

特定用途医薬品への該当性の基準について（案）

（こちらの基準は、医療上の必要性の評価の基準等の記載に倣って作成）

特定用途医薬品に係る開発の要望があった場合には、要望された医薬品を下記のとおり分類する。

1. 小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの

(1) 対象とする用途に関して開発を行う必要があること

- ア 用法又は用量の変更
- イ 剤形の追加
- ウ ー
- エ 該当しない

(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

- ア 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの（既存の治療法、予防法又は診断法が医薬品を用いるもののみの場合であって、治療法、予防法又は診断法に用いる医薬品として対象とする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）
- イ 小児にとっての有効性、安全性若しくは肉体的・精神的な患者又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
- ウ ー
- エ 該当しない

(3) 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

- ア 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 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
- イ ー

- ウ ー
- エ 該当しない

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

2-1. 薬剤耐性を有する病原体を対象とした薬剤の場合

(1) 対象となる用途に用いるために開発を行う必要があるもの

- ア 効能又は効果の変更
- イ 用法又は用量の変更
- ウ ー
- エ 該当しない

(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

- ア 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 ー
- ウ ー
- エ 該当しない

(3) 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

- ア 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
- イ ー
- ウ ー
- エ 該当しない

2-2. 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

(1) 対象となる用途に用いるために開発を行う必要があるもの

- ア 用法及び用量の変更
- イ 効能又は効果の変更
- ウ ー
- エ 該当しない

(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

- ア 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
- イ 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
- ウ ー
- エ 該当しない

(3) 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

- ア 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
- イ ー
- ウ ー
- エ 該当しない

※1 ア、イ、ウのうち複数に該当すると考えられる場合、最も適切と判断されるものに当てはめることとする。

※2 特定用途医薬品への該当性の評価結果は、要望された医薬品の製造販売業者へ通知される。