

希少疾病用医薬品・医療機器(オーファンドラッグ・デバイス)の指定要件について

制度の目的

医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品等の開発を支援する。

オーファンドラッグ・デバイスの指定要件

対象者数

対象者数が国内において5万人に達しないこと

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
(薬事法第77条の2)

開発の可能性について

再生・細胞医療製品については、開発ステージを明確に分けることが困難となる場合が考えられるため、開発の可能性について、ケースバイケースで対応することを明確化してはどうか。