

希少疾病用医薬品等 ガイド

オーファンドラッグ等指定制度等の概要

まえがき

難病等のように患者数が少ない疾患を対象とする希少疾病用医薬品・医療機器については、医療上の必要性が高いにもかかわらず、治験の困難さや市場規模の小ささ等により十分に開発が進まない現状があります。このような医薬品を希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）、医療機器を希少疾病用医療機器（オーファンデバイス）といいます。（以下これらを「オーファンドラッグ等」と総称します。）このような難病患者等を救済するためには、オーファンドラッグ等の研究開発を促進するための特別の支援措置を講じる必要があります。

このような状況を背景として平成 5 年 4 月に「薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律」が公布され（施行は平成 5 年 10 月 1 日）、オーファンドラッグ等の開発支援について薬事法等に規定され、研究開発促進制度が始まりました。制度開始以降、着実に希少疾病用医薬品・医療機器としての指定が進み、その中から承認、市販されているものも増えていきます。これらの希少疾病用医薬品・医療機器は、難病患者等の治療に重要な役割を担っています。

その後、オーファンドラッグ等をめぐる状況にはさまざまな変化がみられ、特に行政側の業務体制は研究開発促進制度が設立された当時と大きく異なっています。平成 16 年 4 月に国立医薬品食品衛生研究所医薬品医療機器審査センター、医薬品副作用被害救済・研究振興調査機構及び財団法人医療機器センターの一部の業務を統合し、独立行政法人医薬品医療機器総合機構が新たに設立されました。審査関係の部署が統合されたため、オーファンドラッグに関する指導・助言を実施するに当たってより連携をとりやすい環境となってきました。更に、オーファン指定品目においても、審査部が行う有料の対面助言を受けられることとなっています。また、平成 17 年 4 月には国立医薬品食品衛生研究所大阪支所を主な母体に、国立感染症研究所、独立行政法人医薬品医療機器総合機構の組織の一部を統合して独立行政法人医薬基盤研究所が設立され、当該研究所がオーファンドラッグ等の開発振興業務を引き継ぎ、開発支援事業を行っています。

このような状況を鑑み、希少疾病用医薬品等制度の概要、開発振興、手続き等をより明確にすることにより、オーファンドラッグ等の指定手続き等を円滑にし、指定制度等に関する Q&A をより具体化し、指定可否判断の一律化を図られるよう、本ガイドを開発しました。

希少疾病用医薬品等制度は、行政側（厚生労働省、独立行政法人医薬品医療機器総合機構及び独立行政法人医薬基盤研究所）と医薬品等の開発に当たる企業

側の各関係者が連携をうまく保つことができ、はじめて有効に機能するものです。その意味からも、本ガイドが制度とその運用の理解に役立つことを期待します。

なお、本ガイド中では、「独立行政法人医薬品医療機器総合機構」及び「独立行政法人医薬基盤研究所」をそれぞれ「総合機構」及び「医薬基盤研究所」と略記しました。また、「オーファンドラッグ」はこのような医薬品を総称的に示すために用い、薬事法に基づく場合は「希少疾病用医薬品」と「希少疾病用医療機器」といい、これらをまとめていうときは「希少疾病用医薬品等」と記載しています。

2014年5月開設

最終改訂 2014年8月28日

執筆：

厚生労働省医政局研究開発振興課

厚生労働省医薬食品局審査管理課

医薬品医療機器総合機構

医薬基盤研究所研究振興部開発振興課

目 次

I 希少疾病用医薬品等の指定制度概要	5
1. 制度の概要	
2. 希少疾病用医薬品等指定制度に係る組織	
3. 希少疾病用医薬品等の指定手続について	
4. 希少疾病用医薬品等の指定の取り消しについて	
II 希少疾病用医薬品等の開発振興	19
1. 開発振興業務の概要	
2. 助成金交付事業	
3. 事務手続き	
4. 助成金交付申請における留意事項	
5. 納付金	
III 希少疾病用医薬品等に係る指導・助言	24
IV 希少疾病用医薬品等に係る税制	27
1. オーフアンドラッグ税制の概要	
2. 医薬基盤研究所における認定の手続き	
V 希少疾病用医薬品等に係る情報提供	30
VI Q & A	33
1. 指定制度について	
2. 指導・助言について	
3. 助成金について	
4. 税額控除に係る試験研究費の額の認定について	
日米欧のオーファンドラッグ制度比較	51
参考資料	53
通知集	<別ファイル>

I 希少疾病用医薬品等の指定制度概要

1. 制度の概要

希少疾病用医薬品等は、対象者数が本邦において 5 万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものである。制度の趣旨・概要を以下に示す。

1) 制度の趣旨

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、十分にその研究開発が進んでいない状況にある。また、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等を 1 日も早く医療の現場に提供することが求められている。このため、こうした国民の期待の高まりや、医薬品等の研究開発をとりまく状況の変化等を踏まえ、希少疾病用医薬品等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ものである。

2) 制度の概要

厚生労働大臣は、企業からの申請に基づき、次の指定基準に合致するものを希少疾病用医薬品等として指定することができる。

【指定基準】

- ① 本邦における対象者数が 5 万人未満であること。
- ② 医療上、特にその必要性が高いこと。
- ③ 開発の可能性が高いこと。

希少疾病用医薬品等として指定されたものについては、以下に示すように試験研究に関する助成金の交付、指導・助言、税制優遇措置、優先審査、再審査期間の延長等の支援措置が講じられる。

なお、希少疾病用医薬品等の指定が、直ちに医薬品等の製造販売承認に

結びつくものではない。

(1) 助成金の交付（Ⅱ章参照）

希少疾病用医薬品等の開発に係る経費の負担を軽減するため、医薬基盤研究所を通して助成金の交付を受けることができる（平成25年度予算総額8億7千万円）。

(2) 指導・助言（Ⅲ章参照）

希少疾病用医薬品等に関する試験研究について厚生労働省、（独）医薬品医療機器総合機構（以下「機構」という。）及び（独）医薬基盤研究所による指導・助言を受けることができる。なお、機構では優先対面助言制度がある。

(3) 税制措置（Ⅳ章参照）

（独）医薬基盤研究所からの助成金の交付対象期間に行う試験研究に係る費用のうち、希少疾病用医薬品等試験研究費（医薬基盤研究所の助成金を除く）の12%を税制控除額として算定できる。

(4) 優先審査

希少疾病用医薬品等に指定されたものについては、できるだけ早く医療の現場に提供できるよう、他の医薬品等に優先して承認審査が行われる。

(5) 再審査期間の延長

希少疾病用医薬品等に指定され、承認された医薬品等については、再審査期間が最長10年間（医療機器については最長7年間）付与される。

また、異種効能の追加を行った場合の再審査期間は基本的には下表のとおり設定される。

既存効能	追加効能	追加効能の再審査期間
① 一般効能（再審査期間 8 年） 残余 4 年以上 残余 4 年未満	→ 一般効能 → → 一般効能 →	残余期間 4 年
② 一般効能（再審査期間 8 年）	→ オーフアン効能 →	10 年
③ オーフアン効能のみ（再審査期間 10 年）	→ 一般効能 →	5 年 10 月*
④ オーフアン効能（再審査期間 10 年）	→ オーフアン効能 →	10 年
⑤ オーフアン効能＋一般効能（再審査期間 10 年）	→ 一般効能 →	4 年
* 薬新薬第 92 号（平成 5 年 10 月 1 日付）及び医薬審第 1813 号（平成 12 年 12 月 27 日付）		

3) 指定基準について

① 対象者数

当該医薬品又は医療機器（以下「医薬品等」という。）の用途に係る対象者（感染症の疾病の予防の用途に用いる医薬品にあっては、当該申請時において、当該医薬品の製造販売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。

* 厚生科学研究班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。

しかし、難病等については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場合が多い。そこで、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が一般的である。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。

** 平成 18 年度より、指定申請時点でその用途に使用すると見込まれる者が 5 万人未満であれば、次のような新医薬品についても指定を受けることが可能となった。

- ① 国内では発生が稀な、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

- ② 遺伝子の突然変異など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、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

③ 医療上の必要性

難病など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が高いものであること。

(ア) 代替する適切な医薬品等又は治療法がないこと。

(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。

- * 指定の事前相談において確認がなされる事項は以下のとおり（必ずしも全てを満たしている必要はない）
 - ・ 難治性疾患克服研究事業の 123 疾患及び特定疾患治療研究事業の 45 疾患の医薬品等であるか。
 - ・ 死亡率、予後等を勘案して、重篤な疾患の医薬品等であるか。
 - ・ 代替する適切な治療法の存在しない疾患あるいは、既存の治療法と比較して著しく高い有効性又は安全性若しくはその両方が期待されている医薬品等であるか

④ 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。

- * 海外において既に承認がなされていること、臨床研究などにより既に十分なデータが存在する場合等を除き、臨床試験の第Ⅰ相の後半、第Ⅱ相の前半の段階で、それまでの非臨床・臨床のデータをもとに開発の可能性を説明することが望ましい。

2. 希少疾病用医薬品等指定制度に係る組織

希少疾病用医薬品等制度において、主な行政機関の役割は以下のとおりである。

(1) 厚生労働省

- ① 希少疾病用医薬品等の指定申請に係る審査及び指定
- ② 希少疾病用医薬品等の承認申請にかかわる審査及び承認

- ③ 希少疾病用医薬品等の指定前の相談業務
- ④ 医薬基盤研究所に対する運営費交付金の交付

(2) 機構

- ① 希少疾病用医薬品等に係る承認申請前の試験研究の実施及び承認申請資料に関する相談（優先対面助言）
- ② 希少疾病用医薬品等の承認申請後の承認審査（優先審査）

(3) 医薬基盤研究所

- ① 製薬企業等、指定を受けた者に対する助成金の交付
- ② 製薬企業等、指定を受けた者に対する試験研究費の額の認定
- ③ 製薬企業等、指定を受けた者に対する指導・助言の実施

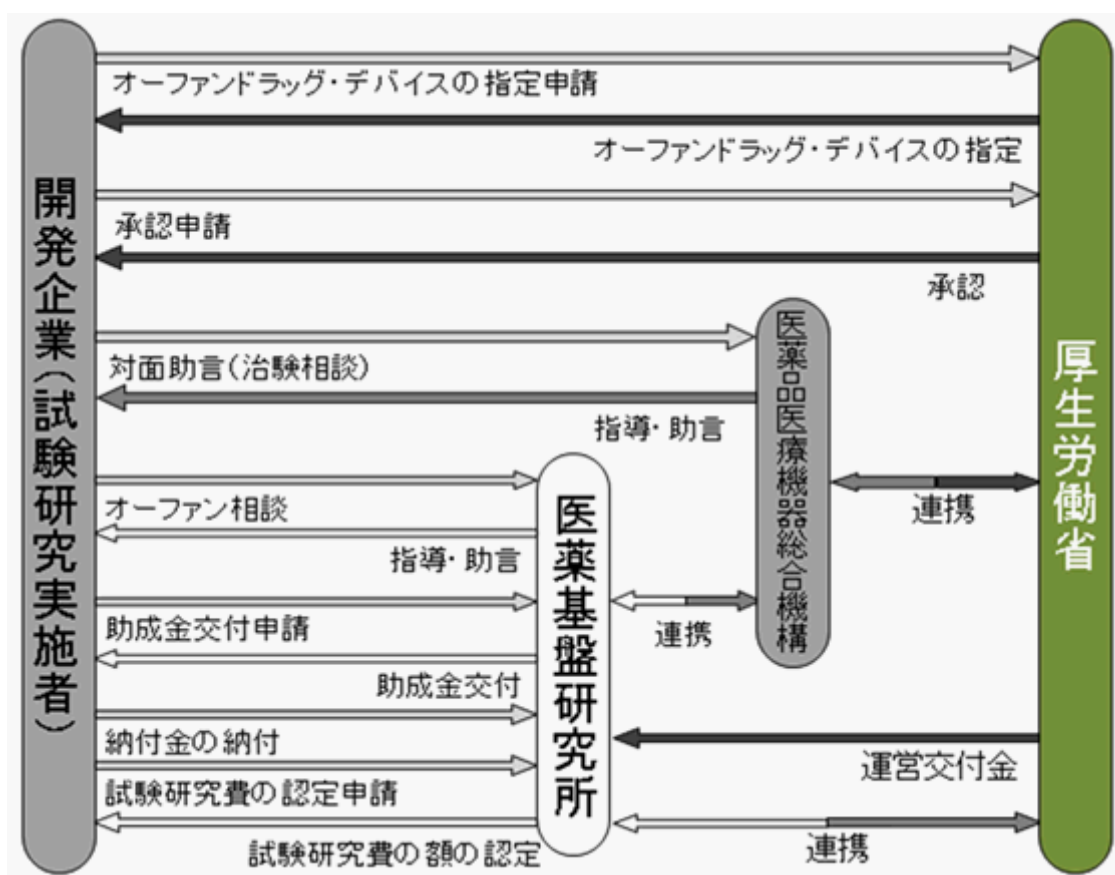


図 オーファン制度に係る組織

3. 希少疾病用医薬品等の指定手続について

1) 指定の基準について・・・（工事中）

2) 指定の手続きについて

希少疾病用医薬品等の指定申請は、常時受け付けている。指定申請を受け付けた後、薬事・食品衛生審議会の審議を経て指定を行う。希少疾病用医薬品等の指定は審議の約2～3週間後に行われる。

3) 指定相談の事前準備

(1) 相談の申し込み

- ① 希少疾病用医薬品等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。
- ② 相談は、審査管理課の希少疾病用医薬品等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。
- ④ 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、様式は別紙1の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、別紙2の希少疾病用医薬品等概要が添付されることが望ましい。
- ④ 相談の申し込みは日本語によること。（以後、相談等も同じ）

(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又はFAXにより連絡される。

2) 指定相談の実施

(1) 相談の実施方法

- ① 相談時間は原則として30分程度とすること。
- ② 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

- ① 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。提出資料については、平成5年8月25日付け薬発第725号薬務局長通知を参考にする事。
- ② 必要に応じ、指定資料（案）に参考文献等を付すこと。
- ③ 事前に資料を提出するかについては、審査管理課の指定業務担当者と相の上決めること。

3) 指定申請に関する事項

- (1) 指定相談実施後、特段の問題がなければ、指定申請書を審査管理課宛てに

正副 4 通（正本 1 通、副本 3 通）提出する。書類が整っていれば受け付けるが、不備があれば受けできないこともある。また、指定基準に合致しないことが明らかな場合は、受けしないことになる。

① 指定申請書（別紙 3 の(1)医薬品及び 3 の(2)医療機器）

ア. 様式（薬事法施行規則第 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））

イ. 部数

正本 1 通, 副本 3 通

ウ. 提出先

厚生労働省医薬食品局審査管理課

② 指定申請書の添付資料

ア. 対象者数に関する資料

我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

イ. 医療上の必要性に関する資料

(ア) 病因, 症状等対象疾病に関する資料

(イ) 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

ウ. 当該医薬品を使用する理論的根拠となる資料

イ～トの資料（H17.3.31 薬食発第 0331015 号 別表 1）で申請時に入手可能な資料

エ. 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, 所要経費など開発計画の概要を説明する資料

③ 希少疾病用医薬品等概要の作成

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。希少疾病用医薬品等概要の様式は別紙 2 のとおり。

(2) 審査管理課で指定申請書を受理した後, 希少疾病用医薬品等としての指定の可否について審査を行う。

(3) 審査の結果, 指定して差し支えないとの判断がなされた場合には, 薬事・食品衛生審議会に諮問を行う。

(4) 薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会又は医薬品第二部会（希少疾病用医療機器の場合は, 医療機器・体外診断薬部会又は医療材料部会）での審議で, 指定しても差し支えないとの答申が得られた場合には, 原則として指

定を行うものとする。

- (5) 諸手続が終了後、指定書は申請者に郵送される。また、厚生労働省告示として、指定された旨（医薬品等の名称（成分名）、予定される効能又は効果、申請者の氏名又は名称及び住所並びに指定年月日）を官報に掲載する。なお、官報掲載の際、申請者の住所確認のために登記簿等の提出を求められることがある。

4. 希少疾病用医薬品等の指定の取り消しについて

1) 試験研究等の中止の届出

- (1) 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、事前に審査管理課の指定業務担当者及び医薬基盤研究所に連絡をとること。

① 中止届書（別紙4）

ア. 様式（薬事法施行規則第252条）

「希少疾病用医薬品／希少疾病用医療機器 試験研究／製造販売／製造 中止届書」（様式第百八）

イ. 部数

正本1通

ウ. 提出先

厚生労働省医薬食品局審査管理課

- (2) 審査管理課で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り消しが通知されることとなる。また、厚生労働省告示として、指定が取消された旨を官報に掲載する。

2) 指定の取り消し

次のいずれかに該当するときは、指定を取り消すことがある。

ア 「対象患者数」の要件を欠くと認められるとき。

イ 他の医薬品等が承認されたことなどにより、「医療上の必要性」の要件を欠くと認められるとき。

ウ 指定申請書の虚偽記載等不正があったと認められるとき。

エ 正当な理由なく希少疾病用医薬品等の試験研究又は製造販売が行われな

いとき。

オ 指定を受けた者について薬事に関する法令又はこれに基づく処分に違反する行為があったとき。

希少疾病用医薬品等指定相談申込書

厚生労働省医薬食品局審査管理課
 オープファン指定業務担当者 宛

会社名	相談者名（出席者名及び所属部署）
連絡先電話・FAX 番号 () — () —	希望相談日 第1希望：平成 年 月 日 午前・午後 第2希望：平成 年 月 日 午前・午後 第3希望：平成 年 月 日 午前・午後
指定候補物質名	
予定される効能・効果	
相談事項	

(注) 1. 相談事項は、具体的にかつ簡潔に記入すること。

2. 様式は A4 版とすること。

※ 必ずしも、希望相談日に相談を実施できるものではないことに留意すること。

希少疾病用医薬品等概要

名称	
予定される 効能・効果	
申請者名	
対象疾患について	対象疾患の概略説明，患者数等を記載
対象疾患に対する本剤の効能・効果等について	医療上の必要性，これまでの臨床試験成績（外国を含む），開発状況等を記載

- (注) 1. 様式は A4 版とすること。
2. 詳細についてさらに説明を要する場合には，別添として添付することは差し支えない。

希少疾病用医薬品指定申請書

名称	
成分及び分量又は本質	
製造方法	
予定される用法及び用量	
予定される効能又は効果	
使用価値が特に優れていると判断する理由	
備考	

上記により，希少疾病用医薬品の指定を申請します。

年 月 日

住所 法人にあつては，主たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては，名称及び代表者の氏名

印

厚生労働大臣 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは，日本工業規格 A4 とすること。
- 2 この申請書は，正副 2 通提出すること。
- 3 字は，墨，インク等を用い，楷書ではっきり書くこと。

希少疾病用医療機器指定申請書

類別	
名称	
形状, 構造及び原理	
原材料又は構成部品	
製造方法	
予定される使用目的, 効能 又は効果	
予定される操作方法又は 使用方法	
使用価値が特に優れてい ると判断する理由	
備考	

上記により, 希少疾病用医療機器の指定を申請します。

年 月 日

住所 法人にあつては, 主
たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては, 名
称及び代表者の氏名

印

厚生労働大臣 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは, 日本工業規格 A4 とすること。
- 2 この申請書は, 正副 2 通提出すること。
- 3 字は, 墨, インク等を用い, 楷書ではっきり書くこと。
- 4 粉状又は液状の医療機器にあつては, 形状, 構造及び原理欄の記載を要しないこと。

希少疾病用医薬品
希少疾病用医療機器

試験研究
製造販売
製 造

中止届書

指定年月日	
名称	
中止の理由	
備考	

上記により、希少疾病用医薬品
希少疾病用医療機器

の 試験研究
製造販売
製 造

中止の届出をします。

年 月 日

住所 法人にあつては、主
たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては、名
称及び代表者の氏名

印

厚生労働大臣 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは、日本工業規格 A4 とすること。
- 2 この申請書は、正副 2 通提出すること。
- 3 字は、墨、インク等を用い、楷書ではっきり書くこと。

Ⅱ 希少疾病用医薬品等の開発振興

1. 開発振興業務の概要

総合機構は、①優先審査、②医薬品申請手数料の減額、③対面助言の優先制度及び手数料の減額の開発振興業務を平成5年度より行っている。

また、医薬基盤研究所は、総合機構で行っていた研究開発促進業務を引き継ぎ、希少疾病用医薬品等の開発振興業務を平成17年度より行っている。

①助成金交付事業

希少疾病用医薬品等として厚生労働大臣から指定を受けた企業に対し、その試験研究に必要な経費に充てるための助成金を交付する。

②指導・助言事業

厚生労働省、総合機構及び医薬基盤研究所が連携をとりつつ、試験研究の計画・実施や承認申請資料の整備について、開発企業に対して指導・助言を行う。

③認定事業

助成金交付期間内に行われた希少疾病用医薬品等の試験研究に要した費用について、企業からの申請に基づき額の認定を行う。この認定額について後述する希少疾病用医薬品等に係る税制が適用される。

2. 優先審査

希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器に指定されたものは、できる限り早期に医療の現場に提供できるよう、通常、他の医薬品・医療機器に優先して承認審査がなされる。すなわち承認審査の各段階において、可能な限り承認審査順位が優先される。

また、優先品目として扱われるため、承認審査期間は、行政側、申請者側の双方の努力により、平成23年度以降は、医薬品は中央値9ヵ月（行政側：6ヵ月、申請者側：3ヵ月）、医療機器は中央値10ヵ月（行政側：6ヵ月、申請者側4ヵ月）を達成することが目標とされている（独立行政法人医薬品医療機器総合機構中期計画（平成21年3月31日厚生労働省発薬食第0332002

号認可))。

	優先品目	通常品目
新医薬品	9 ヲ月	12 ヲ月
新医療機器	10 ヲ月	14 ヲ月

3. 医薬品申請手数料の減額

希少疾病用医薬品に指定された場合、機構における審査及び適合性調査に係る申請手数料が減額される。詳細は薬事法関係手数料令を参照のこと。

例：新規承認

コード	手数料区分		
GAA	新薬その1（オーファン以外）	先の申請品目	31,068,900
GAB		規格違い品目	4,298,300
GAC	新薬その1（オーファン）	先の申請品目	23,847,800
GAD		規格違い品目	3,050,700
GAK	新薬その2（オーファン以外）	先の申請品目	14,230,600
GAL		規格違い品目	1,908,200
GAM	新薬その2（オーファン）	先の申請品目	10,957,300
GAN		規格違い品目	1,423,400

（単位：円）

「薬事法（昭和35年法律第145号）に基づく医薬品、医薬部外品又は化粧品の審査等に係る手数料」：

http://www.pmda.go.jp/operations/shonin/info/fee/file/35_tesuryoiyaku.pdf

4. 対面助言の優先制度及び手数料の減額

希少疾病用医薬品に指定された品目に係る承認申請前の試験研究の実施及び承認申請資料に関する治験相談は、優先的な適用を受けることができる。

例えば、医薬品の通常品目の場合、「対面助言日程調整依頼書」の受付は毎月第一勤務日のみであるが、希少疾病用医薬品については、随時「対面助言日程調整依頼書」を提出することができる。

また、希少疾病用医薬品に指定された場合は、通常品目に比べて治験相談の手数料が次のように減額される。

相談区分	希少疾病用医薬品	通常品目
医薬品第Ⅰ相試験開始前相談	3,277,200	4,360,500
医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談	1,257,400	1,669,400
医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談	2,339,200	3,114,900
医薬品第Ⅱ相試験終了後相談	4,644,800	6,183,300
医薬品申請前相談	4,642,000	6,183,200
医薬品追加相談	2,067,900	2,752,100
医薬品信頼性基準適合性相談	2,218,900	2,957,700

(単位：円)

「対面助言等の手数料（対面助言・優先対面助言品目指定審査・医薬品等証明確認調査・資料保管室の使用）」

http://www.pmda.go.jp/operations/shonin/info/fee/file/8_tesuryo.pdf

5. 助成金交付事業

助成交付対象者は、薬事法第77条の2第1項に基づく厚生労働大臣の指定を受けた企業等である。外国企業等であっても、指定を受け、我が国での医薬品等の製造販売承認申請のために試験研究を行おうとする場合には、交付申請できる。原則として希少疾病用医薬品等として指定を受けた日以降、承認申請までに行われる試験研究を対象とする。なおHIV治療薬において承認条件として課された製造販売後臨床試験や、厚生労働省未承認薬使用問題検討会議で、「製造販売承認申請後であっても安全性確認試験等による国内データ収集を行うべき」旨の検討結果がまとめられた医薬品等のように製造販売承認申請後に安全性確認試験等によるデータが必要と判断され、基盤研でその妥当性を確認し、助成金を交付することが必要であると認めた場合は、当該臨床試験に係る経費も対象としている。

助成対象経費は、諸謝金、旅費、委託料等の試験研究に必要な経費、及び印刷製本費等の承認申請資料の作成に必要な経費である。助成金は助成対象経費の2分の1に相当する額を限度とし、助成期間は助成金の交付を開始した年度から原則として3年間である。ただし、引き続き助成金を交付することが必要であると認められる場合には、助成期間を延長する。

6. 事務手続き

助成金交付に係る事務手続きは、次のとおり。

①交付申請

申請者は、試験研究の目的・内容、事業計画、交付申請額、算定根拠、経費配分等を記載した助成金交付申請書により交付の申請を行う。また、同申請書には試験研究の資金計画等の添付資料を求めることがある。

②交付決定

医薬基盤研究所は、①の交付申請の内容をヒアリング等にて確認し、適正と認めたときは交付を決定し、申請者にその旨を通知した後、速やかに申請者と助成対象事業の実施等に関する契約を締結する。

③状況報告

医薬基盤研究所は、助成対象事業の遂行状況の確認のため、申請者を対象とした実地調査を実施し、その結果を後述の④計画変更に反映する。

④計画変更申請

申請者が助成対象事業の計画等を変更しようとするときは、軽微な変更を除き計画変更の申請を行う。医薬基盤研究所は、③状況報告の結果を踏まえ、適正と認めたときは計画変更承認を通知する。

⑤実績報告

申請者は、助成対象事業の完了した日から 15 日を経過した日、又は 3 月 31 日のいずれか早い日までに実績報告書を提出する。

⑥交付金額の確定

医薬基盤研究所は、申請者を対象とした経理調査、及び⑤実績報告に基づいて助成金額を確定する。その場合において、既にその額を超える助成金が交付されているとき、申請者はその超過分を返還しなければならない。

7. 助成金交付申請における留意事項

助成金は国の補助金に基づくものであるため、助成対象事業の実施にあたっては、「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 年法律第 179 号）」の規定に従い、目的外使用等の違法行為のないようにするほか、次の点に留意する必要がある。

①助成金交付は単年度方式であるため、助成対象事業が当該年度内に予定どおり実施されなかったときは、助成金の返還を求める場合もある。

②医薬基盤研究所は、交付申請額及び支出実績額に対し、前述の法律に基づ

き査定する。申請者が用いる単価がこれを超える場合は減額査定となる。

8. 納付金

助成金の交付を受けた企業は、希少疾病用医薬品等から得られた収益の一部を、納付金として医薬基盤研究所に納めることとなっている。医薬基盤研究所は、企業からの納付金を希少疾病用医薬品等開発振興業務に充てることとしている。

各事業年度の納付金額は、前事業年度における売上高から 1 億円を引き、それを 100 で除した金額となる。希少疾病用医薬品等が製造販売の承認を受けてから 10 年間、又は希少疾病に対する追加効能の承認を受けてから 10 年間は納付対象となる。ただし納付金の合計額は、当該希少疾病用医薬品等について交付した助成金の合計額を限度としている。

Ⅲ 希少疾病用医薬品等に係る指導・助言

希少疾病用医薬品等の指定及び指定された希少疾病用医薬品等の臨床試験，承認申請等に関する指導・助言については，厚生労働省，総合機構及び医薬基盤研究所が連携して行っている。

厚生労働省

厚生労働省医薬食品局審査管理課は，希少疾病用医薬品等の指定申請に関する相談を受け付け，その指定基準に関する指導・助言を行っている。なお，指定相談の手続き等についてはⅠ章を，また，具体的な事例についてはⅥ章を参照のこと。

総合機構

希少疾病用医薬品等に指定された品目は，優先対面助言品目として取り扱われ，他の品目に優先して対面助言を受けることができる。総合機構では優先対面助言制度により，医薬品等に係る承認申請前の試験研究の実施及び承認申請資料の整備に関する指導・助言を行う。

医薬基盤研究所

医薬基盤研究所は，希少疾病用医薬品等の全般的な相談を受け付け，指定基準に関連する薬事法上の解釈，助成金等の開発支援制度についての指導・助言を行うとともに，総合機構と連携して，製造販売承認申請までに実施する試験研究，承認申請資料等に関する指導・助言を行っている。

【医薬基盤研究所におけるオーファン相談の進め方について】

オーファン相談は，オーファン指定を受けた品目について試験研究等に係る指導・助言を希望する相談者が，医薬基盤研究所 研究振興部 希少疾病用医薬品等開発振興課宛に電話連絡，希少疾病用医薬品等相談申込書を FAX 送付または Email することにより随時受け付けています。

相談申し込み・受付

相談者は希少疾病用医薬品等相談申込書の様式（別紙 1）に従って必要事項を記入し、下記の宛先に FAX または Email して下さい。

独立行政法人 医薬基盤研究所 研究振興部 希少疾病用医薬品等開発振興課
FAX : 072-641-9831
TEL : 072-641-9804
Email : kisho-ph@nibio.go.jp

その他：注意事項

試験研究に重大な問題が生じた場合等の緊急な相談は、この手順に依らず早急に電話等で連絡して下さい。

希少疾病用医薬品等については、既存医薬品、医療機器と比較して著しく有効性、安全性が高いこと、代替となる医薬品等の存在がないことから、早期に承認され、医療の場に供給されることが各方面より期待されている。その一方で、対象患者数が少ない疾患、治療方針未確定の難病等への適応が期待される当該医薬品等は、通常の医薬品等と比較し、臨床試験の計画作成・実施に困難なものも多い。速やかな承認取得を実現するためには、適切な研究開発（規格設定、安全性試験、臨床試験の実施等）、及び承認申請資料の整備が不可欠であり、希少疾病用医薬品等の指導・助言の役割は重要である。

連絡票

【受信者】

医薬基盤研究所

研究振興部 希少疾病用医薬品等開発振興課 相談担当者

宛

【発信者・連絡担当者】

【会社名】

【所属部署名】

【相談申込責任者又は担当者】

【連絡先】

TEL:

FAX:

Email:

【相談品目】

希少疾病用医薬品等の名称(指定 No.):

【相談事項】

【医薬品医療機器総合機構相談(事前相談, 優先対面助言)】

実施予定日:

基盤研担当者同席の可否:

IV 希少疾病用医薬品等に係る税制

1. オーフアンドラッグ税制の概要

平成 5 年、希少疾病用医薬品等の開発の負担軽減を目的として、薬事法並びに租税特別措置法に基づくオーフアンドラッグの開発促進税制が創設された。本制度は、平成 11 年度税制改正で増加試験研究費の中での控除限度額の上乗せとして取り扱われたが、平成 18 年度に以下のとおり改正された（表 1 参照）。

(1) 控除の概要

① 希少疾病用医薬品等の控除割合

希少疾病用医薬品等の試験研究費（医薬基盤研究所の助成金の交付額を除く）の 12%相当額を控除

② 希少疾病用医薬品等以外の控除割合

試験研究費割合※	試験研究費の総額に対する控除割合
10%以上	10%
10%未満	8% + (試験研究費割合×0.2)

$$\text{※ 試験研究費割合} = \frac{\text{対象事業年度の試験研究費の額}}{\text{対象事業年度を含む 4 年間の平均売上金額}} \times 100$$

③ 控除限度額

希少疾病用医薬品等を含めた全ての医薬品等の試験研究費の控除額は、対象事業年度の所得に対する法人税額の 20%を限度とする。

④ その他

控除限度額が法人税額の 20%を超えるため、控除限度額の全部を控除しきれなかったときには、その控除しきれなかった金額について、一定の要件のもと 1 年間の繰越しが認められている。

(2) 適用対象

① 対象企業

厚生労働大臣から希少疾病用医薬品等の指定を受け、医薬基盤研究所から助成金交付を受けた企業

② 対象となる試験研究費

希少疾病用医薬品等の試験研究費として医薬基盤研究所が額を認定し

た費用

③ 対象期間

医薬基盤研究所の助成金の交付対象となった期間

2. 医薬基盤研究所における認定の手続き

法人税申告時に希少疾病用医薬品等の試験研究費の控除手続きをとる場合は、あらかじめ医薬基盤研究所で所定の事務手続き（認定）が必要である。

- (1) 認定を希望する企業は、事業年度終了の翌日から1ヵ月以内に所定の認定申請書を医薬基盤研究所に提出する。
- (2) 提出に際し、該当する試験研究への支出を確認できる領収書、研究日誌等の書類についても、必要に応じて提出を求める場合がある。その他、申請様式を含め手続きの詳細は、医薬基盤研究所ホームページで公開の「希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器に係る特別試験研究費認定申請の手引き」を参照されたい。

表1 オーフアンドラッグ税制の変遷

	平成5年度～	平成11年度～	平成18年度～
控除割合	<ul style="list-style-type: none"> ○希少疾病用医薬品等の試験研究費の6% ○試験研究費の総額が過去の最高額より増加した場合、増加額の20% 	<ul style="list-style-type: none"> ○試験研究費の額が過去5年間の平均額より増加した場合、増加額の15%（但し、試験研究費が前年度及び前々年度を下回らないこと） 	<ul style="list-style-type: none"> ○希少疾病用医薬品等の試験研究費の12% ○希少疾病用医薬品等以外の場合試験研究費総額の8～10% ○試験研究費の額が過去3年間の平均額より増加した場合、増加額の5%（但し、過去2年間で最も多い年の試験研究費を下回らないこと）【2年間の措置】
控除限度額（上限）	<ul style="list-style-type: none"> ○希少疾病用医薬品等を含む全ての医薬品等の試験研究費の控除額を含め法人税額の10% 	<ul style="list-style-type: none"> (通常) ○法人税額の12% (希少疾病用医薬品等の場合) ○法人税額の12%+希少疾病用医薬品等の試験研究費の15%（上限：法人税額の14%） 	<ul style="list-style-type: none"> ○希少疾病用医薬品等を含む全ての医薬品等の試験研究費の控除額を含め法人税額の20%

V 希少疾病用医薬品等に係る情報提供

独立行政法人医薬基盤研究所は、オーファンドラッグに指定された医薬品等の情報や製造販売承認されたオーファンドラッグを医薬基盤研究所のホームページ中で公開している。

また、国内で治験が進行中のオーファンドラッグに関する情報も治験依頼者の了解を得て公開している。

オーファンドラッグ関連の最新情報は、以下のインターネットホームページで確認が可能である。

【医薬基盤研究所のホームページ関係】

* オーファンドラッグ・オーファンデバイス開発支援事業

<http://www.nibio.go.jp/shinko/orphan.html>

- 指定年度別の承認取得、開発、指定取消の状況

http://www.nibio.go.jp/shinko/s_jyokyo.html

- 希少疾病用医薬品指定品目一覧表

<http://www.nibio.go.jp/shinko/orphan/kisyoiyaku-hyo1.html>

http://www.nibio.go.jp/shinko/orphan/kisyoiyaku-hyo1_attention.html

- 希少疾病用医療機器指定品目一覧表

<http://www.nibio.go.jp/shinko/orphan/kisyoiyaku-hyo2.html>

http://www.nibio.go.jp/shinko/orphan/kisyoiyaku-hyo2_attention.html

- 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器試験研究助成金交付申請の手引き（手引き1）

<http://www.nibio.go.jp/shinko/orphan/kisyo-tebiki.pdf>

- 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器助成対象経費算出の手引き（手引き2）

<http://www.nibio.go.jp/shinko/orphan/kishou-koufukin-tebiki.pdf>

- 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器に係る特別試験研究費認定申請の手引き（手引き3）

<http://www.nibio.go.jp/shinko/orphan/kishou-nintei-tebiki.pdf>

- 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器の試験研究助成金交付等に係る指導・助言について

<http://www.nibio.go.jp/shinko/orphan/conference.html>

- * 希少疾病用治験ウェブ

<http://www.nibio.go.jp/orphan/index.html>

- * 希少疾病用医薬品等開発振興事業についてのお問い合わせ先：

独) 医薬基盤研究所 研究振興部 希少疾病用医薬品等開発振興課

電話 : 072-641-9804

F A X : 072-641-9831

e-mail : kisho-ph@nibio.go.jp

【厚生労働省その他関係機関のホームページ関係】

- * 厚生労働省ホームページ

<http://www.mhlw.go.jp/>

- * 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

<http://www.pmda.go.jp/index.html>

- * 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 医療用医薬品の承認審査に関する情報

<http://www.info.pmda.go.jp/approvalSrch/PharmacySrchInit>

- * 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 医療機器の承認審査に関する情報

<http://www.info.pmda.go.jp/approvalSrch/MedicalDeviceSrchInit>

- * 米国食品医薬品庁 (FDA)

<http://www.fda.gov/>

- * 米国食品医薬品庁 (The Orphan Drug Act)

<http://www.fda.gov/orphan/oda.htm>

- * 欧州医薬品庁 (EMA)

<http://www.emea.europa.eu/>

- * 欧州医薬品庁 (Human medicines - Orphan designation)

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000029.jsp&mid=WC0b01ac05800240ce

【一般社団法人日本医薬情報センター (JAPIC) の希少疾病・オーファンドラッグ

【関連ポータルサイト】

*海外主要国における国内未承認薬等の医薬品情報

<http://www.japic.or.jp/di/navi.php?cid=14-sub25>

VI Q & A

(一部工事中)

(問い合わせ先→(工事中))

1. 指定制度について

Q 1: 希少疾病用医薬品の指定の判断基準は何か。

A 1: 希少疾病用医薬品の指定の基準は、①対象者数、②医療上の必要性、③開発の可能性、の3つであり、すべての要件を満たすものでなければならない(I章 p.2 参照)。①の対象者数は5万人未満であることである。②の医療上の必要性は、いわゆる難病等の重篤な疾病を対象とする医薬品であって、他に適切な代替薬や治療方法がないか、あるいは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できることが求められる。また、③の開発の可能性では、当該疾患に対して使用の理論的根拠があり、開発計画が妥当なものであることが求められる。これら全ての要件を満たすものとして企業等より申請された候補物質について、専門家の意見を聴いた上で指定の可否が判断される。なお、これまでに希少疾病用医薬品等に指定された品目の一覧については、(独)医薬基盤研究所のホームページを参照されたい。

Q 2: 一度指定申請して、指定を受けられなかった候補物質であっても、開発を進めて、指定基準の②、③の要件(Q 1 参照)が明確になった場合など、再申請することは可能か。また、一度指定の取消しがなされたものが、その後の状況の変化により、再指定の申請を行うことは可能か。

A 2: いずれの場合も再申請は可能であるが、再申請の時点において指定基準が満たされていることをあらためて示す必要がある。また、後者の場合は、指定取消しとなった理由とその後の状況の変化についても資料中に明記すること。

Q 3: 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のか。

A 3: 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。また、候補物質が複数の効能を持つことが期待される場合、その一部の効能についても指定申請することができる。

- Q 4:** 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 4:** 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満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 5:** 同一効能に対して、2 成分以上が指定されることはあるのか。また、一方が先に承認された場合、他方の指定が取り消されることはあるのか。
- A 5:** 同一効能に対して、複数の異なる成分が申請される場合であっても、薬剤の特性（異なる作用機序、使われ方）、医療上の必要性に基づき、個別に指定の可否が判断される。そのため、同一効能に対して複数成分が指定されることもあり得る。一方が先に承認を取得したような場合、医療上の必要性に変化が生じたものと考えられるが、その場合の取扱いは個別に判断され、直ちに指定が取り消されるものではない。
- Q 6:** 同一成分・同一効能に対し、別々に複数企業が開発を行っている場合、各々が指定を受けることは可能か。また、開発が早かった企業が承認を受けた場合、他方は指定を取り消されるのか。
- A 6:** 可能である。すなわち、同一効能に対して同一成分が申請される場合であっても、各々の申請資料に基づき、個別に指定の可否が判断される。同一成分・同一効能で複数品目の指定があり、どこか 1 社が他社よりも先に承認を取得したような場合には、医療上の必要性に変化が生じたものと考えられるが、直ちに指定が取り消されるものではなく、その場合の取扱いは個別に判断される。
- Q 7:** 指定を受け、その後開発中に対象者数が 5 万人を超えたことが判明した場合は、指定の取消しを受けるのか。
- A 7:** 指定後に対象者数が 5 万人を超えたことのみをもって、直ちに指定が取り消されるものではない。
- Q 8:** 基礎の早い段階のものは指定されないのか。
- A 8:** 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想される。

なお、希少疾病用医薬品の指定申請に際しては、海外において既に承認がなされていること、臨床研究などにより既に十分なデータが存在する場合等を除き、臨床試験第Ⅰ相の後半、第Ⅱ相の前半の段階で、それまでの非臨床・臨床のデータをもとに開発の可能性を説明することが望ましい。

Q 9: 申請書の様式はどこに示されているのか。

A 9: 薬事法施行規則(昭和 36 年厚生省令第 1 号)で「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)) が示されている (I 章 p.9, 10 参照)。

Q10: 複数の効能がある場合、指定申請書の「予定される効能又は効果」欄の記載は、予定されるオーファン効能のみ記載すればよいのか。

A10: 「予定される効能又は効果」欄には、予定されるオーファン効能のみの記載でよい。ただし、「備考」欄に他の効能があることを示してもらいたい。同様に、追加効能のときは、「備考」欄にその旨を記し、従来の効能又は効果、用法及び用量を示してもらいたい。

Q11: 複数のオーファン効能を予定している場合にはどのような記載となるのか。

A11: 原則的には、同種の効能であれば、1 申請として「予定される効能又は効果」欄に複数の効能を記載することになり、異種の効能の場合は複数の指定申請を出すことになる。

Q12: 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。

A12: 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」「他剤無効の」という接頭辞若しくはただし書きについては、原則として認めない。但し、その接頭辞、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。

Q13: 添付資料については示されているのか。

A13: 下記の資料について、簡潔にまとめてもらいたい (I 章参照)

ア. 対象者数に関する資料

わが国における当該医薬品の用途に係る対象者数に関する客観的な統計資料

イ. 医療上の必要性に関する資料

(ア) 病因、症状等、対象疾病に関する資料

- (イ) 類似の医薬品の有無，治療方法の有無など医療の現状に関する資料
- ウ．当該医薬品を使用する理論的根拠となる資料
 - 指定申請時において入手可能な以下に関する資料の概要
 - イ) 起原又は発見の経緯及び外国における使用状況等に関する資料
 - ロ) 製造方法並びに規格及び試験方法等に関する資料
 - ハ) 安定性に関する資料
 - ニ) 薬理作用に関する資料
 - ホ) 吸収，分布，代謝，排泄に関する資料
 - ヘ) 急性毒性，亜急性毒性，慢性毒性，催奇形性その他の毒性に関する資料
 - ト) 臨床試験の成績に関する資料
- エ．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，所要経費など開発計画の概要を説明する資料
- オ．希少疾病用医薬品等概要
 - 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。
 - (厚労省 HP 参照：<http://www.mhlw.go.jp/general/seido/iyaku/kisyo/>)

Q14: 1つの化合物がオーファン効能とそれ以外の効能（以下，「一般効能」）の複数の効能を持ち，オーファン効能に対して指定を受けたような場合，優先審査されるのはオーファン効能だけか。その場合，一般効能はどのような取扱いを受けるのか。また，再審査期間についてはオーファン効能と一般効能でどのような取扱いとなるのか。

A14: オーファン効能と一般効能を同時に承認申請する場合，別申請とするように求めており，オーファン効能に係る申請のみ優先審査として取り扱われ，一般効能に係る申請は通常の審査として取り扱われる。また，再審査期間は効能毎に設定され，オーファン効能についてのみ原則として10年となる。

Q15: 優先審査にタイムクロックは設定されるのか。

A15: 優先審査品目の審査期間の目標については，独立行政法人医薬品医療機器総合機構中期計画（平成21年3月31日厚生労働省発薬食第0331002号認可）において，行政側，申請者側双方の努力により，平成23年度以降は中央値9ヶ月を達成することを確保するとされている（行政側期間：6ヶ月，申請者側期間：3ヶ月）。

Q16: 全ての希少疾病用医薬品に対して，全例調査が承認条件になるのか。

A16: 希少疾病用医薬品が自動的に全例調査となるわけではない。

Q17: 従来、異種効能の効能追加を行った場合、その化合物の既存効能に対する再審査期間の残余期間が4年を割った場合には、その追加効能に対して新たに4年の再審査期間が設定されていたが、既存の一般効能にオーファン効能の追加をした場合、あるいは、既存のオーファン効能に一般効能の追加をした場合等では、どのような再審査期間が設定されるのか

A17: 基本的には別表1のようになる。

別表1

「既存効能」	「追加効能」	[追加効能の再審査期間]
① 一般効能（再審査期間8年）		
残余4年以上	→ 一般効能 →	残余期間
残余4年未満	→ 一般効能 →	4年
② 一般効能（再審査期間8年）	→ オーファン効能 →	10年
③ オーファン効能のみ(再審査期間10年)	→ 一般効能 →	5年10月*
④ オーファン効能(再審査期間10年)	→ オーファン効能 →	10年
⑤ オーファン効能+一般効能(再審査期間10年)	→ 一般効能 →	4年

*薬新薬第92号(平成5年10月1日付)及び医薬審第1813号(平成12年12月27日付)

Q18: 1年に何品目ぐらい指定されるのか。

A18: 指定基準に合致するものであれば指定を行うこととしており、年間の指定品目数は限定していない。

Q19: 指定のスケジュールはどのようになっているのか。

A19: 希少疾病用医薬品の指定申請については、厚生労働省医薬食品局審査管理課で常時受付けている。指定申請は審査管理課と指定申請前の相談を十分に行った上で実施する。指定申請前の相談は、審査管理課の希少疾病用医薬品の指定業務を担当する担当官に連絡し、相談日程の調整等を行い実施する。相談を踏まえて指定申請資料が確定したら、希少疾病用医薬品の指定申請を行う。指定申請後、厚生労働省での審査を経て薬事・食品衛生審議会での審議を受けて指定が行われる。指定時には申請者宛てに指定書が郵送され、また、厚生労働省告示として、指定された旨が官報に掲載される。なお、指定申請の相談から指定申請までの期間は、品目や指定申請資料の確認や整備に要する時間が異なるので示せないが、申請資料の大幅な修正等が必要ない場合、おおむね3~6ヵ月程度である。指定手続きの流れの詳細については、厚生労働省のウェブサイト(<http://www.mhlw.go.jp/general/seido/iyaku/kisyo/>)で確認できる。

- Q20:** 指定申請から指定までには数ヵ月間かかると思うが、その間に承認申請を予定している品目も、指定を受けることは可能なのか。
- A20:** 指定申請の時点で開発が終了してしまっていると考えられるものは、指定は受けられない場合がある。このような事態を生じないように、審査管理課による指定の審査に数ヵ月を要することを勘案し、開発計画等についても、十分な余裕をもって審査管理課に相談してもらいたい。
- Q21:** 治験としての臨床成績がなくとも、臨床研究や臨床使用により既存の医薬品等と比較して、著しく高い有効性もしくは安全性が期待される報告がなされている場合、当該報告を根拠資料として指定申請し、指定を得ることは可能か？
- A21:** 信頼される学術雑誌に掲載された報告等を用いて、既存の医薬品等と比較して優れた有効性もしくは安全性が期待されることを示すことができるとともに、その他の指定基準が満たされていると判断できる場合には、治験としての臨床成績がなくても指定される場合がありうる。
- Q22:** 海外（米国など）でオーファン指定されなかった場合でも、日本の指定基準を満たしていれば指定は認められるのか。
- A22:** 指定が認められる可能性はある。
- Q23:** 複数のオーファン効能（同種の効能）を1申請として1指定を受けたのち、同種の効能の一部ずつをオーファン指定品目として複数回に分けて申請していくことは可能か。その場合、承認ごとに再審査が10年ずつ付与されるか。
- A23:** 指定を受ける「予定される効能又は効果」が同種の効能である場合、必ずしも10年付与されるとは限らない。
- Q24:** 疾患としては患者数が多いものでも、コンパニオン診断薬とあわせて用いることで、薬事承認範囲の対象者数が5万人未満まで絞られるような場合は、希少疾病用医薬品の指定を受けられるのか？
- A24:** 指定が認められる可能性はある。
- Q25:** 希少疾病用医薬品の指定基準の対象患者数が5万人未満であることをどのように示すべきか。
- A25:** 厚生科学研究班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。可能であれば数種類の統計データを用いることが望ましい。（I章参照）

Q26: 希少疾病用医薬品の指定申請後、医薬品部会の資料搬入までの間に、当局審査により申請書の記載事項（例えば、使用価値が特に優れていると判断する理由）又は添付資料に修正が生じた場合、どのような手続きをとれば良いのか。

A26: 審査管理課の指示に従い、医薬品部会の資料搬入前に差替えを行うこと。

Q27: 開発計画を変更した際にどのような対応が必要となるか。

A27: 指定申請時に添付した開発計画を変更した場合、指定前は速やかに審査管理課に相談すること。指定後に開発計画を変更した場合には、(独) 医薬品基盤研究所に相談すること。

なお、助成金交付を受けている場合、計画変更申請が必要である。

Q28: 指定を受けた後に指定内容に以下の変更があった場合の手続きはどのようにすればよいか。

①指定を受けた品目を持つ企業が合併し、会社名が変わった場合

②企業が倒産した場合

③他の企業に品目開発権利を譲渡した場合

A28: 事前に審査管理課に相談したうえ、以下の手続きをしてください。

① 社名の変更の届出を行うこと

② 指定の取消しの届出を行うこと

③ 開発企業変更の届出を行うこと

Q29: 希少疾病用医薬品の指定を受けた医薬品に係る開発の権利を他社から譲渡された場合に、譲渡を受けた企業が引き続き希少疾病用医薬品として開発を継続する場合には、どのような事務手続きが必要か。

A29: まだ開発中のものについては、既に指定を受けている企業と、譲渡をこれから受ける企業の両社の手続きが必要。譲渡する側は中止届と経緯を説明する報告書、譲渡を受ける側からは、両社で合意に至っていることを説明する陳述書を審査管理課に提出すること。一方、承認後については、特に事務的な手続きは必要ない。

Q30: 希少疾病用医薬品として指定を受けた際の予定される効能又は効果の範囲に変更が生じた場合の手続きはどのようにすればよいか。

A30: 速やかに審査管理課に相談すること。

Q31: アカデミア等が希少疾病用医薬品や希少疾病用医療機器の指定申請をすることは出来るのか。

A31: 薬事法第七十七条の二第一項に、「厚生労働大臣は、(中略) 製造販売をしようとする

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。）から申請があったときは、（中略）指定することができる。」とあり、指定申請をする者は、製造販売をしようとするものに限られる。

Q32: 希少疾病用医薬品の製造販売を中止しようとするときは、あらかじめ、厚生労働大臣に届けなければならないとされているが、具体的にどのように届け出るのか。

A32: 少なくとも中止の1年前までに希少疾病用医薬品（医療機器） 試験研究/製造販売/製造 中止届書を厚労省医薬食品局審査管理課に提出すること（H5.8.25 薬発第725号 他）。なお、中止理由には、①希少疾病用医薬品製造販売中止届の手続きに至った経緯、②希少疾病用医薬品指定から薬事承認取得までの経緯、③現在までの本剤の使用状況、④今後、本剤が必要となる患者が生じる可能性、⑤代替薬、⑥学会等の意見、⑦結論 等を記載すること。なお、希少疾病用医薬品指定書の写しも提出すること。

Q33: 希少疾病用医薬品（医療機器） 試験研究/製造販売/製造 中止届書を提出せず、薬価上の供給停止に関する手続きのみで供給を停止してしまった場合にはどのような手続きが必要なのか。

A33: 事後の場合には、事前に対応する場合に加えて遅延理由書を提出すること。

2. 指導・助言について

Q 1: 希少疾病用医薬品の治験に係わるデザインや評価方法等についての、指定後の指導・助言はどのように行われるのか。

A 1 希少疾病用医薬品の指定効能に限っては、総合機構では優先対面助言品目として扱われ、対面助言により治験の実施計画に係る相談、指導・助言が行われる。なお、指定前にあっては通常の対面助言の扱いとなる。優先対面助言品目の日程調整は、通常の品目が月1回の申し込みであるのに対して、随時申し込みが可能である。また、開発企業あるいは医薬基盤研究所の要望により、優先対面助言相談に医薬基盤研究所担当者が同席する場合もある。優先対面助言後、開発企業より開発上の疑問点等があれば、医薬基盤研究所担当者が相談に応じる。

Q 2: 指導・助言を受けるには、手数料が必要か。

A 2: 総合機構における優先対面助言は手数料が必要である（なお、優先対面助言に係る手数料は助成金の対象となる）。医薬基盤研究所における指導・助言は無料である。

- Q3:** 指定された場合に受けられる開発支援措置にはどういったものがあるか。
- A3:** 試験研究に関する指導・助言，助成金の交付，税制優遇措置，優先対面助言，優先審査，再審査期間（承認日より10年間）等の支援措置等が講じられる。

3. 助成金について

- Q1:** 年度末までに実際に使用する金額がかなり高額になることがわかっている場合，申請の上限額はどのくらいと考えればよいか。
- A1:** 助成金交付申請時の上限額は，特に定められておらず，実際に当該試験研究に要すると見込まれる額（支出予定額）を記載すること。なお，助成金交付額は，支出予定額の二分の一を上限に交付が決定される（Q17, Q20, Q56 参照）
- Q2:** 概算払請求書について，「概算払いを必要とする理由」には具体的にどのようなことを記載すればよいか。
- A2:** 「〇〇〇の試験研究に必要なため」と記載すればよい。なお，〇〇〇は官報に告示された希少疾病用医薬品等の名称を記載すること。
- Q3:** 希少疾病用医薬品等としての指定を受けた日よりも以前に開始されている試験の費用を指定日以降に支払うことは可能か。
- A3:** 希少疾病用医薬品等として指定された日以降に係る経費（請求書ベース）のみが助成金の対象となる。
- Q4:** 助成金申請金額は消費税込みかそれとも税抜きとなるのか。
- A4:** 消費税抜きである（ただし、旅費は除く）。
- Q5:** 助成対象期間は，原則として3事業年度までとなっているが，初年度以降の年度における助成金申請はいつ行えばよいのか。
- A5:** 各年度において，4月から5月にかけて医薬基盤研究所が開催する説明会にてスケジュールを連絡する。
- Q6:** 助成対象事業の帳簿とは具体的にはどのようなものか。
- A6:** 希少疾病用医薬品等の研究開発に係る経費と他の事業に係る経費を明確に区分したもので，助成対象経費の費目ごとに記載したものをいう（Q40 参照）。
- Q7:** 申請用紙は医薬基盤研究所で配布するのか。

- A 7:** 医薬基盤研究所のホームページより様式をダウンロードできる。
- Q 8:** 実績報告書に記載する支出実績額は実際に会社が支払った経費処理額をいうのか。
A 8: そのとおりである。消費税抜きで記載する。
- Q 9:** 助成金の一部返還に関して、当該返還金を次年度の助成金と相殺することは可能か。
A 9: 助成金は単年度ごとに交付していることから、次年度の助成金との相殺はできない。
- Q10:** いつまでの日付の請求書が認められるのか。
A10: 年度の途中で事業が完了した場合を除いて、3月31日までのものである(Q23参照)。
- Q11:** 助成金対象経費と認定申請対象経費は同一の基準で算定するのか。
A11: 申請企業にあっては同じ費目に該当するものは同一の基準で算定すること。
- Q12:** 3事業年度を超えて助成金交付が認められるのはどのような場合か。
A12: 助成期間は原則として3事業年度であるが、医薬基盤研究所が引き続き助成金を交付することが必要であると認める場合は延長することがある。
- Q13:** 何らかの理由により開発を中断せざる得なくなった場合、その時点までに支出した助成金は返還しなければならないか。
A13: 助成対象事業が、交付決定時に通知した交付の条件に従い、適正に実施されていれば、開発を中断せざるを得なくなった場合であってもその時点までに支出された助成金を返還する必要はない(Q58参照)。
- Q14:** 助成期間の3事業年度は医薬基盤研究所の事業年度か助成対象会社の事業年度か。
A14: 医薬基盤研究所の事業年度(4月1日～翌年3月31日)である。
- Q15:** 当該年度未執行の費用が出た場合は翌年度に繰り延べることが可能か。
A15: 不可能であり、その場合には返金の処理が必要であるので、速やかに医薬基盤研究所に相談すること。
- Q16:** 共同開発の場合の助成金の交付申請は各社別々に行うのか、それとも1社が代表して行うのか。
A16: 助成金申請は各社それぞれ又は共同で行う(Q60参照)。
- Q17:** 経費(交付申請・支出実績とも)は支出額の金額で記載するのか、支出額の2分の

1で記載するのか。

A17: 全額を記載すること。

Q18: 諸謝金の記入の程度として、例えば、症例検討会謝礼〇〇〇〇円研究会謝礼〇〇〇〇円という程度の記載でもよいか。

A18: 対象者の教授等の役職・人数・単価等を簡単に記載すること。なお、治験に携わる医師に対する謝礼は助成対象にならない。

Q19: 「試験研究の資金計画」とはどのような書類か。

A19: 試験研究のための費用をどのように調達するかについて簡単にまとめること。

Q20: 助成金額がどのような基準で医薬品ごとに配分されるか。

A20: 各社の申請に基づき、助成対象経費の2分の1を限度として予算の範囲内で配分する。

Q21: 助成金に係る消費税仕入控除税額が確定した場合、医薬基盤研究所に返還しなければならないか。

A21: 実績報告書を医薬基盤研究所に提出後、当該実績報告書に記載された助成対象経費支出実績額に消費税相当額が、含まれていることが判明した場合には、医薬基盤研究所に報告されたい。必要があると認められるときは、当該消費税相当額の全額又は一部を返還しなければならない。

Q22: 開発の遅れ等によって助成対象経費の支出額が予定より大幅に減少する場合、どのような手続きが必要か。

A22: 計画変更申請が必要になるので速やかに医薬基盤研究所に相談すること。

Q23: 助成金は3月31日までにすべて使用しなければならないか。例えば、3月までの取引であるが、支払いは5月というケースもよくある。

A23: 3月31日までに実績報告書を医薬基盤研究所に提出することから、3月31日までに委託先等に支払いできるように、計画されたい(Q10参照)。

Q24: 研究機関に対する委託料の査定に上限はあるのか。

A24: 上限はないが、経費が適正であるか契約書、見積書等で確認する。

Q25: 治験に関して、委託試験機関を利用し、コンサルタントや臨床試験のモニターを依頼した場合、助成対象経費として認められるか。

- A25:** 助成対象経費となる。
- Q26:** 海外で非臨床試験や臨床試験を実施した場合、その費用は助成対象経費として認められるか。
- A26:** 承認申請時の添付資料として使用する場合など、助成対象事業の目的に適うものであれば助成対象経費となる（Q51 参照）。
- Q27:** 海外に治験薬の製造を委託した場合、その経費は助成対象経費として認められるか。
- A27:** 委託料として助成対象経費となる。
- Q28:** 治験薬の割付け謝金に関して、特に技術を要さない作業の補助員についてはどのように取り扱うべきか。
- A28:** 試験研究実施者自らが日々雇用する単純労務に服する者に対する賃金として扱うことになる。
- Q29:** 旅費に関して、助成対象とならないのはどのような場合か。
- A29:** （工事中）
- Q30:** タクシー料金は認められるか。
- A30:** 原則として旅費としては、認めない。ただし、特別な事情がある場合は除く。
- Q31:** 借料及び損料に関して、懇親会等の会議は対象外とされているが、この場合の諸謝金も対象外となるのか。
- A31:** 懇親会等の試験研究の目的以外の会議については、謝金・会議費ともに助成対象とならない。午後 5 時以降開催する会議は、特別な理由がない限り懇親会とみなされ、助成対象とならない。
- Q32:** 希少疾病用医薬品等の試験研究以外の目的を兼ねた出張旅費は助成の対象とならないのか。
- A32:** 希少疾病用医薬品等の試験研究の目的以外のものについては助成対象外となる。
- Q33:** サンプルの搬送の際に使用したタクシーに関しては、通信運搬費として認められるか。
- A33:** 通信運搬費として取り扱う
- Q34:** 謝金・旅費について、支払額の基準はあるか。

- A34:** 会社の規定によって支払うことでよい。ただし、助成金の交付・確定のときには、国の規程にて額を査定されることになる。
- Q35:** 申請会社の社員の出張費は助成対象となるか。
- A35:** 対象品目の開発費に係る業務に関連する旅費であれば助成対象経費に含まれる。
- Q36:** 助成金交付申請書作成に購入した文具は助成対象になるか。
- A36:** 事務用品、文具類は汎用性があるため、助成対象経費には含まれない。
- Q37:** 対象品目の開発に伴う会議後の食事代（ホテル等で開催した場合、そのホテルでの食事代等）は認められるか。
- A37:** 認められる。ただし、午後 5 時以降に行う会議は特別な理由がない限り助成対象外である。
- Q38:** 研究に携わる社員の人件費は助成対象か。
- A38:** 平成 20 年度から、試験研究等の業務内容又は従事者の雇用形態により、助成金交付対象となる経費総額の 3 割を上限に人件費も助成対象としている。なお、詳細については医薬基盤研究所に問合せされたい。
- Q39:** 医療機関へ支払う研究費（治験審査手数料、諸検査費用、研究委託料等）はいずれの費目に含めるのか。
- A39:** 委託料とする。
- Q40:** 助成対象事業について、収支状況をどのように記録すればよいか。
- A40:** 助成対象事業に係る経費を他の経費と明確に区分して収入・支出の状況を記録した帳簿を備え、当該証拠書類を整備し、これらを事業完了後 5 年間保存すること（Q6 参照）。
- Q41:** 助成金について、受入・支払専用の預金口座を設ける必要はあるか。
- A41:** 助成金に係る収支状況の記録ができていれば、専用口座まで設ける必要はない。
- Q42:** 領収書等を社内の規定により一括して保管しているので、助成対象事業に係るものについては、その写しを別に保管し、原本との照合ができるようにしておけばよいか。
- A42:** 差し支えない。

- Q43:** 通信運搬費については、送り先、郵送料、金額等の記録を保存する必要があるか。
A43: 領収書があればよい。
- Q44:** 旅費について、どのような証拠書類が必要か。
A44: 旅費支給の事実が客観的に説明できる書類（出張報告書、モニタリング報告書等）を証拠書類として保管しておくこと。
- Q45:** 治験薬の費用を消耗品として支出した場合、証拠書類としてどのようなものを保管すればよいか。
A45: 数量と単価が明記された領収書が必要である。
- Q46:** 納付金の売上高とは何を指すのか。
A46: 工場出荷額又は輸入額をいう。ただし工場出荷額で算出が困難な場合、薬価×販売数量で差し支えない。
- Q47:** 臨床試験を他社と共同で実施した場合、医薬基盤研究所による助成金に係るヒアリング時に当該会社の出席は可能か。
A47: 可能である。
- Q48:** 実績報告書では助成対象となる全ての費目について支出実績を報告する必要があるか。
A48: 必要である。
- Q49:** 実績報告書に領収書の添付が必要か。
A49: 年度末には経理調査を実施し、その時点で確認できた分については不要である。
- Q50:** 本年7月に指定を受け、本事業年度は助成金交付申請を見送った場合、助成金対象期間は来年度から3年間でも可能と考えてよいか。
A50: 可能と考えてよい（助成対象期間は、原則として交付を開始したときから3事業年度である）。
- Q51:** 海外に委託する非臨床試験や臨床試験の費用について、整備・保管すべき経理関係書類は、どのようなものか。
A51: 委託先との契約書・請求書、委託料の領収書、送金の記録等の証拠書類を整備・保管する必要がある。

Q52: 治験保険料は助成対象経費として認められるのか。

A52: 雑役務費として、助成対象経費となる。

Q53: 承認申請手数料は助成対象経費として認められるのか。

A53: 助成対象外となる。

Q54: 指定を受けた場合、助成は必ず受けなくてはならないのか。

A54: 指定を受けたからといって、助成金交付を受ける義務を課すものではない。

Q55: 助成額は毎年決められるのか。

A55: 助成額は企業等の申請に基づき年度予算の範囲で指定された品目に割り振られる。そのため、個々の指定品目のその年度の開発費用等を考慮して毎年決めることになる。

Q56: 年間の助成金の総額はいくらか。

A56: 全体の予算枠、指定品目数、個々の指定品目のその年度の開発費用予測等によって異なるので一概に言えない。

Q57: 助成金を受けた品目が承認されると、納付金を納めなくてはならないのか。

A57: 医薬基盤研究所から助成金を交付された品目については、売上の一部を納付金として医薬基盤研究所に納入することになっている。納付期間は10年間で、納付金の合計額は交付された助成金の合計額を限度としている。納付金の計算式は次のとおりである（Q46参照）。

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

Q58: 助成金を受けた品目が指定を取り消された場合、助成金を返還する必要があるか。

A58: 本品が不正の行為等の理由により、薬事法に基づきオーファン指定の取消し処分を受けた場合を除き、交付決定時に通知した「交付の条件」等に従い、助成対象事業が適正に実施されていれば、その後指定を取り消されても助成金の返還を求めることはない（Q13参照）。

Q59: 年度途中で指定を受けた場合、その年度については、指定日から翌年の3月末の間に実施した試験研究が助成対象となるのか。

A59: そのとおりである。ただし、第4四半期に指定されたものは原則、翌年度から助成金の交付対象となる。

- Q60:** 共同開発の場合、助成金は複数の共同開発会社にそれぞれ渡されるのか。
- A60:** 共同開発の場合であっても、その化合物と対象疾患ごとに1つの指定であり、1指定毎に助成額が考慮される。なお、指定を受けていない共同開発者は助成対象者にならない。
- Q61:** 助成金交付申請年度内に製造販売承認申請を予定している場合、承認申請後の経費について助成金対象となるか。
- A61:** 原則、助成金対象とはならない。ただし、HIV治療薬において承認条件として製造販売後臨床試験を課したものの、あるいは厚生労働省未承認薬使用問題検討会議での検討結果、承認申請後に国内臨床試験・研究を実施する場合は助成金対象となる。
- Q62:** 助成金交付を受け製造販売承認された品目を、他社に承継する場合どのような手続きが必要であるか。
- A62:** 納付金の納付について、承継先企業と医薬基盤研究所の間で新たな契約の締結が必要である。助成金交付を受けた企業は、医薬基盤研究所と承継先企業との契約締結に際して、適切な措置を講じる必要があり、事前に医薬基盤研究所に連絡されたい。
- Q63:** 助成金交付申請において、試験研究に必要な経費の一部のみを申請することは可能か。
- A63:** 可能である。
- Q64:** 通常効能の既承認品目に対して、オーファン効能の開発を行い、当該オーファン効能について一部変更承認を得た際の納付金の考え方について教えて頂きたい。通常効能分も含めた全ての売上が納付金計算の対象となるのか
- A64:** オーファン効能による売り上げを別途算出できる場合(対象患者数などによる按分)はその限りではないが、個別の相談事項となるため、その都度医薬基盤研究所に相談すること。
- Q65:** 実地調査(進捗調査及び経理調査)は具体的にどのように実施されるのか?
- A65:** 進捗調査は試験研究等が申請書に従って現に実施されていることを確認するための調査であり、例として、試験計画書、試験報告書等の確認、委託研究にあつては契約書、見積書等の確認も併せて行われる。経理調査は試験研究等に必要経費処理が申請書に従って現に執行されていることを確認するための調査であり、支出簿(総括表、費目別)と証憑類(見積書、納品書等)の凸合が行われる。

4. 税額控除に係る試験研究費の額の認定について

- Q 1:** 旅費のうち、海外出張について、認定申請に含めてよいか。
- A 1:** 希少疾病用医薬品等に係る試験研究に要した費用のみが税制の適用を受けるので、当該試験研究だけを用途とする海外旅費については認定の対象となる。
- Q 2:** 証拠書類（領収書等）は、どの程度のものがよいか。
- A 2:** 実際に希少疾病用医薬品等の試験研究に支出したことを証する伝票が必要となる。
- Q 3:** 試験研究費の認定に関して、企業担当者の人件費は認められるというが、業務時間を記録して算出すればよいか。
- A 3:** そのとおりである。
- Q 4:** 当社の事業年度は1月1日から12月31日であるが、いつまでに医薬基盤研究所に対して認定申請書を提出するのか。
- A 4:** 認定申請書の提出期限は、事業年度終了後1ヵ月以内となっているので、翌事業年度の1月末となる。
- Q 5:** 設備費は「購入費」、「建築費」等を記入するようになっているが、所得の計算上損金の額に算入されるのは「減価償却費」である。この差はどうなるのか。
- A 5:** 当期支出額には当期における支出総額を記入、当期費用額には当期における減価償却費を記入すること。
- Q 6:** 人件費には、賞与、退職金等の引当金や法定福利費も含まれるのか。
- A 6:** 損金算入される、該当試験研究に携わる者の賞与、退職金等の引当金及び法定福利費は人件費に含まれる。
- Q 7:** 助成金を交付されなくても認定申請をすることはできるか。
- A 7:** 希少疾病用医薬品等に係る税制は助成金交付対象期間について適用されるので、助成金が交付されなかったときは、認定申請もできない。
- Q 8:** 希少疾病用医薬品等以外の効能・効果を予定している場合、ある試験のデータの一部を希少疾病用医薬品等の申請に使用するとその費用の取扱いはどうなるか。
- A 8:** 認定申請書の様式3に共通費用として、希少疾病用医薬品等に関する試験研究への按分方法を記入するものとする。
- Q 9:** なぜ、試験研究費の認定は、医薬基盤研究所の助成金交付を受けた試験研究に限定されるのか。

A 9: 医薬基盤研究所が助成金交付を受けた試験研究に限定して認定事業を行う理由は、医薬基盤研究所の助成金交付を受けた試験研究については、助成金交付事業を通じて、希少疾病用医薬品等の試験研究の内容やその費用に関する情報を把握しており、これらの情報に基づいて、助成金交付に係る試験研究費の額について適正な認定が可能であると期待されているからである。具体的には、毎年提出される助成金対象事業の実績報告書から該当する期間における試験研究費の総額が把握できることから、認定申請に係る試験研究費の額についても正確、かつ迅速に調査し得る。

Q10: 特別試験研究費認定申請は、事業年度終了日の翌日から1ヶ月以内に基盤研に提出することとなっていますが、認定書の交付には提出後どの程度の期間を要するのか

A10: 通常1ヶ月程度であるが、特段の必要があるときは医薬基盤研究所に相談されたい。

希少疾病用医薬品 日米欧制度比較

	日本	米国	欧州
患者数	5万人未満 (3.9人/1万人)	20万人以下 (6.5人/1万人)	5人/1万人
指定要件	患者数 医療上の必要性 開発の可能性	患者数(あるいは、 開発経費が回収で きない場合)	患者数(あるいは、 開発経費が回収で きない場合) 疾患の重篤性 医療上の必要性
データ保護期間	10年(再審査期間)	7年	10年(小児効能で は+2年)
開発費助成制度	最大、試験研究の 直接費の1/2の助 成(最長3年)	Phase I ;年間最大 \$20万(最長3 年)、Phase II,III ; 年間最大\$40万 (最長4年)	事前審査手数料免 除(中小企業に限 る)
助成金(総額)	8.5億円(ウルトラ オーファン2億円 を含む)	\$14million(11.2 億円)	€6.8million(6.8 億円、2005年)
承認審査優遇策	あり	あり	あり(医療上の必 要性が高いと認め られた場合に限 る)
承認申請費用助 成	通常品目の約70%	免除	免除(中小企業に 限る)
助言制度	あり(相談手数料 は通常品目の約 70%)	あり(プロトコル アシスタント;通 常品目においても 無料)	あり(プロトコル 助言に対して費用 を40%減額、た だし、中小企業及 び小児開発の場合 は免除)
指定数	269件 (1993~2011年) 14.2/年	2614件 (1983~2012年) 90.1/年	1087件 (2000~2012年) 90.6/年
承認/指定	0.64(173/269)	0.15(390/2614)	0.06(65/1087)

希少疾病用医薬品（新有効成分）承認／総承認数 (2011年)	4／35 (11.4%)	14／36 (38.9%)	5／43 (11.6%)
-----------------------------------	--------------	---------------	--------------

参考資料

- 1 薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律案要綱
(平成5年)

- 2 薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律案
に対する附帯決議

(平成5年4月2日衆議院厚生委員会)
(平成5年4月20日参議院厚生委員会)

- 3 希少疾病用医薬品等にかかる薬事法条文
(昭和35年8月10日 法律第145号 平成18年法律第69号による改正まで)

- 4 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器関連通知等
 - 4-1 薬事法改正関連
 - 4-1-1 [薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律の施行について\(依命通達\)](#)
(平成5年8月25日 発薬第213号)

 - 4-1-2 [薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律の施行について](#)

平成5年8月25日	薬発第725号	
平成6年3月31日	薬発第333号	一部改正
平成7年6月26日	薬発第600号	一部改正
平成12年12月27日	医薬発第1324号	一部改正
平成18年3月31日	薬食発第0331004号	一部改正

 - 4-1-3 [薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律の施行について\(通知\)](#)

平成5年10月1日	薬新薬第92号	
平成12年12月27日	医薬審第1813号	一部改正
平成16年2月27日	薬食審査発第0227016号	一部改正

 - 4-1-4 [薬事法施行規則の一部を改正する省令の施行について](#)
(平成18年3月31日 薬食発第0331004号)

4-2 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器の指定申請関連

4-2-1 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療用具の指定申請について

(平成 8 年 3 月 27 日 薬発第 322 号)

4-2-2 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療用具の指定申請について

(平成 8 年 3 月 27 日 薬研第 9 号)

4-2-3 希少疾病用医薬品の指定基準の取扱いについて

(平成 18 年 3 月 31 日 薬食審査発第 0331007 号)

4-3 承認申請関連

4-3-1 HIV 感染症治療薬の製造又は輸入承認申請の取扱いについて

(平成 10 年 11 月 12 日 医薬審第 1015 号)

4-3-2 医療機器の製造販売承認申請に際し留意すべき事項について

平成 17 年 2 月 16 日 薬食機発第 0216001 号
平成 20 年 8 月 4 日 薬食機発 084001 号 一部改正
平成 20 年 10 月 23 日 薬食機発第 1023001 号 一部改正

4-3-3 医薬品の承認申請に際し留意すべき事項について

平成 17 年 3 月 31 日 薬食審査発第 0331009 号
平成 20 年 10 月 20 日 薬食審査発第 1020002 号 一部改正
平成 21 年 3 月 4 日 薬食審査発第 0304015 号 一部改正

4-3-4 新医療機器の承認審査に係る情報の公表に関する取り扱いについて

(平成 21 年 2 月 6 日 薬機発第 0206009 号)

4-3-5 新医薬品の総審査期間短縮に向けた申請に係る留意事項について

(平成 22 年 6 月 9 日 事務連絡)

4-3-6 新医薬品の承認審査に係る情報の公表に関する取り扱いについて

(平成 23 年 3 月 30 日 薬機発第 0330011 号)

4-3-7 優先審査等の取扱いについて

(平成 23 年 9 月 1 日 薬食審査発 0901 第 1 号)

4-3-8 独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う審査等の手数料改定について

(平成 24 年 3 月 30 日 事務連絡)

4-4 医薬品医療機器総合機構相談関連

4-4-1 医薬品・医療機器薬事戦略相談事業の実施について

(平成 23 年 6 月 30 日 薬機発第 0630007 号)

4-4-2 独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う対面助言、証明確認調査等の実施要領等について

(平成 24 年 3 月 2 日 薬機発第 0302072 号)

4-5 薬価・保険償還関連

4-5-1 薬価算定の基準について

(平成 24 年 2 月 10 日 保発 0210 第 4 号)

4-5-2 特定保険医療材料の保険償還価格算定の基準について

(平成 24 年 2 月 10 日 保発 0210 第 6 号)