

令和3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  
試験研究助成事業について  
(募集要項)

1. 事業の概要

国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所では、医療上の必要性が高いにもかかわらず研究開発が進みにくい難病等の重篤な希少疾病に対する医薬品・医療機器・再生医療等製品の開発を促進するため、厚生労働大臣から希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品の指定を受けた開発企業に対し、その開発に必要な経費に充てるための助成金（「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試験研究助成金」という。）を交付する事業を行っています。

なお、事業内容の詳細は、「助成金交付の手引き」等をご参照ください。

[https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/orphan\\_support/index.html](https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/orphan_support/index.html)

2. 募集期間

年度当初の申請：令和3年5月6日（木）から令和3年5月31日（月）まで

年度途中の申請：令和3年11月1日（月）から令和4年1月6日（木）まで

3. 応募資格

- (1) 厚生労働大臣から希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品の指定を受けた開発企業、又は年度途中の申請締切までに指定が見込まれる指定申請中の開発企業であること。
- (2) 国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所と助成金交付に係る契約を締結することに同意していること。

4. 助成対象

厚生労働大臣から指定を受けた希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品の製造販売承認申請を行うために必要な試験研究（製造販売承認申請に係る添付資料作成のための開発費用）を対象とします。

5. 助成期間

希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品の大臣指定日から製造販売承認申請年度末までの原則3事業年度を上限とします。ただし、1事業年度ごとに助成金交付申請を行う必要があります。

## 6. 助成金額

助成対象となる経費の2分の1を上限とし、本事業予算の範囲内で事業年度毎に助成金額を決定します。

## 7. 進捗状況等の把握

適正かつ効率的に開発支援事業を実施するため、試験研究や開発計画の概要等に関するヒアリング、進捗状況に係る調査及び経理に係る実地調査等を実施し、随時、試験研究の進捗状況及び助成対象となる経費の執行状況の報告を求めます。

なお、令和3年度助成金交付事業のスケジュールは以下のとおりです。

令和3年度助成金交付事業のスケジュール（予定）

年度当初の交付申請品目		年度途中の交付申請品目	
1. 助成金交付申請書受理期間	5月6日～ 5月31日	1. 助成金交付申請書受理期間	11月1日～ 1月6日
2. ヒアリング	6月		
3. 助成金交付決定通知	7月上～中旬	2. ヒアリング	交付申請受理 後、随時実施
4. 概算払（1回目）	8月中旬		
5. 進捗状況に係る調査	10月～11月		
6. 試験研究計画変更等承認申請書提出期間	11月	3. 進捗状況・経理に係る 実地調査	12月～1月下旬
7. 経理に係る実地調査	12月～1月中旬		
8. 試験研究計画変更等承認通知	2月上～中旬	4. 助成金交付決定通知	2月上～中旬
9. 概算払（2回目）	3月中旬	5. 概算払	3月中旬
10. 実績報告書提出	4月初旬	6. 実績報告書提出	4月初旬
11. 助成金確定通知（返還通知）	4月中～下旬	7. 助成金確定通知（返還通知）	4月中～下旬

## 8. 売上高報告と納付金

助成金の交付を受けた品目が製造販売承認を取得した場合、助成金交付に係る契約に基づき、一定期間、助成金の交付を受けた品目の売上高報告を求め、助成金総額を上限として、売上高の一部を国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所に納付していただきます。

### (1) 納付金の算出方法

$$\text{納付金} = (\text{売上高} - 1 \text{億円}) \times 1 / 100$$

（ただし、売上高が1億円以下の場合、納付金は0円）

### (2) 納付金徴収期間

製造販売承認を取得した日から10年間又は納付総額が助成金総額に達するまでの期

間のいずれか早い期間

## 9. 応募方法

「希少疾病用医薬品等試験研究助成金交付申請書」（第 1 号様式）に必要事項を記入し、電子媒体にて「2. 募集期間」に示す期間中（必着）に下記の宛先まで提出してください。

なお、応募書類の各様式は下記ホームページに掲載しています。

[https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/orphan\\_support/index.html#form](https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/orphan_support/index.html#form)

### 【添付資料】

- (1) 定款、財務諸表及び有価証券報告書  
(紙媒体での提出も可)
- (2) 試験研究の資金計画を説明する資料
- (3) 開発に従事する者の人数とそれぞれの担当業務を説明する資料
- (4) 開発責任者の開発経験を説明する資料
- (5) 助成金交付申請品目の開発進捗状況報告書（第 1-1 号様式）
- (6) 希少疾病用医薬品等の指定申請書の写し、その添付資料及び資料概要の写し  
(初年度交付申請時のみ)
- (7) ヒアリング時に使用する資料
- (8) その他研究所が必要と認めた場合に指示する資料
- (9) 提出書類チェックリスト（初年度交付申請時のみ）

### 【電子媒体提出先】

E-mail : kisho-ph “at” nibiohn.go.jp

※E-mail は上記アドレス “at” の部分を@に変えてください。

### 【書面提出先】

〒567-0085 大阪府茨木市彩都あさぎ 7 丁目 6 番 8 号

国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所 開発振興部 開発振興課

## 10. 説明会の開催

- (1) 令和 3 年 4 月 23 日（金）13:30～15:00 AP 日本橋（東京都中央区）
- (2) 令和 3 年 10 月（日時未定）場所未定  
(1) にて、「令和 3 年度 希少疾病用医薬品等・特定用途医薬品試験研究助成金交付申請の説明会」を開催し、本事業の内容、留意点及び従来からの変更点等を説明します。詳細は、説明会の開催案内をご確認ください。

※今後の新型コロナウイルス感染症の拡大状況を鑑み、代替手段による開催等を検討する可能性があります。

## 11. 留意事項

本事業予算については、令和 3 年度政府一般会計予算案において必要な経費が計上されているところであり、助成の対象となる事業の採択や予算の執行にあたっては、国会における令和 3 年度予算の成立が前提となります。本募集要項は、同予算が成立した場合に速やかに事業を開始できるよう募集内容をお知らせしており、国会における予算案の審議等、今後の事情により事業内容の変更があり得ることに留意してください。

また、本事業における助成金は「補助金等に係る予算の執行の適正化に関する法律（昭和 30 年法律 179 号）」の適用を受けます。助成金の目的外使用等の違反行為を行った者に対しては、助成金の交付決定の取消しや返還等の処分が行われ、また、場合によっては刑事罰が課されることもありますので十分留意してください。

なお、「6. 助成金額」に関し、記述の 2 分の 1 を上限とするほか、交付申請額が高額の場合に助成金交付額を大きく制限すること、ウルトラオーファン（対象患者数が 1 千人未満の品目）やベンチャーを含む中小企業による開発品目への助成金交付額に一定の配慮をすることを申し添えます。

## 12. 問合せ先

本事業に関する問合せ先は以下のとおりです。

国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所

開発振興部 開発振興課：大曾根、藤田

電話：072-641-9804

E-mail：kisho-ph “at” nibiohn.go.jp

※E-mail は上記アドレス “at” の部分を@に変えてください。

以上