、開発の可能性）
- 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
- 実用化の全体計画・年度別計画・スケジュール
- 実用化における課題
- 本事業の対象となる経費
- これまでに実施した試験及び費用の概算
（他事業での採択情報を含む）
- 研究開発実施体制

「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

平成27年度

研究開発品目名	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N-アセチルノイラミン酸の開発	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

平成28年度

研究開発品目名	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	クリングルファーマ株式会社
ポリ硫酸ペンタサンナトリウム（NaPPS）	株式会社レクメド

納付金について

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する。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限度とする。

$$\text{算式：（売上高－1億円）} \times 1/100$$

売上高が1億円以下の場合は納付金の額は0円とする。

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。ただし、1のただし書に該当する場合はこの限りではない。


 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

〒100-0004 東京都千代田区大手町1-7-1 読売新聞ビル
 Tel: 03-6870-2200 (代表) Fax: 03-6870-2241



創業支援戦略部 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ディング 8F
 Tel: 03-3516-6181

創業支援戦略部 西日本統括部
 〒530-0011 大阪府大阪市北区大深町3-1 グランフロント大阪 タワーB 14F
 Tel: 06-6372-1771

(AMEDパンフレットより抜粋)

創薬支援戦略部 東日本統括部／東日本戦略企画グループ

所在地：〒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ディング 8F

TEL: 03-3516-6181

創薬支援戦略部 西日本統括部／西日本戦略企画グループ

所在地：〒530-0011 大阪府大阪市北区大深町3-1
 グランフロント大阪 タワーB 11F

TEL: 06-6372-1771