

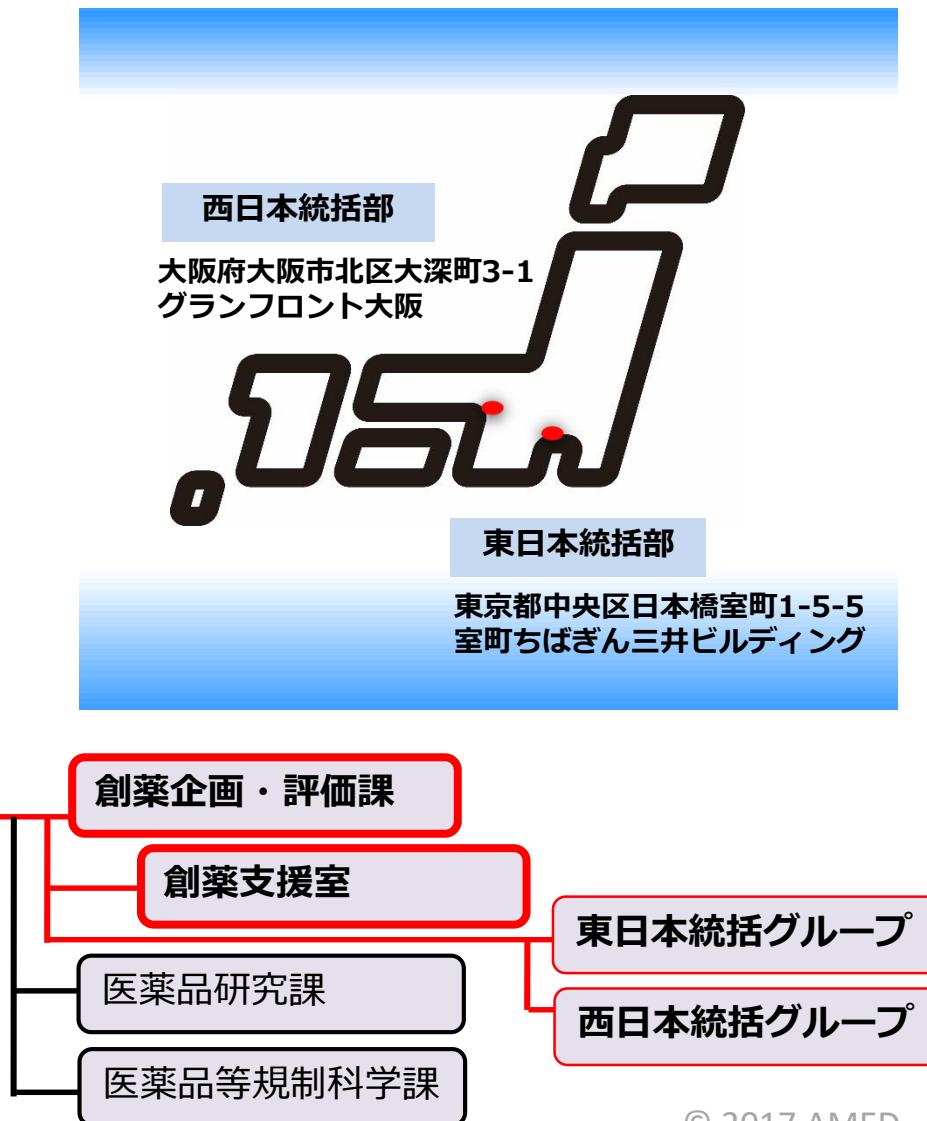
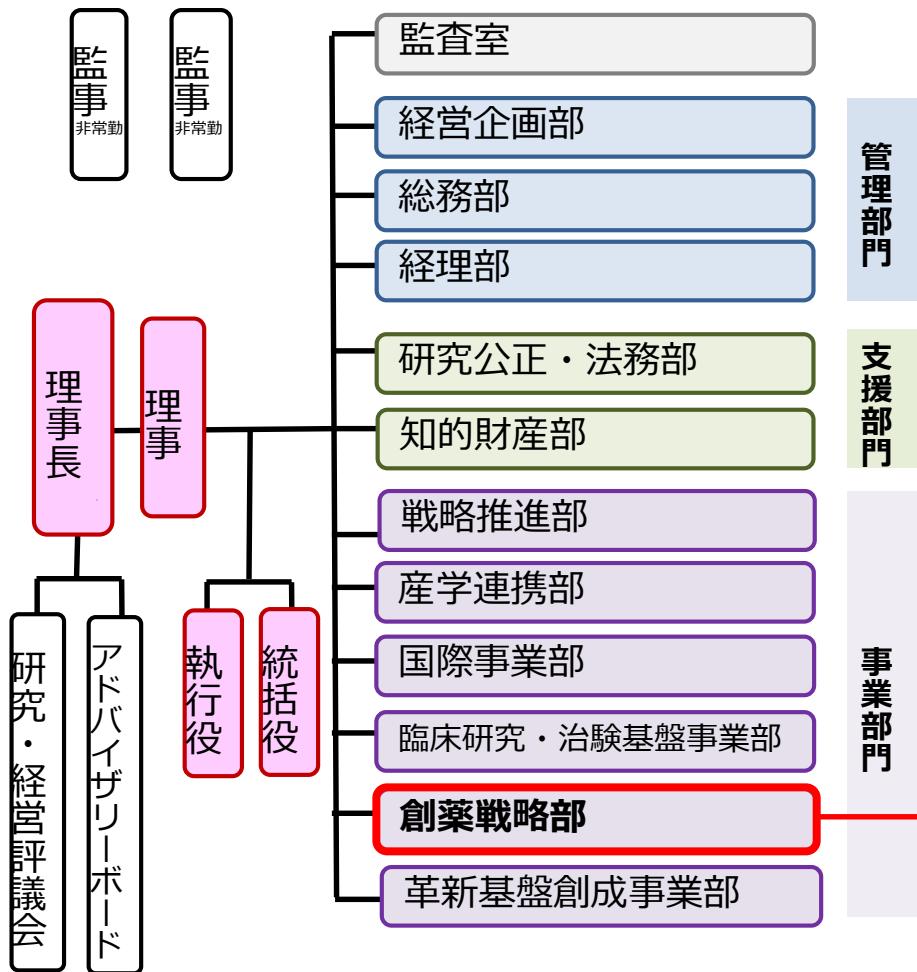
希少疾病用医薬品指定前における 開発支援について

平成30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

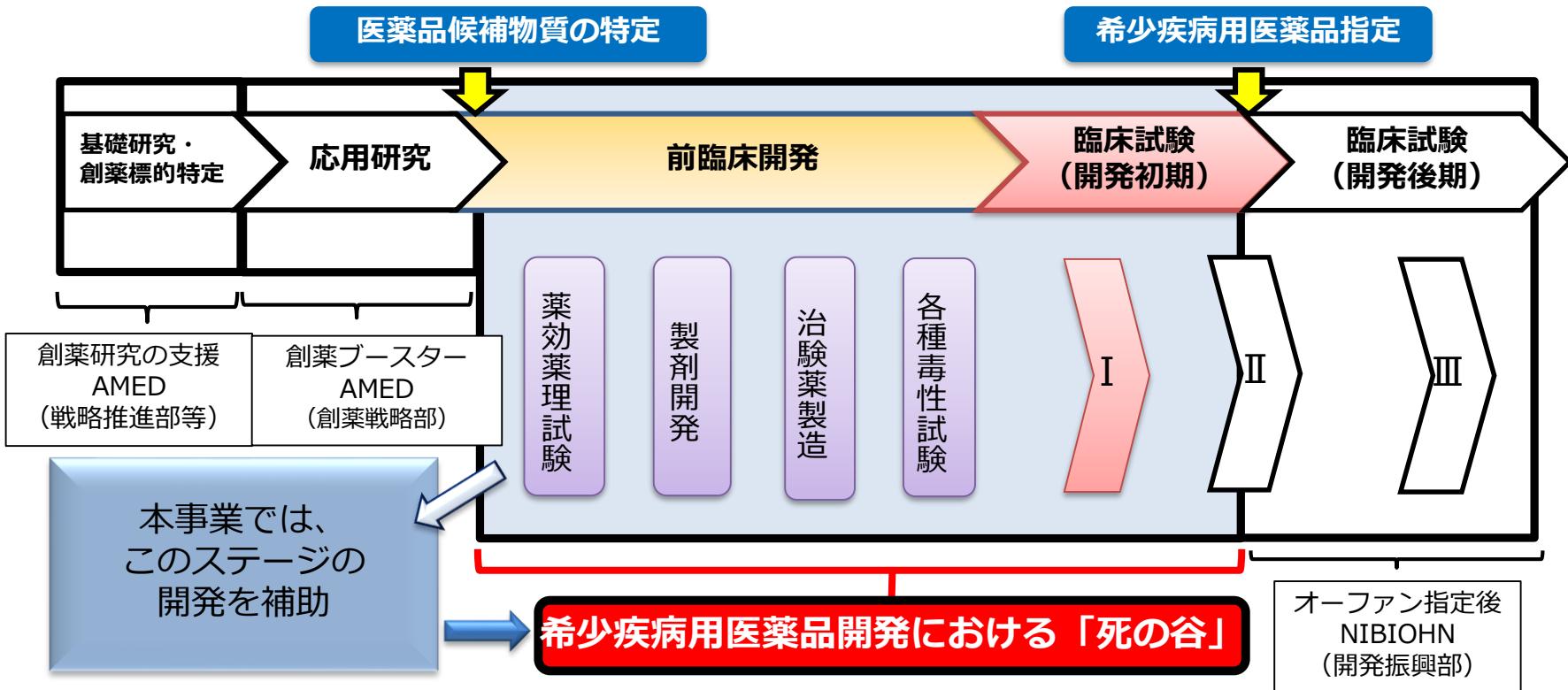
(大阪) 平成30年10月22日
(東京) 平成30年10月26日

国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)
創薬戦略部 創薬企画・評価課 創薬支援室

「日本医療研究開発機構」の組織体制



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。

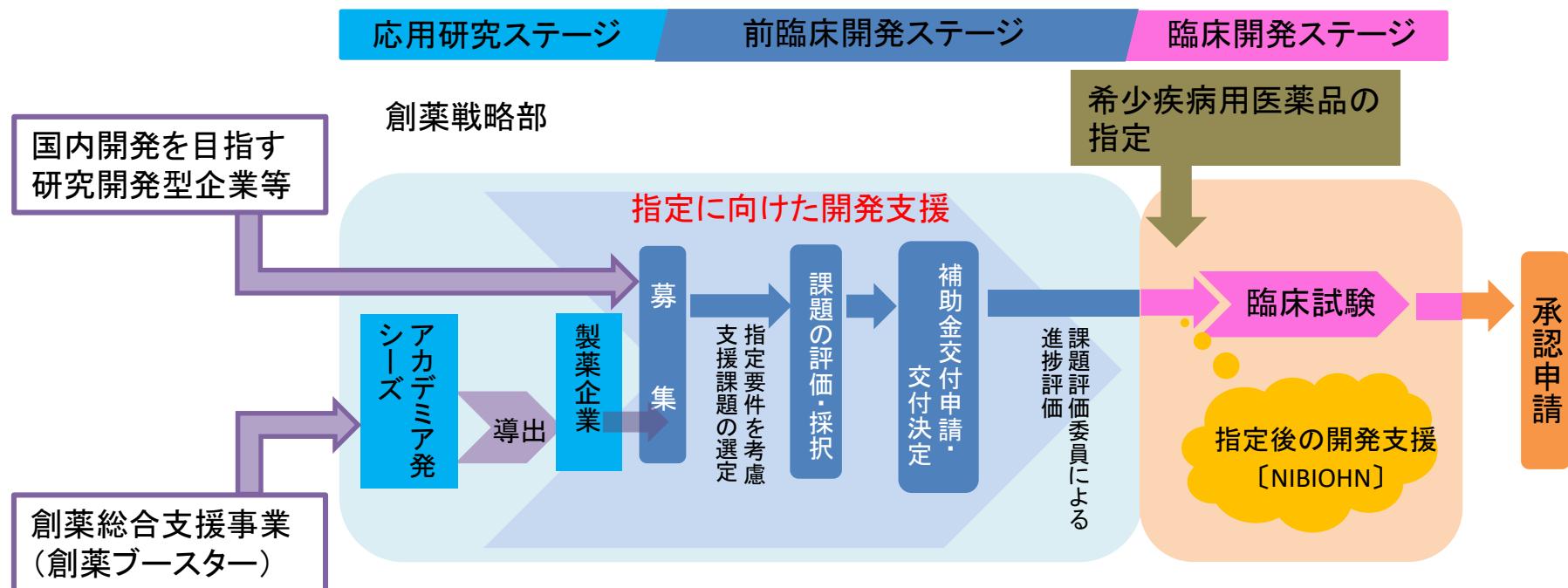
- ◆ AMEDにおいて平成27年度に、企業等を対象にした希少疾病用医薬品指定を受ける可能性のある品目の開発費の補助事業を新たに創設
- ◆ 補助対象には、ドラッグ・リポジショニングの開発も含まれる

<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



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。

平成30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

対象者：研究開発型企業等

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30～32年度）

新規採択課題予定数：0～8件程度

平成30年度の公募スケジュール（参考）

公募期間：平成30年1月12日～平成30年2月9日

書面審査：平成30年2月中旬～3月上旬

ヒアリング：平成30年3月20日

採択可否の通知：平成30年4月上旬

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）

※ 医療機器・再生医療等製品は含まれません

○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業等*

*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。

- 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

事業の概要（3）

「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、医薬品候補物質は複数ある場合が多いと思われる。「医薬品候補物質が特定されているもの」は、特定の物質一つか、それとも複数の物質を含む候補群か？

医薬品候補物質が特定された段階とは、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』が望ましいですが、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。

したがって、「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。

事業の概要（4）

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。

補助期間

原則 3 事業年度（平成31～33年度（予定））

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

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%が上限)	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	上記のほか、当該開発を遂行するための経費 例) 運搬費、機器リース費用、機器修理費用、印刷費、外注費、検査業務費等

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）

○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

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。

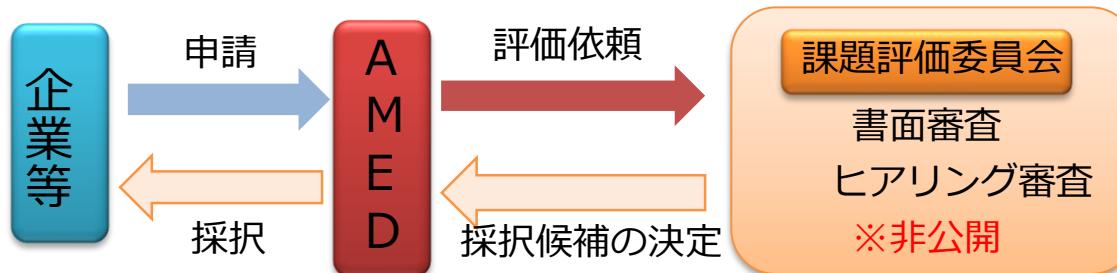
補助対象となる経費（4）

医師主導治験の経費は対象になるのか？

「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。

審査項目と観点



審査項目	
①事業趣旨等との整合性	<ul style="list-style-type: none"> ・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	<ul style="list-style-type: none"> ・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
③計画の妥当性	<ul style="list-style-type: none"> ・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	<ul style="list-style-type: none"> ・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 ・申請者等の工フォートは適切であるか ・不合理な重複／過度の集中は無いか
⑤所要経費	<ul style="list-style-type: none"> ・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	<ul style="list-style-type: none"> ・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

補助事業提案書における記載内容（平成30年度の場合）

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
- 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
- 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
- 等

「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

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	富士フィルム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

「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

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
ポリ硫酸ペントサンナトリウム (NaPPS)	株式会社レクメド

平成29年度

研究開発品目名	採択企業名
脊髄性筋萎縮症治療薬 (TEC-1) の開発	武田薬品工業株式会社
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

研究開発品目名	採択企業名
難治性血管奇形の治療薬の開発	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	富士フィ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