

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) の指定制度について

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)

支援の内容について

優先的な治験相談及び優先審査の実施

総審査期間の中央値
(平成23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15ヵ月 (通常品目は20ヵ月)

申請手数料の減額

再審査期間の延長

通常8年を10年 (医薬品)、4年を7年 (医療機器) に延長。この間後発品は、承認申請の際に、新薬同様の資料を求められる。(→その結果、この期間は新薬等の開発企業のみが市場供給を行う場合が多い)

試験研究費への助成金交付

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

助成金を除くオーファンドラッグ等の試験研究費総額の12%が税控除の対象。

希少疾病用医薬品等の指定制度の課題と対応策

検討事項

一般に、対象患者数が少ないほど、治験の実施など開発が困難であり、審査の対象となるエビデンス（申請資料）の量も少なく、市販後の安全性の確保が重要。開発がより困難な医薬品等を対象に、より重点的な支援を行うべきではないか。

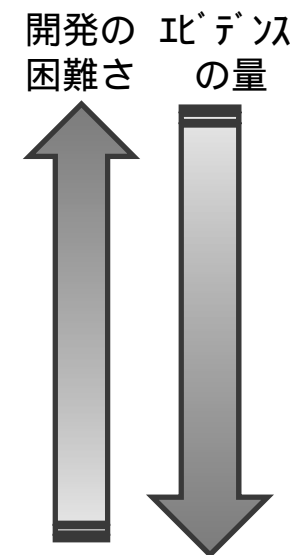
対象患者数に応じた
メリハリのきいた制度

- 助成金の拡充など、より重点的な開発支援
- エビデンスの量に応じた適切な申請手数料の設定
- 再審査期間の延長により製造販売後に一層の有効性・安全性の確認
- 指定時期の早期化（運用の改善）

過去5年の希少疾病用医薬品の指定状況

平成	19年	20年	21年	22年	23年*	計
指定品目数	10	16	7	11	16	60
～1,000人	4	6	1	5	7	23
1,001人～ 5,000人	0	2	2	3	5	12
5,001人～ 10,000人	3	3	1	1	1	9
10,001人～ 50,000人	3	5	3	2	3	16

* 平成23年分は9月指定分までの状況



(参考) 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) の指定までの手続き

必要な資料 (医薬品の場合)

対象者数に関する資料

・我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

医療上の必要性に関する資料

・病因、病状等対象疾病に関する資料
・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概要

理論的根拠に関する資料 (入手可能な範囲で)

・起原、経緯、諸外国での使用状況等に関する資料
・製造方法並びに規格及び試験方法に関する資料
・安定性に関する資料
・薬理作用に関する資料
・吸収、分布、代謝、排泄に関する資料
・毒性に関する資料
・臨床試験の成績に関する資料

開発計画

・予定している試験項目、試験機関、所要経費などの開発計画の概要資料

指定までの手順

