

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指定制度及び 再審査期間延長制度について

平成28年10月



厚生労働省医薬・生活衛生局

医薬品審査管理課

医療機器審査管理課

制度の背景について

- 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**※
(以下、「希少疾病用医薬品等」)の指定制度が制定される以前は、難病、エイズ等を対象とする医薬品や医療機器は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことにより、本邦では十分にその研究開発が進んでいない状況にあった。
- 医療をめぐる国民のニーズの多様化等に対応して、安全かつ良質な医薬品・医療機器を一日も早く医療の現場に提供することが求められていた。

こうした国民の期待の高まりや、医薬品・医療機器の研究開発をとりまく状況の変化等を踏まえ、平成5年に薬事法を改正し、希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の試験研究を促進するための特別の支援措置を講ずることとした。

※「薬事法」の改正により、法律の題名が平成26年11月25日に「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(医薬品医療機器法)」に改正され、新たに再生医療等製品について定義されている。

指定制度について①

希少疾病用医薬品等の指定要件

対象患者

国内の対象患者数が5万人に達しない疾患※

※平成27年4月1日から、用途が「指定難病」の場合、5万人以上の疾患であっても本要件を満たすものとする

医療上の 必要性

代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと、又は既存の医薬品と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること

開発の 可能性

対象疾病に対して、当該医薬品等を使用する根拠があり、開発計画が妥当であること

これらの条件を満たす医薬品等を指定

(医薬品医療機器法第77条の2)

指定制度について②

支援等の内容について

優先的な治験相談及び優先審査の実施

＜医薬品医療機器総合機構＞

総審査期間の70%マイル値
(平成27年度PMDA目標)



新医薬品(優先品目)9ヵ月(通常品目は12ヵ月)
新医療機器(優先品目)は10ヵ月(通常品目は14ヵ月)

申請手数料の減額

試験研究費への助成金交付

＜医薬基盤・健康・栄養研究所＞

指定から承認申請までに必要な試験研究に要する直接経費の2分の1に相当する額を上限。

税制措置上の優遇措置

＜医薬基盤・健康・栄養研究所による認定＞

助成金を除く希少疾病用医薬品等の試験研究費総額の20%が税控除の対象。

研究開発に関する指導・助言

＜医薬基盤・健康・栄養研究所＞

○医薬品医療機器法（昭和35年法律第145号）（抄）

（指定等）

- 第七十七条の二 厚生労働大臣は、次の各号のいずれにも該当する医薬品、医療機器又は再生医療等製品につき、製造販売をしようとする者（本邦に輸出されるものにつき、外国において製造等をする者を含む。）から申請があつたときは、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて、当該申請に係る医薬品、医療機器又は再生医療等製品を希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品として指定することができる。
- 一 その用途に係る対象者の数が本邦において厚生労働省令で定める人数に達しないこと。
 - 二 申請に係る医薬品、医療機器又は再生医療等製品につき、製造販売の承認が与えられるとしたならば、その用途に関し、特に優れた使用価値を有することとなる物であること。
- 2 厚生労働大臣は、前項の規定による指定をしたときは、その旨を公示するものとする。

（試験研究等の中止の届出）

- 第七十七条の五 第七十七条の二第一項の規定による指定を受けた者は、当該指定に係る希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品の試験研究又は製造若しくは輸入を中止しようとするときは、あらかじめ、その旨を厚生労働大臣に届け出なければならない。

（指定の取消し等）

- 第七十七条の六 厚生労働大臣は、前条の規定による届出があつたときは、第七十七条の二第一項の規定による指定（以下この条において「指定」という。）を取り消さなければならない。
- 2 厚生労働大臣は、次の各号のいずれかに該当するときは、指定を取り消すことができる。
- 一 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が第七十七条の二第一項各号のいずれかに該当しなくなつたとき。
 - 二 指定に関し不正の行為があつたとき。
 - 三 正当な理由なく希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品の試験研究又は製造販売が行われなとき。
 - 四 指定を受けた者についてこの法律その他薬事に関する法令で政令で定めるもの又はこれに基づく処分に違反する行為があつたとき。
- 3 厚生労働大臣は、前二項の規定により指定を取り消したときは、その旨を公示するものとする。

○医薬品医療機器法施行規則（昭和36年厚生省令第1号）（抄）

（希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器及び希少疾病用再生医療等製品の指定の申請）

第二百五十条 法第七十七条の二第一項の規定による希少疾病用医薬品、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の申請は、様式第百七による申請書(正副二通)を提出することによって行うものとする。

2 前項の申請書には、当該申請に係る医薬品、医療機器又は再生医療等製品に関し、その用途に係る本邦における対象者の数に関する資料、その毒性、薬理作用等に関する試験成績の概要その他必要な資料を添付しなければならない。

（感染性の疾病の予防の用途に用いる医薬品又は再生医療等製品に係る対象者）

第二百五十条の二 前条第一項の申請に係る医薬品又は再生医療等製品が感染性の疾病の予防の用途に用いるものである場合においては、法第七十七条の二第一項第一号の対象者は、当該申請時において当該医薬品又は再生医療等製品につき、製造販売の承認が与えられるとしたならば当該医薬品又は再生医療等製品を当該用途に使用すると見込まれる者とする。

（対象者数の上限）

第二百五十一条 法第七十七条の二第一項第一号に規定する厚生労働省令で定める人数は、五万人とする。ただし、当該医薬品、医療機器又は再生医療等製品の用途が難病の患者に対する医療等に関する法律(平成二十六年法律第五十号)第五条第一項に規定する指定難病である場合は、同項に規定する人数とする。

（試験研究等の中止の届出）

第二百五十二条 法第七十七条の五の規定による希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品の試験研究又は製造販売若しくは製造の中止の届出は、様式第百八による届書を提出することによって行うものとする。

○希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて

(平成27年4月1日付け厚生労働省医薬食品局長通知薬食発0401第11号)

(1) 指定の基準

法第77条の2第1項の規定による希少疾病用医薬品等の指定は、指定の申請に係る医薬品等につき、次のいずれの要件にも該当するものについて行うものであること。

ア 対象者数(施行規則第250条の2及び第251条)

当該医薬品等の用途に係る対象者(感染性の疾病の予防の用途に用いる医薬品又は再生医療等製品にあっては、当該申請時において当該医薬品又は再生医療等製品につき、製造販売の承認が与えられたならば、その用途に使用すると見込まれる者。)の数が、本邦において5万人未満であること。ただし、その用途が指定難病の場合は、難病法第5条第1項に規定する人数(人口のおおむね千分の一程度)まで対象者数の範囲とする。

イ 医療上の必要性

当該医薬品等の製造販売承認が与えられたならば、その用途に関し特に優れた使用価値を有することと見込まれること。

なお法第77条の2第1項第2号の「特に優れた使用価値を有する」とは、原則として、重篤な疾病を対象とするとともに、次のいずれかに該当するなど、特に医療上の必要性の高いことをいうものであること。

(ア) 代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと。

(イ) 既存の医薬品等と比較して、著しく高い有効性又は安全性が期待されること。

ウ 開発の可能性

対象疾病に対して当該医薬品等を使用する理論的根拠があるとともに、その開発に係る計画が妥当であると認められること。

○対象患者数の留意点について

(平成27年4月1日付け厚生労働省医薬食品局長通知薬食発0401第11号)

○当該医薬品等の用途が指定難病以外の場合は、厚生労働科学研究事業や信頼すべき学会の調査結果等を利用して患者数を推定する必要がある。しかし、患者数にかかる調査が十分ではなく、確実な人数を示すことができない疾病の場合は、数種類の統計データ等を用いて推計して、その結果をもって推定患者数が5万人未満であることを示すこと。なお、複数の手法による推計結果が提出されることが望ましい。

○当該医薬品等の用途が指定難病の場合は、対象者数については要件を満たしているものと見なすので、指定難病に指定されている旨の記載を以て患者数を推定する資料の提出に替えられること。

○特定の疾患の患者数に関して、医学薬学上の明確な理由なしに、「重篤な」等の接頭語あるいは、ただし書きを追加することによって、患者数を5万人未満として計算するいわゆる「輪切り申請」については、原則として認めないこと。

○「感染症の疾病の予防の用途に用いる医薬品」とは、次のいずれかの要件に該当する医薬品であること。

- ・国内では発生が希な、又は海外でのみ発生している感染症の疾病であって、その発生が流行地域への訪問者等、特定の集団に限定されているものの予防の用途に用いるワクチン
- ・遺伝子の突然変異等により新たに発生する又は再興する可能性が否定できない感染症の疾病であって、一旦発生すれば国民の生命、健康に重大な影響を与えるおそれがあるものの、その発生時期、流行規模等が不明であり、指定申請時点では発生していないものの予防の用途に用いるワクチン

指定難病について

定義

難病

- 発病の機構が明らかでなく
- 治療方法が確立していない
- 希少な疾病であって
- 長期の療養を必要とするもの

(難病法第一条)

指定難病※

- 難病のうち、以下の要件を満たすものを、患者の置かれている状況からみて良質かつ適切な医療の確保を図る必要性が高いものとして、厚生科学審議会の意見を聴いて、厚生労働大臣が指定
- 患者数が省令で定める人数(人口の概ね0.1%程度)以下
 - 診断に関し客観的な指標による一定の基準が定まっている
- (難病法第五条、難病法施行規則第一条及び第二条)

※指定難病一覧(306疾患)

<http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000079293.html> (平成27年1月1日施行分)

<http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000085261.html> (平成27年7月1日施行分)

指定相談の事前準備について

(1) 相談の申し込み

- 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希望する企業等(以下「相談者」という)からの相談の申し込みについては、随時受け付けを行っている。
- 相談は、希少疾病用医薬品については厚生労働省医薬食品局審査管理課、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品については医療機器・再生医療等製品担当参事官室の指定業務を担当する者(以下「指定業務担当者」という)に申し込むこと。
- 申し込みについては、郵送又はFAXのほか、電話やメールでも受け付けている。なお、様式は希少疾病用医薬品等指定相談申込書が推奨される。また、具体的な品目の相談にあっては、希少疾病用医薬品等概要が添付されることが望ましい。相談の申し込みは日本語によること。

(2) 相談日の決定

- 相談日は、相談の申し込みが行われ、資料が提出された後、指定業務担当者より電話、電子メール又はFAXにより連絡される。

指定相談の実施について

(1) 相談の実施方法

- ・指定相談は指定申請を行う前に行う。
- ・指定相談は厚生労働省内にて行う。
- ・相談時間は原則として30分から1時間程度とすること。
- ・相談人数の制限については特に規定しないが、内容に応じた適切な人数とすること。

(2) 相談時の注意事項

- ・指定申請に必要な資料の案(以下「指定資料(案)」という)を事前に準備することが望ましい。指定資料(案)については、平成27年4月1日付け薬食発0401第11号厚生労働省医薬食品局長通知を参考にすること。
- ・必要に応じ、指定資料(案)に参考文献等を付すこと。
- ・部数は指定業務担当者に事前に確認すること。
- ・指定業務担当者の指示に従い、資料の事前送付等に対応すること。

指定申請資料について

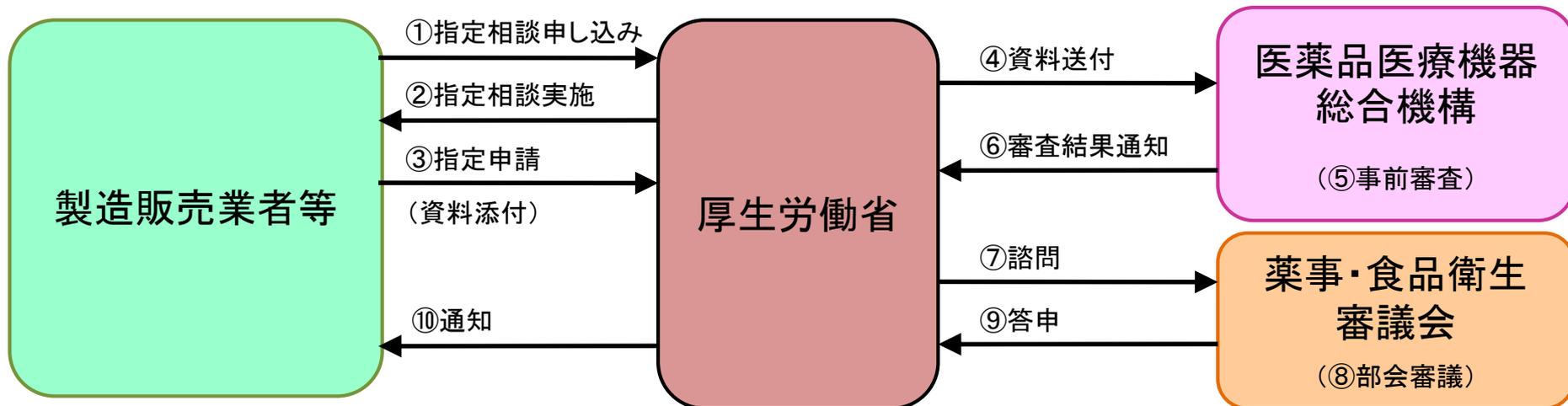
指定申請書

- ・様式(医薬品医療機器法施行規則第250条)
 - 「希少疾病用医薬品指定申請書」(様式第百七(一))、
 - 「希少疾病用医療機器指定申請書」(様式第百七(二))
 - 「希少疾病用再生医療等製品指定申請書」(様式第百七(三))
- ・部数
 - 正本1通、副本3通
- ・提出先
 - 厚生労働省医薬食品局審査管理課又は医療機器・再生医療等製品担当参事官管理室

指定申請資料の添付資料

- ・対象者数に関する資料
 - わが国における当該医薬品等の用途に係る対象患者数に関する客観的な統計資料
- ・医療上の必要性に関する資料
 - － 病因、症状等対象疾病に関する資料
 - － 類似の医薬品等の有無、治療方法の有無など医療の現状に関する資料
- ・当該医薬品又は医療機器を使用する理論的根拠となる資料
 - 承認申請資料(案)のうち、希少疾病用医薬品等の指定申請時に入手可能な資料
- ・開発計画(開発の可能性を判断するための資料)
 - 現在までの開発状況、予定している試験項目、試験期間など開発計画の概要を説明する資料
- ・希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器の概要の作成
 - 部会説明用資料及び公表用資料として、希少疾病用医薬品等概要を作成する。

指定までの手順



試験研究等の中止の届出について

希少疾病用医薬品等の指定を受けた者が、当該指定に係る希少疾病用医薬品等の試験研究又は製造販売若しくは製造を中止しようとするときは、あらかじめ少なくとも中止の1年前までに厚生労働大臣に届け出なければならない。

なお、中止届書の提出にあたっては、事前に厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課の指定業務担当者に連絡をとること。

中止届書

・様式(医薬品医療機器法施行規則第252条)

「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／製造販売／製造中止届書」(様式第百八)

・部数

正本1通、副本1通

・提出先

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課

※中止届書を受理した後、薬事・食品衛生審議会に報告のうえ、希少疾病用医薬品等の指定の取消しが通知されることとなる。

開発中止の際のみでなく、薬事承認を得た希少疾病用医薬品等の製造販売を中止する際にも、あらかじめ届出が必要です。

オーファン指定の承継の取扱いについて

指定者から、他の者(以下「承継者」という。)に本邦での開発権を譲渡する場合、指定者は、試験研究等の中止の届出を行い、承継者は、指定申請書及び希少疾病用医薬品等の概要の資料を提出すること。ただし、指定者が当該指定を受けた時点から、変更が生じている場合には、変更部分について、承継時点でも指定要件を充足することを示す資料もあわせて提出すること。なお、承継は別途発出する指定書を以て認めるものとする。

なお、承継を検討している指定者は事前に医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課の指定業務担当者へ相談すること。その際、承継に係る契約書の写しや承継の経緯等が把握できる資料等も提出すること。

(平成27年4月1日付け薬食発0401第11号厚生労働省医薬食品局長通知)

製造販売承認申請者とオーファン指定者が異なる場合、

申請手数料の減免、優先審査、再審査期間延長の対象にならない可能性があります。

オーファン指定者が他の法人等に関与権を譲渡する場合は、予め必ず指定業務担当者へ相談すること。

希少疾病用医薬品の再審査期間延長制度について①

○平成5年8月25日付け薬発725号厚生省薬務局長通知

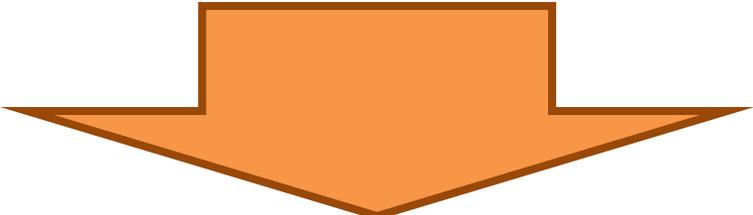
2 再審査期間

(1) 法第14条の2第1項第1号に規定する調査期間は原則として次のとおりとし、当該調査期間経過後3月以内に再審査を受けなければならないこと。

ア 次のいずれかに該当する新医薬品 10年

(ア) 希少疾病用医薬品

(イ) 市販後調査において、当該医薬品の長期使用による延命効果、QOLの改善、合併症の予防効果等、患者に対する総合的な治療効果を指標とした評価を、薬剤疫学的手法を用いて行う必要があると承認時において明らかに認められる医薬品



希少疾病用医薬品に指定された医薬品は、原則として、再審査期間は10年付与される。

希少疾病用医薬品の再審査期間延長制度について②

○医薬品医療機器法 (新医薬品等の再審査)

第十四条の四 次の各号に掲げる医薬品につき第十四条の承認を受けた者は、当該医薬品について、当該各号に定める期間内に申請して、厚生労働大臣の再審査を受けなければならない。

- 一 既に第十四条又は第十九条の二の承認を与えられている医薬品と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が明らかに異なる医薬品として厚生労働大臣がその承認の際指示したもの(以下「新医薬品」という。) 次に掲げる期間(以下この条において「調査期間」という。)を経過した日から起算して三月以内の期間(次号において「申請期間」という。)

イ 希少疾病用医薬品その他厚生労働省令で定める医薬品として厚生労働大臣が薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて指定するものについては、その承認のあつた日後六年を超え十年を超えない範囲内において厚生労働大臣の指定する期間

ロ 既に第十四条又は第十九条の二の承認を与えられている医薬品と効能又は効果のみが明らかに異なる医薬品(イに掲げる医薬品を除く。)その他厚生労働省令で定める医薬品として厚生労働大臣が薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて指定するものについては、その承認のあつた日後六年に満たない範囲内において厚生労働大臣の指定する期間

ハ イ又はロに掲げる医薬品以外の医薬品については、その承認のあつた日後六年

- 二 新医薬品(当該新医薬品につき第十四条又は第十九条の二の承認のあつた日後調査期間(次項の規定による延長が行われたときは、その延長後の期間)を経過しているものを除く。)と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が同一性を有すると認められる医薬品として厚生労働大臣がその承認の際指示したもの 当該新医薬品に係る申請期間(同項の規定による調査期間の延長が行われたときは、その延長後の期間に基づいて定められる申請期間)に合致するように厚生労働大臣が指示する期間

希少疾病用再生医療等製品の 再審査期間延長制度について

希少疾病用再生医療等製品についても同様に、原則として再審査期間は10年付与される。
(平成27年8月26日付け薬食機参発0826第4号厚生労働省大臣官房参事官通知)

○医薬品医療機器法

(新再生医療等製品等の再審査)

第二十三条の二十九 次の各号に掲げる再生医療等製品につき第二十三条の二十五の承認(第二十三条の二十六第一項の規定により条件及び期限を付したものを除く。以下この条において同じ。)を受けた者は、当該再生医療等製品について、当該各号に定める期間内に申請して、厚生労働大臣の再審査を受けなければならない。

- 一 既に第二十三条の二十五の承認又は第二十三条の三十七の承認(同条第五項において準用する 第二十三条の二十六第一項の規定により条件及び期限を付したものを除く。以下この項において同じ。)を与えられている再生医療等製品と構成細胞、導入遺伝子、構造、用法、用量、使用方法、効能、効果、性能等が明らかに異なる再生医療等製品として厚生労働大臣がその承認の際指示したもの(以下「新再生医療等製品」という。) 次に掲げる期間(以下この条において「調査期間」という。)を経過した日から起算して三月以内の期間(次号において「申請期間」という。)

イ 希少疾病用再生医療等製品その他厚生労働省令で定める再生医療等製品として厚生労働大臣が薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて指定するものについては、その承認のあつた日後六年を超え十年を超えない範囲内において厚生労働大臣の指定する期間

ロ 既に第二十三条の二十五の承認又は第二十三条の三十七の承認を与えられている再生医療等製品と効能、効果又は性能のみが明らかに異なる再生医療等製品(イに掲げる再生医療等製品を除く。)その他厚生労働省令で定める再生医療等製品として厚生労働大臣が薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて指定するものについては、その承認のあつた日後六年に満たない範囲内において厚生労働大臣の指定する期間

ハ イ又はロに掲げる再生医療等製品以外の再生医療等製品については、その承認のあつた日後六年

- 二 新再生医療等製品(当該新再生医療等製品につき第二十三条の二十五の承認又は第二十三条の三十七の承認のあつた日後調査期間(次項の規定による延長が行われたときは、その延長後の期間)を経過しているものを除く。)と構成細胞、導入遺伝子、構造、用法、用量、使用方法、効能、効果、性能等が同一性を有すると認められる再生医療等製品として厚生労働大臣がその承認の際指示したもの 当該新再生医療等製品に係る申請期間(同項の規定による調査期間の延長が行われたときは、その延長後の期間に基づいて定められる申請期間)に合致するように厚生労働大臣が指示する期間

指定年度別の承認取得、開発、指定取消の状況 (医薬品過去10年分)

年度	希少疾病用医薬品 (品目数)			
	指定	承認	開発中	取消
19	8	8	0	0
20	16	10(+1)	3	3
21	4	3	1	0
22	15	13	2	0
23	27	22(+1)	5	0
24	31	22(+2)	7	2
25	29※	14(+4)	15※	1
26	28	10(+4)	18	0
27	22	5(+5)	17	0
28	7	0	7	0

* 昨年の説明会開催時から承認数が増加している年度については、(平成28年8月31日現在)赤字で件数と増加分を示している。

※平成26年11月25日以降、2品目が希少疾病用再生医療等製品とみなされている。

指定年度別の承認取得、開発、指定取消の状況 (医療機器・再生医療等製品過去10年分)

年度	希少疾病用医療機器 (品目数)				希少疾病用再生医療等製品 (品目数)			
	指定	承認	開発中	取消	指定	承認	開発中	取消
19	1	1	0	0				
20	4※1	2	0※1	2				
21	3	3	0	0				
22	0※1	0	0※1	0				
23	1	1	0	0				
24	0	0	0	0				
25	1	1	0	0	2※2	1(+1)※2	1※2	0
26	3	3(+2)	0	0	2	1(+1)	1	0
27	0	0	0	0	0	0	0	0
28	1	0	1	0	1	0	1	0

* 昨年の説明会開催時から承認数が増加している年度については、
 赤字で件数と増加分を示している。

(平成28年9月30日現在)

※1 平成26年11月25日以降、1品目が希少疾病用再生医療等製品とみなされている。

※2 平成26年11月25日以降、希少疾病用再生医療等製品とみなされている品目。

希少疾病用再生医療等製品への みなし指定について

医薬品医療機器法附則第五十六条に基づき、以下の4品目が希少疾病用再生医療等製品の指定を受けたものとみなされている。なお指定番号は変わらない。

指定日	指定番号	品目名	予定される効能・効果等	申請者	指定時の区分
H20.06.11	(20機)第15号	他家培養角膜上皮細胞シート	角膜上皮細胞疲弊症患者の角膜上皮の修復又は視機能の改善	アルブラスト(株)	希少疾病用医療機器
H23.03.18	(23機)第22号	ヒト自家移植組織	表皮水疱(ほう)症患者に発生する難治性のびらん・潰瘍を適応対象とする。本品は、難治性のびらん・潰瘍部位に適用し、速やかに上皮化させることを目的とする。	(株)ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	希少疾病用医療機器
H25.12.12	(25薬)第325号	NPR-01	クローン病性瘻孔(外瘻(痔瘻を含む))	日本製薬(株)	希少疾病用医薬品
H25.12.12	(25薬)第326号	JR-031	急性移植片対宿主病	JCRファーマ(株)	希少疾病用医薬品

Q & A ①

Q. 候補物質は新規成分でなくてもよいのか。追加効能も指定申請できると考えてよいか。

A. 既存成分の追加効能についても指定申請することができる。候補物質は新規成分に限らない。

Q & A ②

Q. 基礎の早い段階のものは指定されないのか。

A. 基礎試験の段階であることのみをもって、指定しないと判断するものではない。しかし、他の場合と同様に指定基準を満たしているかどうかにより判断されるため、指定基準を満たすことを示す十分なデータが無い段階においては、指定が困難となることが予測される。

Q & A ③

Q. 海外でオーファンドラッグとして承認を受けている製品を導入する場合、国内における臨床開発の開始に先立って指定を受けることは可能か。

A. 海外でオーファンドラッグとして承認を受けている医薬品であっても、そのことのみをもって指定の可否の判断を行うものではなく、他の場合と同様に指定基準を見たしているかどうかにより判断される。しかし、申請の際、海外データを用いることは可能であり、それらのデータにより指定基準を満たすことが示される場合には、国内における臨床開発の開始に先立って指定される場合もあり得る。

Q & A ④

Q.特定の疾患を医学薬学上の明確な理由なしに、「重篤の」等の接頭語あるいは、ただし書きを付すことによって効能を限定し、患者数を5万人以下に区切り、希少疾病用医薬品等制度の優遇措置を得ようとするいわゆる輪切り申請は認められるのか。

A.このような申請は、原則として認めていない。

※「重篤の」「重度の」「重症の」「多剤無効の」等の接頭語もしくはただし書きについては、原則として認めない。ただし、その接頭語もしくはただし書きを付すことに明確な医学・薬学的根拠がある場合についてはその限りではない。

Q & A ⑤

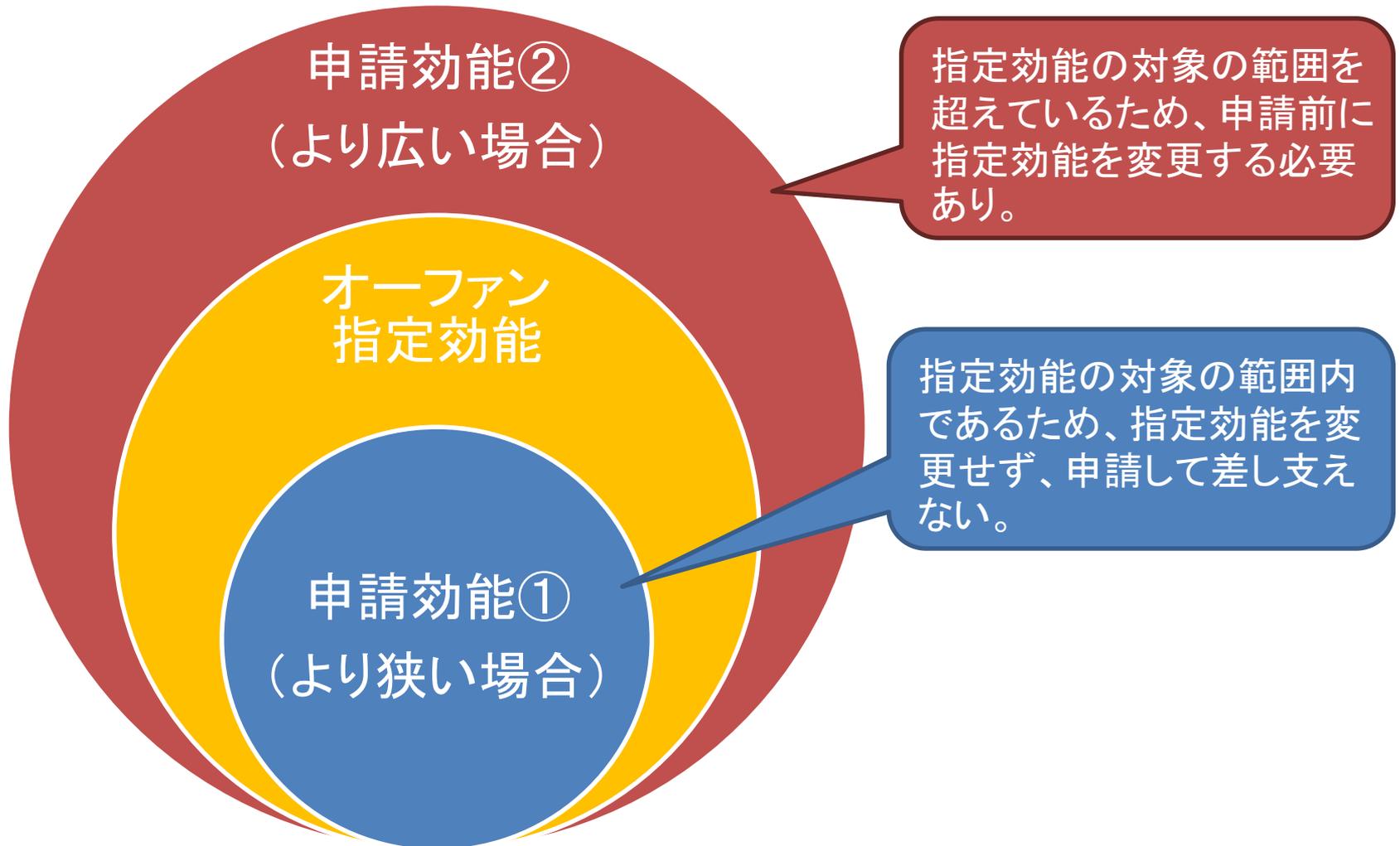
Q.オーファン指定されている「予定される効能又は効果」と異なる効能又は効果で、承認申請することは可能か。

A.指定されている対象疾患の範囲内の場合は、効能又は効果を変更して差し支えない。

効能又は効果を拡大する場合は、拡大後の対象疾患がオーファン指定要件（患者数及び医療上の必要性）を満たしているか確認する必要があることから、原則として、再度、拡大後の効能又は効果について指定要件への該当性を確認した上で薬事・食品衛生審議会を通して、指定し直す必要がある。

オーファン指定されている「予定される効能又は効果」と異なる効能又は効果で、承認申請する可能性がある場合は、速やかに規制当局に事前に相談されたい。

Q & A ⑤補足



本日のポイント (お復習い)

オーファン指定の承継の取扱いについて

指定者から、他の者(以下「承継者」という。)に本邦での開発権を譲渡する場合、指定者は、試験研究等の中止の届出を行い、承継者は、指定申請書及び希少疾病用医薬品等の概要の資料を提出すること。ただし、指定者が当該指定を受けた時点から、変更が生じている場合には、変更部分について、承継時点でも指定要件を充足することを示す資料もあわせて提出すること。なお、承継は別途発出する指定書を以て認めるものとする。

なお、承継を検討している指定者は事前に医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課の指定業務担当者へ相談すること。その際、承継に係る契約書の写しや承継の経緯等が把握できる資料等も提出すること。

(平成27年4月1日付け薬食発0401第11号厚生労働省医薬食品局長通知)

製造販売承認申請者とオーファン指定者が異なる場合、**申請手数料の減免、優先審査、再審査期間延長の対象にならない**可能性がございますので、オーファン指定者が他の法人等へ開発権を譲渡する場合は、予め必ず指定業務担当者へ相談すること。

Q & A ⑤

Q.オーファン指定されている「予定される効能又は効果」と異なる効能又は効果で、承認申請することは可能か。

A.指定されている対象疾患の範囲内の場合は、効能又は効果を変更して差し支えない。

効能又は効果を拡大する場合は、拡大後の対象疾患がオーファン指定要件(患者数及び医療上の必要性)を満たしているか確認する必要があることから、原則として、再度、拡大後の効能又は効果について指定要件への該当性を確認した上で薬事・食品衛生審議会を通して、指定し直す必要がある。

オーファン指定されている「予定される効能又は効果」と異なる効能又は効果で、承認申請する可能性がある場合は、速やかに規制当局に事前に相談されたい。

ご清聴ありがとうございました