

支援上限額の評価について

1. 支援上限額の評価方針（案）

未承認薬等開発支援事業における開発経費支援については、開発支援品目選定時に開発経費の概算が開発者（社）から提示されている。医薬品医療機器総合機構との治験相談等により、開発計画の変更される場合があり得るため、改めて正式な開発経費見積書の提出を求めている。

なお、開発支援については開発者（社）の概算要求に基づき、開発支援金の執行計画を立てているため、概算から大幅な増額はできない。

以上のことから、支援上限額は以下のような考え方にに基づき検討する。

- ①開発支援品目選定時に開発者（社）から提示されている開発経費の概算額を基準とする。
- ②治験相談等により新たに治験を実施することになった等の合理的な理由がある場合に限り、概算額からの増額を検討する。
- ③支援要求額のうち、適当ではないと思われる支出部分の査定を行う。
- ④査定後の見積額が、概算額を超えている場合には、他の品目の開発支援に影響を与えないかどうかを勘案しつつ、その妥当性を検討し、支援上限額を決定する。

2. 開発経費の支援上限額の評価対象品目

今回、開発経費の見積が提出されたのは、昨年 10 月 1 日の未承認薬使用問題検討会議で開発支援品目として選定された 12 品目のうち、開発経費の見積が提出された以下の 9 品目。

	医薬品名	対象疾病
2	クロファラビン	小児急性リンパ性白血病
5	アテムツズマブ	B細胞性慢性リンパ性白血病
6	タルク	悪性胸水
7	スチリベントール	乳児重症ミオクロニーてんかん
8	ルフィナマイド	レノックス・ガストー症候群
9	メサドン	がん性疼痛
10	ヒトヘミン	ポリフィリン症
11	テトラベナジン	ハンチントン病
14	経口リン酸塩製剤	原発性低リン血症性クル病

なお、以下の残る 3 品目については見積が提出され次第、評価する。

	医薬品名	対象疾病
1	ストレプトゾシン	睥島細胞癌
3	ペグアスパラガーゼ	L-アスパラギナーゼに過敏症の急性リンパ芽球性白血病
12	システアミン	シスチノーシス(シスチン蓄積症)