

希少疾病用医薬品等（医療機器、再生医療等製品も含む）の指定手続き

1) 指定基準

① 対象患者数

- ・対象患者数の数が本邦において、5万人未満であること。
- ・但し、感染性の疾病の予防の用途に用いる医薬品等、あるいはその用途が指定難病の場合は、患者数の考えが異なるので確認する。
- ・患者数の推定は、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行う。
- ・明確な医学薬学上の理由なしに、「重篤な」等の接頭語を付けて、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」は、原則として認められない。

② 医療上の必要性

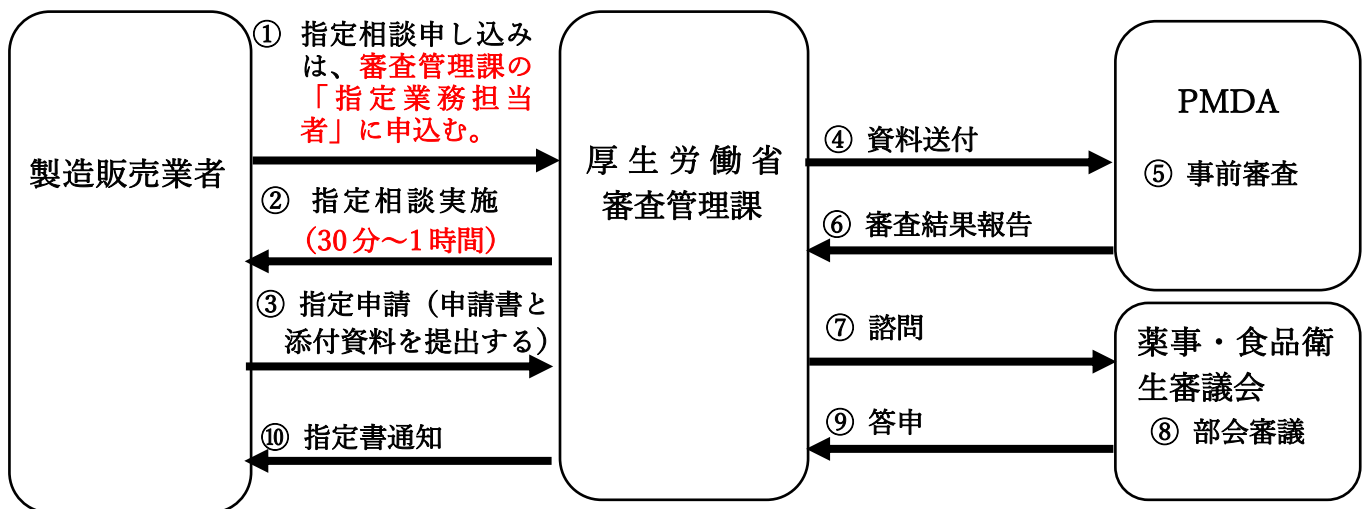
原則として、重篤な疾患を対象とし、特に医療上の必要性が高いものであること。

- ・代替する適切な医薬品等、又は治療方法がないこと。
- ・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。

③ 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同時に、その開発に係わる計画が妥当であると認められる事。

2) 指定迄の手順



(厚生労働省ウェブサイトより)

- ① 申し込み時には、「[希少疾病用医薬品等指定相談申込書](#)」に必要事項を記入して、電子メールで申し込む(随時、受付が行われている)。相談日は、指定業務担当者より連絡が入る。

メールアドレス：orphan_drug@mhlw.go.jp

- ② 指定申請前に、指定相談を行うが、**指定申請に必要な資料の案「指定資料（案）」を準備する。**その内容は、指定申請時の添付資料（案）に準じる。また、必要に応じ、参考文献を添付して、提出する。尚、提出部数は、指定業務担当者に確認する。

・指定申請に必要な資料の案とは？

- a) 対象患者数に関する資料
- b) 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
- 類似の医薬品の有無、治療法の有無等、医療現状に関する資料
- c) 当該医薬品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、指定申請時に入手可能な資料（イロハニホヘトチに関し）
- d) 開発計画（開発の可能性を判断するための資料）
- e) 希少疾病用医薬品（ないしは医療機器、再生医療等製品）の概要（別紙様式1）

但し、事前相談時間は、30分～1時間なので、上記資料の要点を説明できるようにしておく。

- ③ 指定申請を行う際には、「希少疾病医薬品（ないしは医療機器、再生医療等製品）指定申請書」〔施行規則様式第107(1)、様式第107(2)又は様式第107(3)〕を、記載事例を参照して作成し、添付資料と共に、審査管理課に提出する。（提出部数は、以前は正本1通、副本3通であったが、部数は確認を要する）。
- 尚、外国に籍を有し、希少疾病用医薬品等の指定を受けようとする者は、併せて国内の開発を担う者の氏名、住所、連絡先を届け出ること。

④～⑩

- ・ 指定申請後は、PMDAにおける事前審査を踏まえ、審査管理課で審査を行い、指定して問題ない場合には、薬事・食品衛生審議会に諮問する。審議会で問題ないとの答申が得られれば、指定書が通知されてくる。
- ・ 指定されると、告示として指定された内容が官報に掲載される。官報掲載にあたっては、申請者の住所確認のため現在事項全部証明書の提出が求められる。
- ・ 指定後の当局の支援内容（助成金の交付、指導・助言、税制措置、優先審査、再審査期間の延長）があるが、このうち助成金の交付、税制措置については、申請者の意向により、辞退する事もあるので、確認を要す。

- 3) その他、試験研究等の中止、指定の取り消し、承継の取扱いの手順があるが、指定後の手順なので、省略する。