

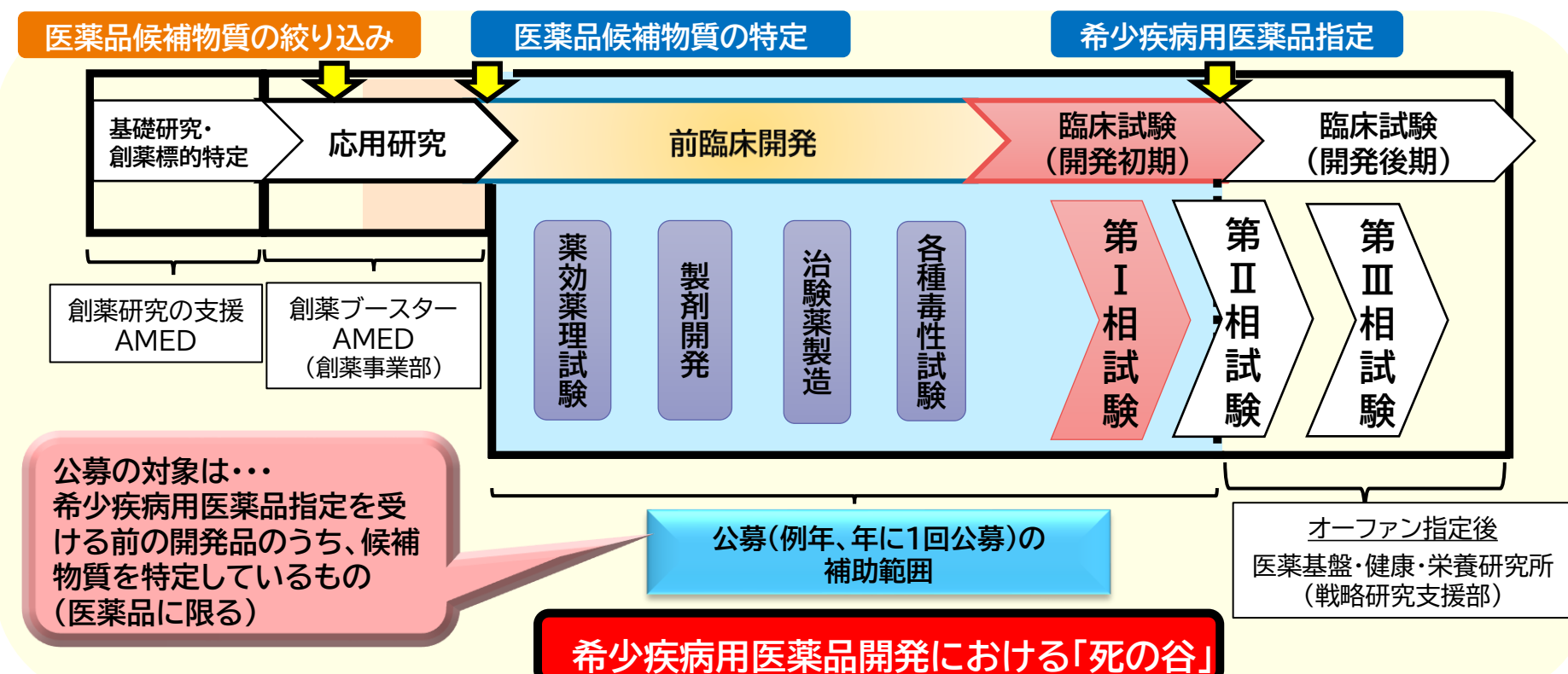
希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業

- 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よる開発を推進し、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にすることを目的として、希少疾病用医薬品指定前の幅広いステージの開発を支援します。
- 支援課題は、例年、年に1回公募しています。
- 予算規模:1課題当たり年間 ヒト初回投与試験実施前: 50,000千円(上限)
ヒト初回投与試験以降 :100,000千円(上限)
- 支援実施予定期間:最長3事業年度

※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ありません。

公募期間:令和8年10月1日～令和8年11月4日正午

公募中



令和8年10月現在、のべ47課題を支援し、5課題が希少疾病用医薬品に指定され、うち1つが薬事承認を取得

支援期間	研究開発課題名	企業名
平成27～29年度	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 ⇒ 令和6年3月 製造販売承認を取得	ノーベルファーマ株式会社
平成28～30年度	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
平成27～29年度 令和3～5年度	抗FGF2アプタマー(RBM-007)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
令和5～7年度	網膜中心動脈閉塞症に対する画期的治療薬の開発(KUS121 Injection)	株式会社京都創薬研究所
平成30～令和2年度 令和3～4年度	低流速型脈管奇形の治療薬の開発(ART-001)	ARTham Therapeutics 株式会社

(オーファン指定を受けた順に記載)

【お問い合わせ先】
AMED創薬事業部
創薬企画・評価課

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業
id3preo@amed.go.jp

事業紹介ページ



令和9年度公募ページ

