

薬価基準収載医薬品 関連企業 御中

厚生労働省医政局医薬産業振興企画課

小児、希少疾病等に係る効能又は効果等の追加に関する加算を希望する品目の提出について

令和 7 年 12 月 24 日の予算大臣折衝において、「令和 9 年度の薬価改定を着実に実施することとする。その際の対象品目の範囲や適用される各種ルールの内実については、創薬イノベーションの推進、医薬品の安定供給の確保、現役世代の保険料負担を含む国民負担の軽減といった要請についてバランス良く対応するとの基本的な考え方を踏まえて検討する」とされており、令和 9 年度の薬価改定のあり方は現時点では未定であるところ、事務的な作業を行う時間が限られていることから、中央社会保険医療協議会における今後の議論に備え、さまざまな状況に対応できるよう、必要な情報の整理を進めておく必要があります。

つきましては、小児、希少疾病、先駆的、特定用途、迅速導入（以下「小児、希少疾病等」という。）に係る効能又は効果等の追加に関する加算について、各社の要望を把握するため、下記のとおり、希望品目の調査を実施いたします。

記

1. 提出資料

（1）小児に係る効能又は効果等の追加に関する加算希望の場合

- ①小児、希少疾病等に係る効能又は効果等の追加に関する加算希望予定品目（別紙 1）
- ②小児に係る効能又は効果等の追加に関する加算希望予定品目一覧（別紙 2）

（2）希少疾病、先駆的、特定用途又は迅速導入に係る効能又は効果等の追加に関する加算希望の場合

- ①小児、希少疾病等に係る効能又は効果等の追加に関する加算希望予定品目（別紙 1）
- ②希少疾病、先駆的、特定用途、迅速導入に係る効能又は効果等の追加に関する加算希望予定品目一覧（別紙 3）

2. 提出期限

令和 8 年 10 月 2 日（金）

3. 提出先

4. 留意事項等

- ・本希望の提出により小児、希少疾病等に係る効能又は効果等の追加に関する加算の適用が保証されるものではないことにご留意願います。
- ・希望提出に当たっては、小児、希少疾病等に係る効能又は効果等の追加に関する加算の要件に合致することを十分ご確認ください（別添参考を参照）。
- ・提出の際、メールタイトルは希望する加算の種類に合わせて「企業名 令和9年度〇〇に係る効能又は効果等の追加に関する加算希望」（〇〇は小児、希少疾病、先駆的、特定用途、迅速導入のうち該当するもの）とし、各提出ファイル名については冒頭に企業名を付けてご提出ください。
- ・提出資料については、word ファイル形式又は excel ファイル形式でご提出ください。また、各資料の入力に当たっては、各々のファイル中の入力例・注意事項を参考にしてください。
- ・国内の標準的治療法及び真の臨床的有用性の検証に係る加算との併算定を希望する場合には、国内の標準的治療法及び真の臨床的有用性の検証に係る加算希望も別途ご提出ください。

(別添参考)

○ 令和 8 年 2 月 13 日保発 0213 第 2 号「薬価算定の基準について」より一部抜粋

第 3 章 第 10 節 既収載品の薬価改定時の加算

(1) 対象品目

本規定の対象品目は、次のいずれかに該当する品目とする。ただし、第 5 節 1 の市場拡大再算定に該当する品目を除く。

① 小児に係る効能又は効果等が追加された既収載品

医薬品医療機器等法第 14 条第 15 項（同法第 19 条の 2 第 6 項において準用する場合を含む。以下同じ。）の規定に基づき小児に係る効能又は効果又は用法及び用量が追加されたもの。ただし、当該効能又は効果等の追加の承認の申請に当たって、当該申請に係る事項が医学薬学上公知であることその他の合理的な理由により、臨床試験その他の試験の全部又は一部を新たに実施することなく、文献等を添付することにより申請が可能であった場合など、当該既収載品の製造販売業者の負担が相当程度低いと認められるものを除く。

② 希少疾病に係る効能又は効果等が追加された既収載品

医薬品医療機器等法第 14 条第 15 項の規定に基づき希少疾病に係る効能又は効果又は用法及び用量が追加されたもの（希少疾病用医薬品又はそれに相当すると認められるものに限る。）とする。ただし、当該効能又は効果等の追加の承認の申請に当たって、当該申請に係る事項が医学薬学上公知であることその他の合理的な理由により、臨床試験その他の試験の全部又は一部を新たに実施することなく、文献等を添付することにより申請が可能であった場合など、当該既収載品の製造販売業者の負担が相当程度低いと認められるものを除く。

③ 先駆的な効能又は効果等が追加された既収載品

医薬品医療機器等法第 14 条第 15 項の規定に基づき効能又は効果又は用法及び用量が追加された先駆的医薬品とする。ただし、当該効能又は効果等の追加の承認の申請に当たって、当該申請に係る事項が医学薬学上公知であることその他の合理的な理由により、臨床試験その他の試験の全部又は一部を新たに実施することなく、文献等を添付することにより申請が可能であった場合など、当該既収載品の製造販売業者の負担が相当程度低いと認められるものを除く。

④ 特定用途に係る効能又は効果等が追加された既収載品

医薬品医療機器等法第 14 条第 15 項の規定に基づき効能又は効果又は用法及び用量が追加された特定用途医薬品とする。ただし、当該効能又は効果等の追加の承認の申請に当たって、当該申請に係る事項が医学薬学上公知であることその他の合理的な理由により、臨床試験その他の試験の全部又は一部を新たに実施することなく、文献等を添付することにより申請が可能であった場合など、当該既収載品の製造販売業者の負担が相当程度低いと認められるものを除く。

⑤ 迅速導入により効能又は効果等が追加された既収載品

迅速導入加算の要件を満たして効能又は効果又は用法及び用量が追加されたもの（③に該当するものを除く。）。ただし、当該効能又は効果等の追加の承認の申請に当たって、当該申請に係る事項が医学薬学上公知であることその他の合理的な理由により、臨床試験その他の試験の全部又は一部を新たに実施することなく、文献等を添付することにより申請が可能であった場合など、当該既収載品の製造販売業者の負担が相当程度低いと認められるものを除く。

（２）薬価の改定方式

（１）に該当する品目については、本規定の適用前の価格に、別表２に定める有用性加算（Ⅱ）の計算方法を準用して算定される補正加算率を乗じて得た額を加えた額に改定する。ただし、補正加算率は次のとおり適用し、本規定による加算後の価格が当該既収載品の薬価改定前の薬価の 100 分の 120 を乗じて得た額を超える場合には、当該額とする。

イ 複数の効能又は効果又は用法及び用量が追加された場合は、追加された効能又は効果又は用法及び用量ごとに算定された補正加算率を合計したもの

ロ 一の効能又は効果又は用法及び用量において（１）の①から⑤までの複数のに該当する場合は、それらのうち補正加算率が最も大きなもの

別表２ ２ 各補正加算率の計算方法

（５）第３章第 10 節に定める既収載品の薬価改定時の加算において、有用性加算（Ⅱ）の計算方法を準用する場合における補正加算率（ α ）の算式

イ）内用薬及び外用薬

$$\alpha = \frac{A}{100} \times 1.5^{\log\left(\frac{X}{50}\right)/\log\left(\frac{25}{50}\right)} \quad (\text{ただし、} 2.5/100 \leq \alpha \leq 15/100)$$

ロ）注射薬

$$\alpha = \frac{A}{100} \times 1.5^{\log\left(\frac{X}{20}\right)/\log\left(\frac{10}{20}\right)} \quad (\text{ただし、} 2.5/100 \leq \alpha \leq 15/100)$$

（注） A：当該既収載品に対して適用される率（％）

X：億円単位で示した当該既収載品の同一組成既収載品群（当該薬価の改定の特例の対象となるものに限る。）の薬価改定前の薬価を基に計算した年間販売額の合計額

ただし、 $0.5A/100 \leq \alpha \leq 1.5A/100$ とする。

- 令和2年8月31日薬生薬審発 0831 第7号・薬生機審発 0831 第7号「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」（令和6年1月16日一部改正）より一部抜粋

1 指定の基準

法第77条の2第1項の規定による希少疾病用医薬品等の指定は、指定の申請に係る医薬品、医療機器及び再生医療等製品（以下「医薬品等」という。）につき、次の（1）から（3）までのいずれの要件にも該当するものについて行うものであること。

（1）対象者数

ア 対象者数の基準

医薬品等の用途に係る対象者の数が、本邦において5万人未満であること。

ただし、その用途が指定難病（難病の患者に対する医療等に関する法律（平成26年法律第50号。以下「難病法」という。）第5条第1項に規定する指定難病をいう。以下同じ。）の場合は、対象者の数が同項に規定する人数（人口のおおむね千分の一程度）未満であること。

- 令和2年8月31日薬生薬審発 0831 第6号「先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて」(令和5年12月22日一部改正)より一部抜粋

1. 指定の要件

指定を受ける医薬品は、以下の4つのすべての要件を満たすこと。

なお、4つのすべての要件を満たす場合であっても、過去に先駆け審査指定制度の対象品目若しくは先駆的医薬品として指定された医薬品に対する当該医薬品と同一の作用機序による効能若しくは効果の追加、又は当該医薬品と同一の作用機序を有する医薬品に対する当該作用機序による効能若しくは効果の指定は、原則として行わない。

(1) 指定要件1：治療薬の画期性

原則として、既承認薬と異なる新作用機序であること、既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患への適応は初めてであること、又は革新的な薬物送達システムを用いていること。なお、既承認薬としては、外国においてのみ承認を受けている医薬品を含む。

(2) 指定要件2：対象疾患の重篤性

以下のいずれかの疾患に該当するものであること

- ・ 生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・ 根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患

(3) 指定要件3：対象疾患に係る極めて高い有効性

既承認薬が存在しない、又は既存の治療薬／治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる、若しくは著しい安全性の向上が見込まれること。ただし、有効性の大幅な改善が見込まれるものについては、少なくとも国内外を問わず探索的臨床試験等において、ヒトに対する有効性が示唆されていること。

(4) 指定要件4：世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制

日本における早期開発を重視し、世界（我が国と同等の水準の承認制度を有している国）に先駆けて又は同時に日本で承認申請される（最初の国の申請日を起算日とし、同日から3か月以内の申請は同時申請とみなす。）予定のものであり、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(以下「PMDA」という。)で実施されている先駆け総合評価相談（以下「先駆け相談」という。）を活用し承認申請できる体制及び迅速な承認審査に対応できる体制を有していること。なお、国内での開発が着実に進んでいることが確認できる以下の両方に該当する治療薬であることが望ましい。

- ・ First In Human(FIH)試験が日本で行われたもの
- ・ Proof Of Concept(POC)試験が日本で行われたもの

また、使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品を申請する場合は、当該診断薬等も並行して承認申請できる体制（他社との連携体制を含む。）を有していること。

○ 令和2年8月31日薬生薬審発 0831 第5号「特定用途医薬品の指定に関する取扱いについて」（令和8年2月27日一部改正）より一部抜粋

1. 指定の要件

以下の（１）又は（２）のいずれかに該当するもの。

（１）小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするものであって、以下のア及びイの要件を満たすもの（小児に用いる剤形の追加に係る開発を含む。）

ア 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

以下のいずれかに該当するものであること

① 既存の治療法、予防法又は診断法（以下「治療法等」という。）がないもの（医薬品を用いるもの以外に標準的な治療法等がない場合であって、小児に対する用法及び用量が設定された医薬品がない場合を含む）

② 小児にとっての有効性、安全性又は肉体的・精神的な患者若しくは介護者負担の観点から、既存の治療法等より医療上の有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの

イ 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

以下の①及び②の両方を満たすものであること

① 適応疾患が重篤である、又は重篤な疾患に対して支持的に用いるもの

② 既存の治療法等として十分ではなく、製造販売の承認が与えられるとしたならば、その用途に関し、治療等の選択肢となりうるもの。特に、小児に適した剤形や規格の製剤開発を要するもの、又は国際的なガイドライン等で標準的な治療法等として確立しているもの若しくはランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているものについては、積極的に特定用途医薬品として指定する。

（２）薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防を用途とするものであって、

１）又は２）の場合に、それぞれア及びイの要件を満たすもの

１） 薬剤耐性を有する病原体を対象とする薬剤の場合

ア 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

以下の①及び②の両方を満たすものであること

① 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する（又は有することとなる可能性がある）病原体を対象とするものであること

② 当該主として用いられている薬剤以外に対象とする病原体による疾患に対して承認された医薬品がないこと

イ 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

以下の①及び②の両方を満たすものであること

① 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと

② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

2) 薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤の場合

ア 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

以下①又は②のいずれかに該当するものであること

① 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあること

② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと

イ 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

以下の①及び②の両方を満たすものであること

① 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと

② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

○（参考）過去の問い合わせと回答

（問）

希少疾病に係る効能効果等を追加した場合、収載後の加算の該当性はどのように評価されるのか。

（答）

原則として、薬機法に基づく希少疾病用医薬品に指定されている効能効果又は用法用量の一部変更承認を取得し、薬機法に基づく再審査の対象とされているものを加算の対象とする。

ただし、本加算は、企業における希少疾病への効能拡大等のインセンティブとなるよう導入されたという趣旨にかんがみ、以下の品目は、加算の対象外としている。

- ① 自ら臨床試験を実施せずに、既存の文献等に基づき、公知申請として承認を取得した場合や医師主導治験の結果に基づき承認を取得した場合など、開発に当たっての当該企業の負担が相当程度低いと考えられるもの
- ② 既に希少疾病用医薬品として承認を取得した効能と類似の効能を追加したり、当該既存効能に係る対象患者の限定を解除したりしたものであり、新たな希少疾病用医薬品としての開発というよりも、従前効能の対象患者拡大に相当し、開発リスクが低かったと考えられるもの
- ③ 薬価算定時の比較薬が、今回対象となる希少疾病に関して市場性加算（Ⅰ）の適用を受けている場合など、申請品目の薬価収載時に、既に当該希少疾病に関する評価を考慮した算定が行われていると考えられるもの

（問）

小児に係る効能効果等を追加した場合、収載後の加算の該当性はどのように評価されるのか。

（答）

原則として、小児に係る効能効果又は用法用量の一部変更承認を取得し、薬機法に基づく再審査の対象とされているものを加算の対象とする。

ただし、本加算は、当初成人用製剤として開発された品目について、企業における小児適応への拡大のインセンティブとなるよう導入されたという趣旨にかんがみ、以下の品目は、加算の対象外としている。

- ① 自ら臨床試験を実施せずに、厚生労働省の「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」等での検討結果や既存の文献等に基づき、公知申請として承認を取得した場合や医師主導治験の結果に基づき承認を取得した場合など、開発に当たっての当該企業の負担が相当程度低いと考えられるもの
- ② もともと小児疾患を対象として開発され、薬価収載時にその点を考慮した算定が行われており、作用機序からみても、小児が主となる疾患に関して効能追加等が行われることが当然想定されるもの