

(薬機法における特定用途医薬品に関する記述 (第77条の2第3項))

- 一 その用途が厚生労働大臣が疾病の特性その他を勘案して定める区分に属する疾病の診断、治療又は予防であつて、当該用途に係る医薬品、医療機器又は再生医療等製品に対する需要が著しく充足されていないと認められる物であること。
- 二 申請に係る医薬品、医療機器又は再生医療等製品につき、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、特に優れた使用価値を有することとなる物であること。

省令 (施行規則) において特定用途医薬品の要件を以下のように規定。

イ 既承認医薬品のうち

- 用法・用量の変更により小児の疾病の診断、治療又は予防に用いるもの
- 効能・効果、用法・用量を変更して、薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防に用いるもの

ロ 既承認の医薬品と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が同一性を有すると認められる医薬品のうち、その剤形を当該既承認の医薬品と異ならせることにより、小児の疾病の診断、治療又は予防に用いるもの

(規則第251条の3第3項第1号)

イ 既に法第14条又は第19条の2の承認を受けている医薬品 (既承認医薬品) のうち

- (1) その用法又は用量を変更して次条1号イの用途に用いることとなるものであること
- (2) その効能、効果、用法又は用量を変更して次条第1号ロの用途に用いることとなること

ロ 既承認の医薬品と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が同一性を有すると認められる医薬品の内、その剤形を当該既承認の医薬品と異ならせることにより、次条第1号イの用途に用いることとなるものであること

(規則第251条の4)

法77条の2第3項の区分は次の各号に掲げる申請の対象品目に応じてそれぞれ当該各号に掲げるものとする。

- 一 医薬品又は再生医療等製品 次のイ又はロのいずれかに該当するもの
 - イ 小児の疾病の診断、治療又は予防
 - ロ 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

特定用途医薬品に指定されることによるメリット

○優先審査の対象

(薬機法第14条第8項)

厚生労働大臣は、第一項の承認の申請に係る医薬品が、希少疾病用医薬品、先駆的医薬品又は特定用途医薬品その他の医療上特にその必要性が高いと認められるものであるときは、当該医薬品についての第二項第三号の規定による審査又は前項の規定による調査を、他の医薬品の審査又は調査に優先して行うことができる。

○研究開発税制と助成の対象

(薬機法第77条の3)

国は、希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器及び希少疾病用再生医療等製品並びにその用途に係る対象者の数が本邦において厚生労働省令で定める人数に達しない特定用途医薬品、特定用途医療機器及び特定用途再生医療等製品の試験研究を促進するのに必要な資金の確保に努めるものとする。

(薬機法第77条の4)

国は、租税特別措置法(昭和三十二年法律第二十六号)で定めるところにより、希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器及び希少疾病用再生医療等製品並びにその用途に係る対象者の数が本邦において厚生労働省令で定める人数に達しない特定用途医薬品、特定用途医療機器及び特定用途再生医療等製品の試験研究を促進するため必要な措置を講ずるものとする。

○再審査期間の付与

(「医療用医薬品の再審査期間について」(令和2年8月31日付け薬生発0831第11号厚生労働省医薬・生活衛生局長通知)再審査期間)

1 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(昭和35年法律第145号。以下「法」という。)第14条の4第1号に規定する新医薬品の調査期間は次のとおりとし、当該調査期間経過後3月以内に再審査を受けなければならないこと。

(1) (略)

(2) 以下に該当する新医薬品 6年未満で別に定める期間

(ア) 特定用途医薬品

(イ) (略)