

希少疾病用医薬品
希少疾病用医療機器
希少疾病用再生医療等製品の
開発をお考えの企業の皆様へ



国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所
National Institutes of Biomedical Innovation, Health and Nutrition

2015.4 暫定版

「希少疾病用医薬品」

「希少疾病用医療機器」

「希少疾病用再生医療等製品」とは？

「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（医薬品医療機器法）」第77条の2に基づき、厚生労働大臣から「希少疾病用医薬品」、「希少疾病用医療機器」または「希少疾病用再生医療等製品」の指定を受けたものを言います。

指定を受けるための要件は、

- ① 日本での対象患者さんが5万人未満であること。または、その用途が「難病の患者に対する医療等に関する法律（難病法）」第5条第1項に規定する指定難病であること。
- ② 医療上、特にその必要性が高いこと。
- ③ 開発の可能性が高いこと。

の3点です。

「希少疾病用医薬品」

「希少疾病用医療機器」

**「希少疾病用再生医療等製品」の
指定を受けることのメリット**

● 医薬基盤・健康・栄養研究所によるもの ●

- ① 開発に必要な試験研究費への助成金の交付（助成金交付）
- ② 当該試験研究に関する指導・助言（指導・助言）
- ③ 試験研究費に対する税制措置（認定）

● 厚生労働省、独立行政法人医薬品医療機器総合機構によるもの ●

- ① 優先的な治験相談、優先審査の実施
- ② 再審査期間の延長



医薬基盤・健康・栄養研究所では、「希少疾病用医薬品」、「希少疾病用医療機器」または「希少疾病用再生医療等製品」を開発する企業の方々に以下のような支援を行っています。

開発に必要な試験研究費への助成金の交付(助成金交付)

医薬基盤・健康・栄養研究所は、希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器または希少疾病用再生医療等製品を開発する企業に対し、その開発に必要な経費に充てるための助成金を交付します。助成金の交付対象となるのは、指定を受けてから製造販売承認申請を行うまでに必要な試験研究に要する直接経費で、助成額はこの経費の2分の1に相当する額が限度となります。但し、承認条件として製造販売後臨床試験が課されたエイズ治療薬は、製造販売承認申請後でも助成対象としています。

開発に必要な試験研究に関する指導・助言

医薬基盤・健康・栄養研究所は、希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器または希少疾病用再生医療等製品の開発企業からの試験研究等に関し、助成金交付に係る相談を対象に厚生労働省、医薬品医療機器総合機構と連携して、指導・助言を行っています。また、指導・助言事業の一環として、医薬品医療機器総合機構で実施される対面助言に同席することがあります。

認定の業務

医薬基盤・健康・栄養研究所は、租税特別措置法に基づき、助成金交付期間に行われた希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器または希少疾病用再生医療等製品の試験研究に要した費用について、開発企業からの申請に基づき額の認定を行います。この認定により、助成金交付を受けた希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器または希少疾病用再生医療等製品の試験研究費総額(医薬基盤・健康・栄養研究所の助成金を除く)の20%が控除額の対象となります。

詳細は

nibio

検索

→「**医薬基盤研究所トップページ**」

→「**希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器等**」をご参照ください。

制度全般については、そのページにある「希少疾病用医薬品等ガイド」をご覧ください。

問い合わせ先

国立研究開発法人 **医薬基盤・健康・栄養研究所** 開発振興部開発振興課

〒567-0085

大阪府茨木市彩都あさぎ7-6-8

電話:072-641-9804 FAX:072-641-9831

E-mail:kisho-ph@nibiohn.go.jp

国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所 現地ルート図
Map of Saito, Osaka



交通のご案内

北大阪急行「千里中央」駅下車
大阪モノレール『彩都西』行き乗車(所要時間 19 分)
終点『彩都西』下車 徒歩 10 分