

(様式 1)

令和 年 月 日

希少疾病用再生医療品等開発支援事業
開発テーマ応募様式
作成の手引き

開発研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所 理事長 殿

開発テーマ名	開発テーマ名は採択後、原則として変更しませんので、正確に記入してください。
--------	---------------------------------------

申請者 (代表権者)	フリガナ 企業名 フリガナ 代表者名 職名 郵便番号 所在地 電話 FAX メールアドレス ホームページ URL	http://
---------------	--	---------

創業年月日	令和 4 年度社員総人数（研究開発人員数）
年 月	人（ 人）

開発代表者	フリガナ 氏名 所属部署 職名 郵便番号 住所 電話 FAX メールアドレス	
-------	--	--

連絡担当者	フリガナ 氏名 所属部署 職名 郵便番号 住所 電話 FAX メールアドレス	
-------	--	--

注）創業年月日、社員総人数について、大学等学術機関の場合は空欄をお願いいたします。

運営体制・経営陣について

運営体制（組織図・役割分担）

運営体制を組織図でわかりやすく示してください。企業の場合は、経営陣についても示してください。
その図の中で、それぞれの役職の任務及び意思決定の仕組みを簡潔に説明してください。

責任者のプロフィール

役職名	氏名	生年月日	略歴

注 1） 企業の場合は、代表取締役社長、副社長、主要な役員（CF0、CT0 等）について記載してください。

大学等学術機関の場合は、開発に携わる代表者および責任者について記載してください

注 2） 略歴欄には、これまでの職歴及び、現在の兼務状況について記載してください。

財務状況について

主要な株主とその出資比率について

主要株主名	出資比率	出資に至った経緯
比率上位5名（社）で結構です。	%	
	%	
	%	
	%	
	%	

財務状況について（令和 年 月 日 ～ 令和 年 月 日）（直近会計年度の値を記入してください。）

・資本金等

資本金	百万円
資産総額	百万円
負債総額	百万円

・売上高、利益

売上高	百万円
営業利益	百万円
経常利益	百万円
税引前純利益	百万円

・人件費

総人件費	百万円
------	-----

・売上高の内訳

製品売上	百万円
イニシャル・マイルストーン	百万円
ロイヤリティ収入	百万円
受託研究・技術サービス	百万円
公的資金	百万円
その他	百万円

・主要な製品名

製品名	売上高
	百万円
	百万円
	百万円
	百万円
	百万円

今年度以降の売上計画について

年度	売上計画	算出根拠
2022 年度	百万円	
2023 年度	百万円	
2024 年度	百万円	

株式上場の計画について

上場予定の有無および、予定がある場合にはその年月日と調達資金総額の概算について記載してください。

注）大学等学術機関の場合は空欄で結構です。なお、本開発テーマに関連して学内ベンチャー設立の予定が

あれば、記載してください。

(様式 4)

保有している技術について

会社が強みとするコア技術とその内容について

技術名	技術の特徴・優れている点

注) 企業の場合は、開発テーマとは関係が無い技術であっても、すべて記載してください。

現在開発中のパイプラインについて

パイプライン名称	概要
(記載例) アンジオテンシンⅡ受容体拮抗薬	➤ 適応疾患 高血圧症 ➤ 作用機序 A-Ⅱ受容体に特異的に結合することで、A-Ⅱの生理作用である血管収縮作用等を抑制し、降圧効果を発揮する。 ➤ 現在の開発段階 非臨床試験を実施中 ➤ 関連特許の取得状況 物質特許を取得済み。その他関連特許は出願済み。 ➤ 上市に向けた今後の課題 現在非臨床段階にあり、早期に臨床試験段階に進む必要があるが、自社による臨床試験は費用負担が困難であり、早期に臨床試験のパートナーを探索し、導出を行う必要がある。現在国内製薬企業と交渉中である。

注) 記載例を参考に、各パイプラインについて概要を記載してください。ただし、開発テーマは除きます。

開発テーマの概要

開発テーマ名	
--------	--

開発テーマの要旨

5 行以内で簡潔に内容が把握できるように記述してください。

なお、この「開発テーマの要旨」の項の内容については、本開発テーマが採択された場合に一般に公表しますので、それを前提として記述してください。特許に関連する事柄など、公表されることにより問題が生じる可能性があるものについては記載を控えてください。

開発テーマの目的

開発テーマの目的について、保健医療への貢献及び学術的意義、関連する産業分野の動向等の視点をまじえて、具体的に記述してください。

これまでに得られた成果の概略

様式 6 における「開発テーマにおいてこれまでに得られた成果」の内容を要約して記述してください。

開発テーマの概要

今後の研究開発計画の概略

様式 7 における「開発計画及び予算見積もり」の内容を要約して記述してください。

期待される収益性の概略

様式 8 における「開発テーマから期待される収益性」の内容を要約して記述してください。

倫理面への配慮

「臨床研究に関する倫理指針に従い、研究機関の倫理委員会において研究計画の承認を受けている」、「臨床試験は治験として、独立行政法人医薬品医療機器総合機構に届出を行い、GCP に従って実施する計画である。」など具体的に記述してください。

また、研究内容に倫理面の問題がないと判断した場合には、その旨を、そのように考えられる理由とともに必ず記述し、臨床研究プロトコルやインフォームドコンセントに使用する書類を添付してください。動物試験を実施する場合は、動物愛護に関する配慮についても記載してください。

開発のキーワード

開発テーマについてのキーワードを 5 つ以内で記載してください。

開発テーマにおいてこれまでに得られた成果

開発候補品概要書

1. 起源又は発見の経緯及び特性について
 - 起源又は発見の経緯
 - 原理、特性及び他の類似品との比較（例：優位点、劣位点など）
2. 物理的・化学的性質並びに規格及び試験方法等について
 - 物理的・化学的性質及び原材料・構造・原理
 - 規格及び試験方法
3. 安定性について
4. 電気的安全性、生物学的安全性、放射線に関する安全性について
5. 性能について
 - 効能を裏付ける試験成績
 - 使用方法を裏付ける試験成績
 - 性能を裏付ける試験成績
6. 臨床試験の試験成績について

注1) 治験機器概要書に相当するものを作成してください（すでに作成されている場合は、その資料を添付することで代用可とします。）。

注2) 現段階で、すでに試験成績が得られているところまで記述してください。

注3) 必要に応じて、図や表を挿入してください。

開発テーマにおいてこれまでに得られた成果

既存技術及び内外における類似研究との比較

競争が予想される既存の医薬品・医療機器や、国内外において開発テーマと同一の目的や目標に対して同様のアプローチで行われている開発例、異なるアプローチで行われている開発例について記載し、貴社の提案する開発の意義、優位性等を説明することにより、競争する製品や開発との相対的位置付け明確にして下さい。できるだけ、図や表を挿入してください。

開発計画及び予算の見積もりについて

実用化・事業化の全体計画

実用化するまでの事業化戦略など全体計画（製造工程管理や販売企画等も含む）を記述してください。できるだけ表や図を用いて記述してください。

年度別計画および到達目標

令和4年度以降各年度の計画および到達目標について記述してください。できるだけ表や図を用いて記述してください（実施予定の試験及び実施時期等についても具体的に記述してください。）。

実用化・事業化における課題

現時点で考えられる課題について詳細に記述してください。

アライアンスの状況

事業化のパートナーとして提携している企業とその提携内容を記述してください。交渉中の企業がある場合は、その進捗状況についても記述してください。

開発計画及び予算の見積もりについて

開発テーマに対する他の資金源

他の公的機関およびベンチャーキャピタル、製薬企業等から1千万円以上の資金提供を受ける予定がある場合に、その調達時期と金額、予定使用用途を記載してください。

これまでに開発テーマに投じた費用の概算

売上納付額を算出する際に必要となる寄与割合を設定するために用います。採択後に増額することは認められません。概算値とその積算根拠を記載してください。

事業費総額（概算）

（単位：百万円）

項目	令和4年度	令和5年度	令和6年度	総額
1 人件費				
2 旅費（計）				
① 国内				
② 外国				
3 備品費				
4 謝金及び賃金				
5 消耗品費				
6 印刷製本費				
7 借料及び損料				
8 会議費				
9 雑役務費				
10 再委託費				
11 間接経費				
合計				

注）開発テーマを遂行する上で必要となる費用について、研究所からの事業費総額を記入してください。単位は百万円です。

開発計画及び予算の見積もりについて

事業費支出計画（令和 年度）

（単位：千円）

費目	見積金額	積算内容
1 人件費		（記載例） 部長、主任研究員、研究員×●名の給与 ※エフォートや各種手当も勘案してください。
2 旅費（計）		
①国内		治験実施先との打ち合わせ（東京←→大阪）×●回×●名
②外国		製造委託先との打ち合わせ（ワシントン←→東京）×●回×●名
3 備品費		サンプル保管用超低温槽（型式：●●）
4 謝金及び賃金		●●に係る研究補助員×●名
5 消耗品費		予備試験に係る研究用試薬（●●キット、●●チューブ等）
6 印刷製本費		治験薬概要書印刷費用
7 借料及び損料		●●のリース費用
8 会議費		●●委員会開催に係る会場費
9 雑役務費		国内特許出願費用
10 再委託費		原薬製造委託 ●千円、製剤化委託 ●千円、 非臨床試験委託費用（●●試験） ●千円
11 間接経費		通信運搬費
合計		

注1）様式 7-2 の事業費総額のうち、研究所からの事業費の使用用途について記載してください。単位は 千円 です。

注2）令和 4～6 年度の内訳について、各年度ごとに別葉で 記載してください。

注3）令和 4 年度の開発支援事業開始日は 令和 4 年〇月〇日から として計算してください。

開発テーマから期待される収益性について

医療現場における開発候補品の事業化・実用化のニーズ

開発候補品を実用化することで収益が見込めると判断した根拠について、現場のニーズに関する客観的なデータを踏まえつつ詳細に記載してください。

売上予想の根拠となる数値

対象疾患名	
対象患者数（人）	国内（必要に応じて海外）の患者数について記載してください。 引用したデータの出典についても併記してください。
販売数量	予想される国内（必要に応じて海外）での獲得シェアや用法・用量等に基づき、ピーク時の単年度販売数量を記載してください。 単位は製造しようとする製品に応じて使用してください。
単価（薬価）（円／ ）	製品の単価や薬価について、設定金額と設定根拠を記載してください。 単位は製造しようとする製品に応じて設定してください。
ロイヤリティ率（％）	ライセンスアウトを行い、自ら製造販売しない場合等のロイヤリティ率について記載してください。また、ロイヤリティ率の設定根拠についても、説明を加えてください。自ら製造販売するなどロイヤリティ設定の予定が無い場合は、ロイヤリティ率の代わりに売上高に対する製造・販売コスト率（％）を記入してください。ここで言う製造・販売コストとは、原材料費、製造及び販売に係る労務費、運送費その他当該製品の製造及び販売に必要な費用を指します。

(様式 8-2)

予想売上高

	R4	R5	R6	R7	R8	R9	R10	R11	R12	R13	R14	R15	R16	R17	R18
販売数量															
単価（薬価）（円）															
末端売上高（百万円）															
ロイヤリティ率（％）															
売上高（百万円）															
イニシャル、マイルストーン（百万円）															

注 1）実用化された際に期待される令和 4 ～ 1 8 年の 1 5 年間に発生する 国内での売上 について、前出の数字を用いて単年度ごとの数値を入れた表を作成してください。海外での売上が予想される場合は別に表を作成してください。

注 2）薬価改定や販売数量の増減にも留意しながら記入してください。

注 3）末端売上にロイヤリティ率を乗じた金額が売上高となります。

注 4）自ら製造販売を行う企業は、ロイヤリティ率の代わりに製造・販売コスト（百万円）を記入し、末端売上から製造・販売コストを差し引いた金額を売上高としてください。

予想売上高についての解説

予想売上高に記入した数値について、説明が必要であると思われる箇所についての解説を記述してください。

収益性の根拠について

様式 8-1 および 8-2 で示した事項の根拠についてより詳細に記入してください。

注意：各項目の数値、動向等の根拠となる公表文献名、筆者、該当ページ等については、必ず明記し、写しを添付すること。

1. 予想上市時期・収益開始時期

※探索的治験～検証的治験、承認申請予想年月等についても記載する。

2. 市場規模（患者数、適用患者数等の根拠を示すこと）

- ※ 患者数については、公表文献、学会資料等により、十分な数字的裏付けを示す必要がある。
 - ※ 適用患者数等については、例えば一部の患者にのみ適用になることが予想されるのであれば、その根拠（適用できる患者、適用できない患者のカテゴリーとその医学的根拠、比率等）について、具体的かつ客観的事実に基づき記載する必要がある。
-

3. 市場占有率（シェア）（適用患者の何割が実際に使用するか根拠を示すこと）

- ※ 実際の使用患者数の根拠について、他製品、他治療方法等の動向をふまえ示すこと。
- ※ 現在他製品等により行われている治療の実態とその問題点、応募テーマの優位性、上市されることにより治療がどのように革新されるか等、客観的事実に即して記載。

4. 予想製品価格（原価、積算方法等の根拠を示すこと）

- ※ 薬価算定方式（原価計算なのかそれ以外なのか。計算方法の根拠を示す。）
- ※ 原価計算は具体的かつ客観的事実に即して記載（保険適用、自由診療とも）。
- ※ 薬価の低減等も加味すること。

5. 収益見通し（予想売上年次推移等の根拠を示すこと）

- ※ 発売初年度の売上額から何年後どれだけ増加するか、何年後にピークを迎えるか等、客観性のあるデータ等に即して記載。
- ※ イニシャル、マイルストーン、ロイヤリティについては、すでに先方と契約を締結しているのであれば、契約書の写しを添付、未契約の場合、数字的根拠を記載。
- ※ 自家製造の場合、製造販売コスト率とその根拠を記載。

開発実施体制・開発者の実績・開発実施機関の能力について

開発体制図

開発実施における分担関係および各機関で開発に携わる部署名を記載してください。製造、製剤化、非臨床試験、臨床試験等を他機関に再委託する場合においても、再委託先を記載してください。
また、開発実施機関について、郵便番号・所在地・開発実施責任者名（あるいは連絡担当者名）・役職・電話番号・FAX 番号・E-mail アドレスを記載してください。

No.

開発者氏名（フリガナ）	
研究開発課題	
所属研究開発機関及び役職名	
生年月日	

取得した学位について、機関名・取得学位・取得年・専攻を記載してください。

年月	職名	研究開発歴
(記載例) ○○年○○月～●●年●●月	○○研究所 主任研究員	○○蛋白質の機能に関する研究(○○蛋白質の機能発現には、△△遺伝子が関与していることを発見)

--

研究論文数	編(和文[国内] 誌	編、欧文[国際]	編)
著書(レビュー)数	編		

注2) 研究開発経歴については、これまで研究されてきた事項を記載するとともに、各事項ごとに主な研究開発成果について () 書きで簡潔に記載してください。

特許及び関連する事項について

本開発テーマを遂行する上で基礎となる特許等の実績

国内	特許取得	件	出願中	件
	実用新案登録	件	出願中	件
海外	特許取得	件	出願中	件

注 1) 開発テーマに関連するもので、かつ出願者が権利を有するものに限って記載してください。

注 2) 開発テーマ全体の合計件数のみ記載してください。

注 3) PCT 出願の場合は、指定国数にかかわらず 1PCT 出願につき 1 件としてください。

主たる特許の説明

開発テーマに関連する特許について、下記の内容を記載してください。

発明の名称

- 発明者
- 出願国（海外出願を行っている場合に記載してください）
- 出願日（登録されている場合は、登録済みと明記し登録日を記載してください）
- 出願人
- 発明の内容の概略（主要クレームがわかるように記述してください）
- 特許出願内容の自己評価（以下のことをふまえて記載してください）
 - 本発明の新規性、進歩性、実用化の可能性を客観的に見るとどの程度か。
 - 先行技術と比較して、客観的にどこが優れているか。
 - この開発テーマに関連する国内外の第三者の特許等はあるか。ある場合には、この特許との関連性はどうか。開発にあたり影響はないか（特許侵害にならないか）。
 - 申請企業以外の者が出願人となっている場合、開発を進めるにあたり障害とならないか。

注 1) 内容は簡潔に説明してください。開発に無関係、あるいは関係の薄い特許は記載しないでください。

注 2) 公開されている場合は、特許公報の写しを提出してください。

参考となる文献

開発テーマに關与する開発者等が學術誌等に発表した 主な論文及び著書（開発テーマに直接關連する分野での発表に限る）について、最新のものから順に著者名、論文表題、誌名、巻号、ページ、年号を記載してください。

用語の説明

用語	解説

注) 応募様式で使用している専門用語及び略語のうち、必要と思われるものについて、簡単な説明を記述してください。