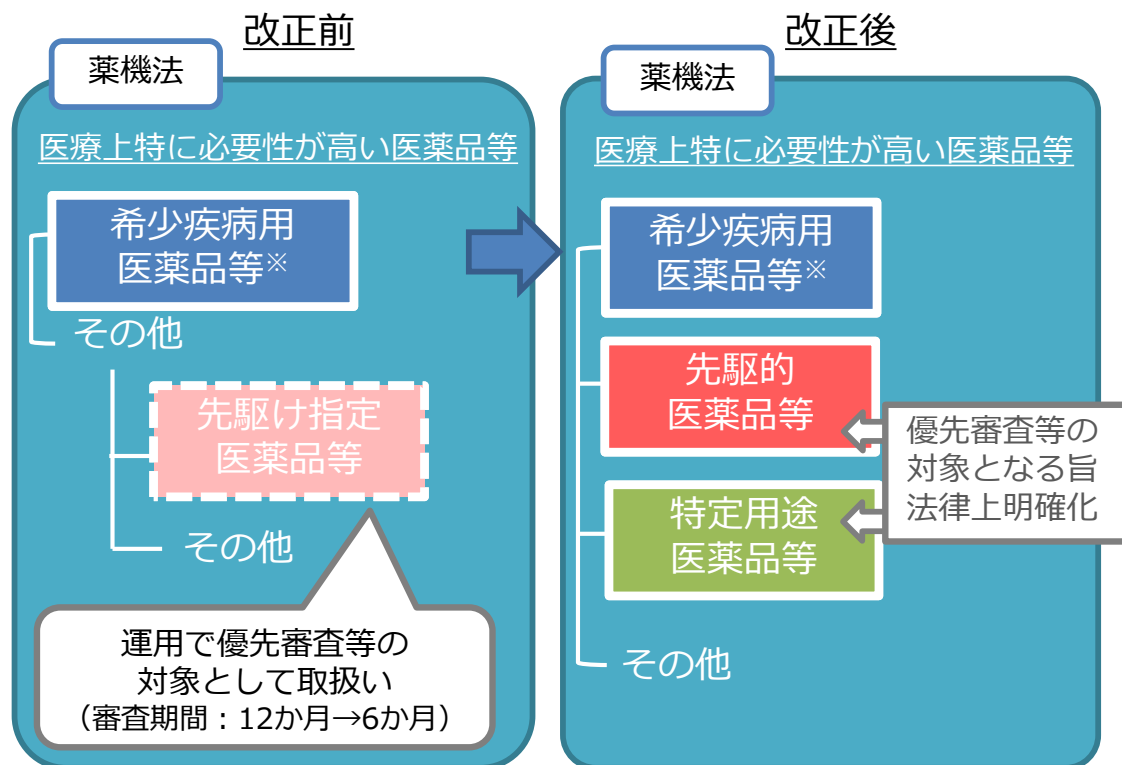


医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律（令和元年法律第63号）

資料10

- 日本・外国で承認を与えられている医薬品等と作用機序が明らかに異なる医薬品・医療機器・再生医療等製品を「**先駆的医薬品**」等として指定する制度を法制化する。指定を受けた場合は優先審査等の対象となることを法律上明確化する。
 - 小児用法用量が設定されていない医薬品など、医療上のニーズが著しく充足されていない医薬品等について、「**特定用途医薬品**」等として指定する制度を法制化する。指定を受けた場合は優先審査等の対象となることを法律上明確化する。
 - 特定用途医薬品等については、現行の希少疾病用医薬品等と同様、試験研究を促進するための必要な資金の確保及び税制上の措置を講じる（その特定の用途に係る患者数が少ないものに限る）ことを法律に規定する。
- （※）税制優遇措置については、平成31年税制改正の大綱に既に位置づけられている。



指定の要件	
先駆的医薬品等	①日本・外国で承認を与えられている製品と作用機序等が明らかに異なる ②その用途に関し、特に優れた使用価値を有する ➤ 現在の「先駆け審査指定制度」と同様の対象を想定。
特定用途医薬品等	①その用途が特定の区分（※）に属する疾病の治療等である 〔※・小児の疾病であって、当該医薬品の小児用法用量が設定されていないもの ・薬剤耐性菌等による感染症 等〕 ②当該用途に係る医薬品等に対するニーズが著しく充足されていない ③その用途に関し、特に優れた使用価値を有する

（※）本邦における対象患者が5万人未満又は指定難病

特定用途医薬指定制度について（現状）

特定用途医薬品の指定要件

小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とする医薬品の場合

指定要件ア．開発対象・対象疾患

対象とする用途に関して以下のいずれかの開発を行うものであること

- ① 用法又は用量の変更
- ② 剤形の追加

指定要件イ．対象とする用途への需要の充足性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）
- ② 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

指定要件ウ．対象とする用途に対する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 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

特定用途医薬品の指定のメリット（現状）

優先的な取扱い

(1) 優先相談

総合機構で実施されている対面助言等で、他の医薬品等に優先した取扱いを受けることができる

(2) 優先審査

「医療上特にその必要性が高いと認められるもの」
に該当するため

	通常の審査	特定用途	希少疾病用
審査期間 (80%タイル)	1 2 ヶ月	9ヶ月	9ヶ月

再審査期の付与

- ・ 特定用途医薬品 4年以上6年未満で厚生労働大臣が指定する期間

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）
再審査期間の取扱いについて（令和2年8月31日付け薬生薬審発0831第16号）

資金の確保及び税制上の措置

- ・ 特定用途医薬品等は資金の確保及び税制上の措置の対象（法第77条の3及び第77条の4）
- ・ 対象患者数が5万人以下の特定用途医薬品等は、助成金及び税制上の措置の対象（規則第251条の5及び第251条の6）

ただし、税制上の措置は以下の要件あり

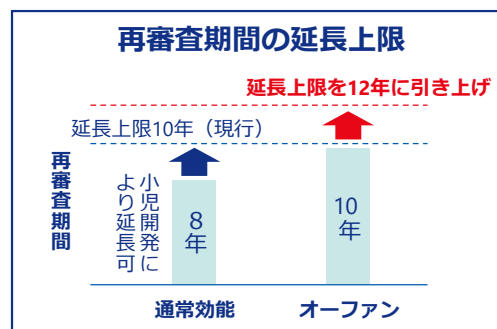
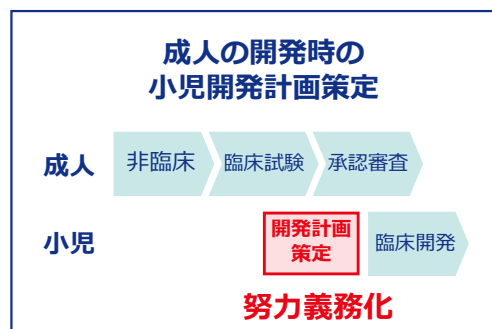
- ・ 医薬基盤・健康・栄養研究所からの助成金の交付を受けて行う特定用途医薬品等に関する試験研究は、特別試験研究の額にかかる税制控除制度の対象
ただし、その助成金の交付を受ける法人の常時使用従業員数が1,000人以下であることが要件

小児用医薬品のドラッグロス解消に向けた制度的対応

対応の方向性

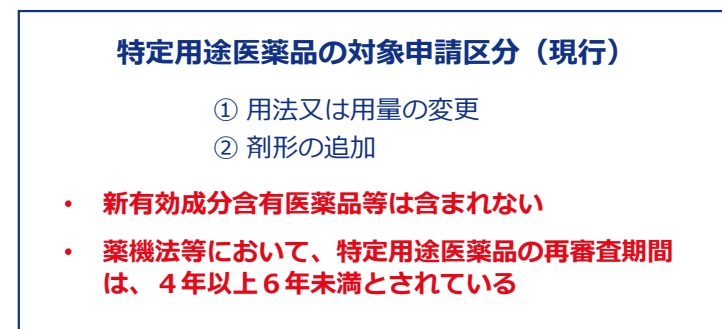
小児用医薬品開発の計画策定の努力義務化

- 医療用医薬品の承認申請時に、**小児用医薬品の開発計画を策定することを努力義務化**してはどうか。ただし、小児に関する需要がない又は充足している場合は例外とする。
- 小児用医薬品の開発計画が策定された医薬品の再審査期間について、すでに10年が設定されている場合は延長の余地がない現状を踏まえ、**再審査期間延長に係る上限を12年に引き上げる**。



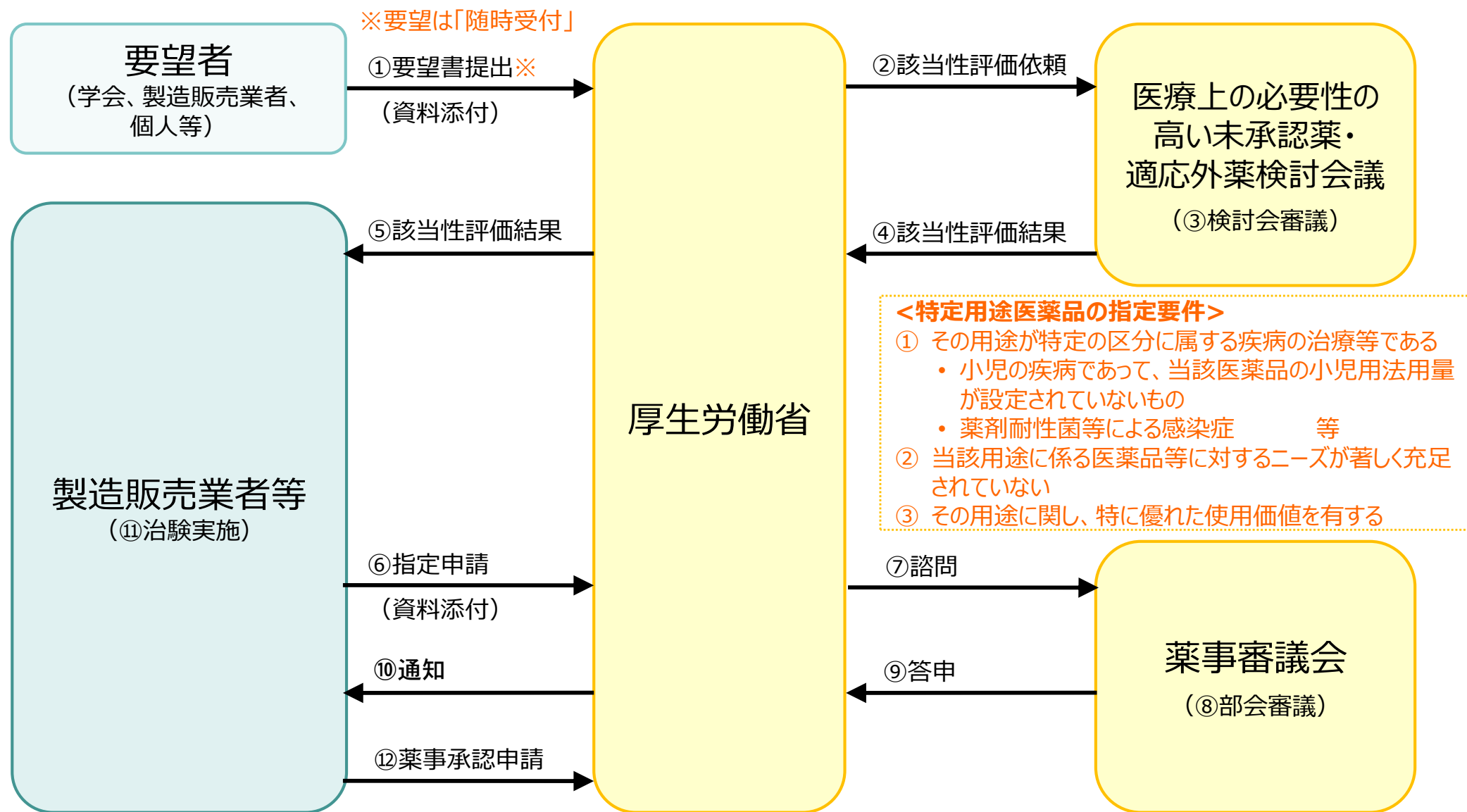
特定用途医薬品に係る制度の見直し

- 小児用医薬品等の開発の支援を行う特定用途医薬品指定制度の対象について、**用量追加や剤形追加の申請区分のみならず、新有効成分等の申請区分も対象にする**こととする（省令事項）。
- あわせて、再審査期間についても、現在は効能追加や剤形追加を前提として**4年以上6年未満**となっていることから、**申請区分に応じて再審査期間が設定されるよう見直す**こととする。



特定用途医薬品の指定、承認申請までの流れ

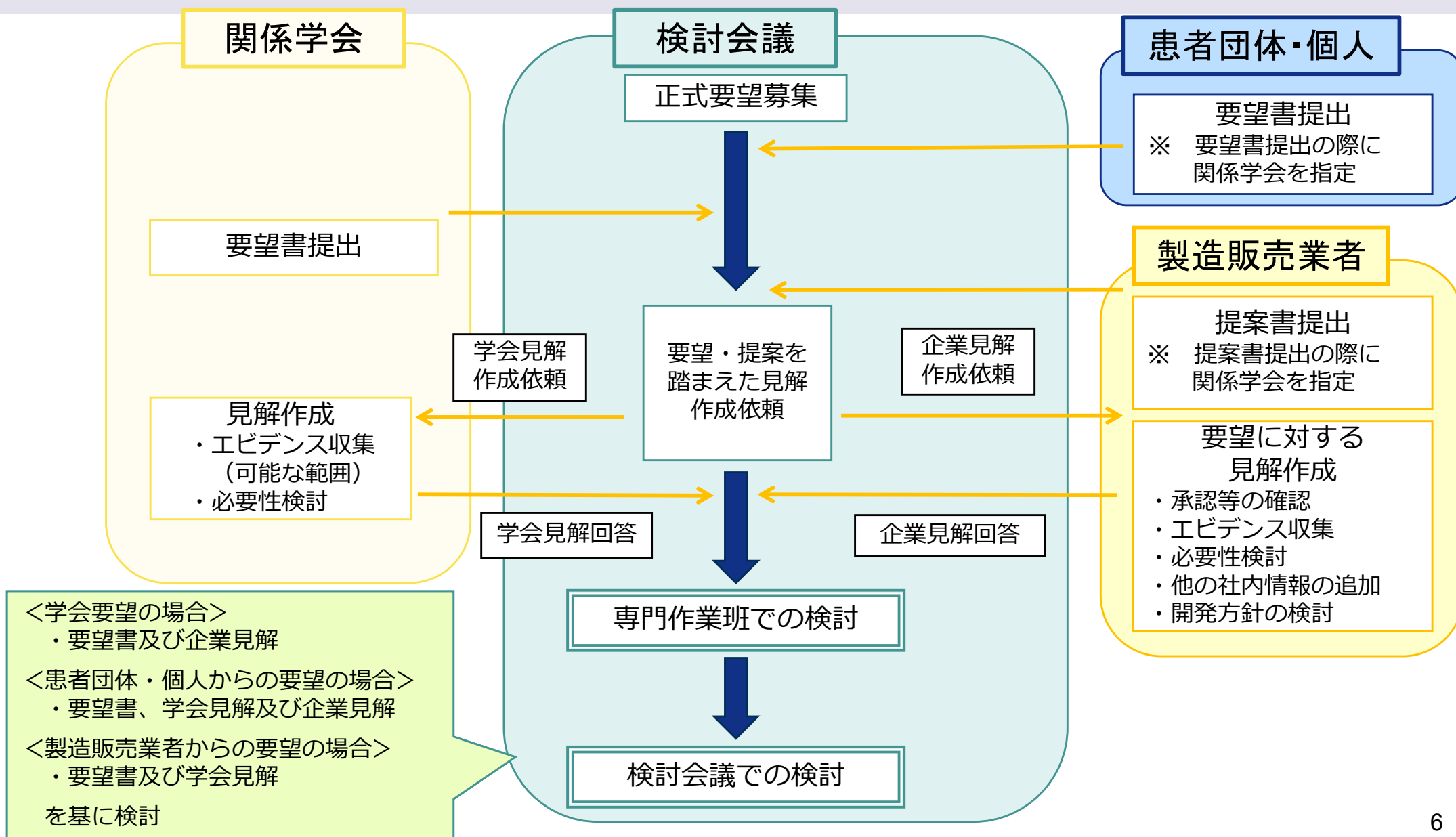
現行



医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議の進め方

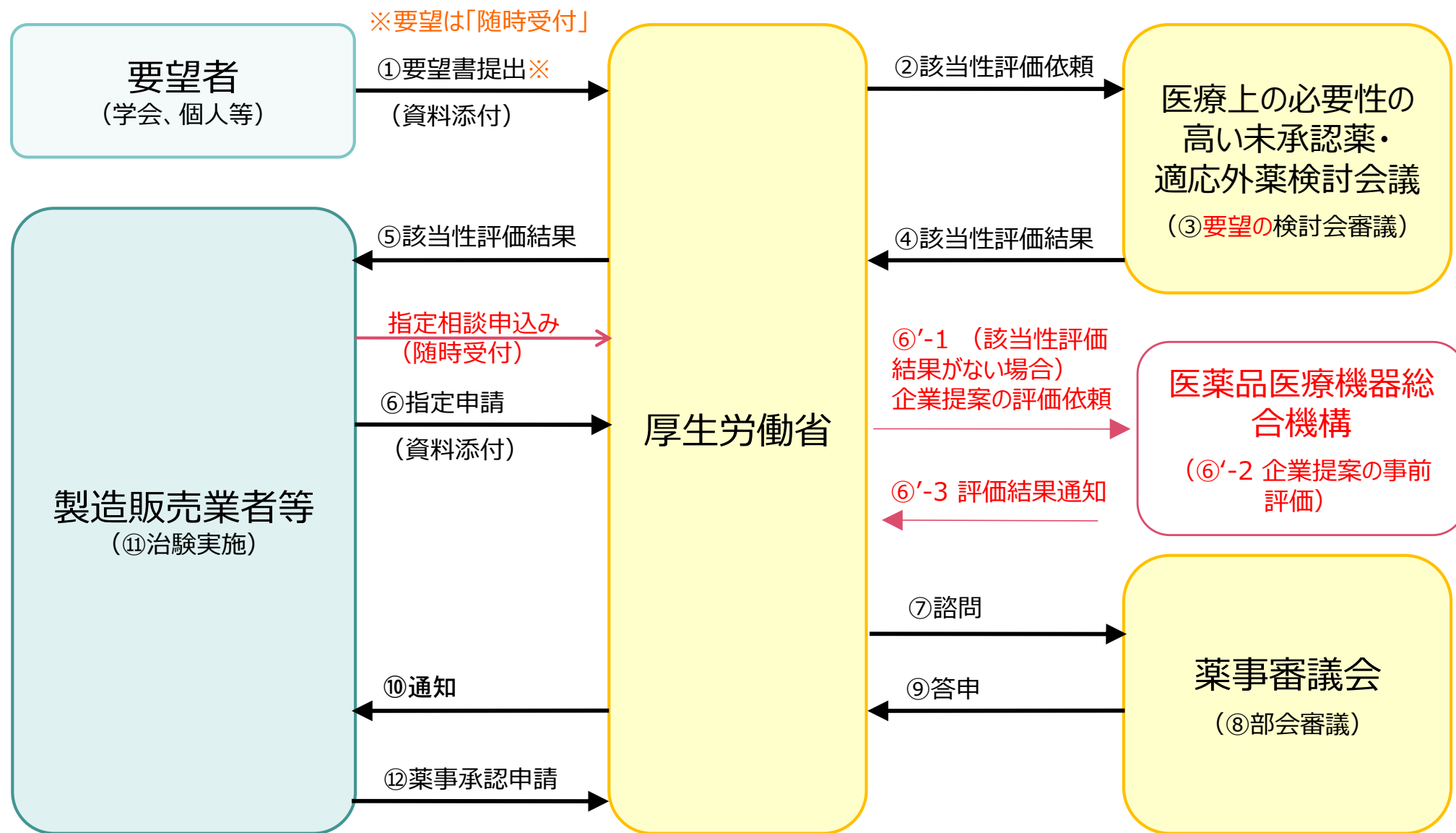
現行

特定用途医薬品の該当性評価



特定用途医薬品の指定、承認申請までの流れ

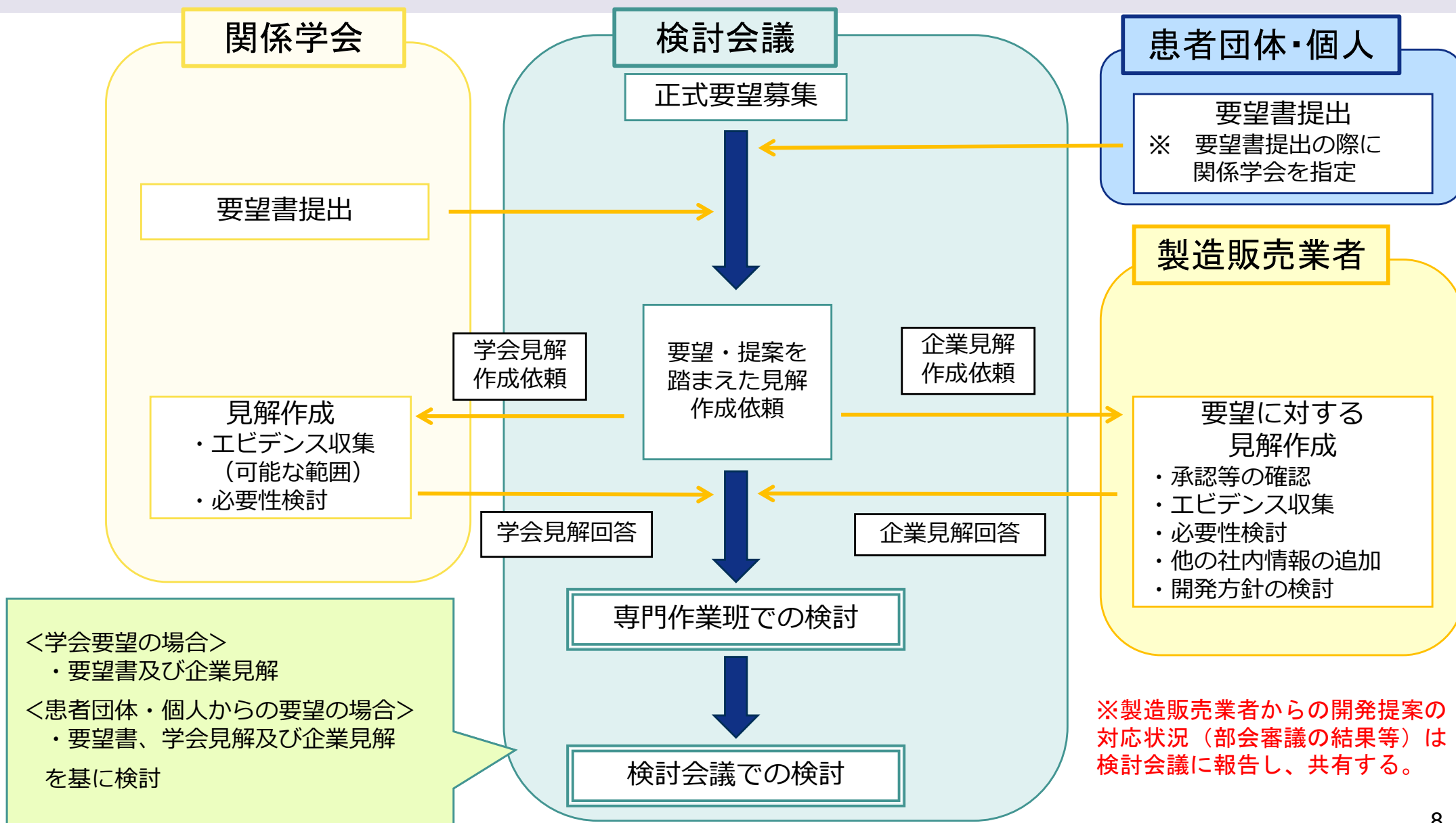
改定案（令和8年5月～）
（改定箇所赤字）



医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議の進め方

改定案（令和8年5月～）
（改定箇所赤字）

特定用途医薬品の該当性評価（学会・患者団体・個人からの要望の場合）



特定用途医薬品指定品目の公表

https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_12717.html

指定品目

指定時期	名称	申請者	指定時の予定効能・効果
R4.3	デクスメトミジン塩酸塩	ファイザー株式会社	小児における非挿管での非侵襲的な処置及び検査時の鎮静
R6.12	ミダゾラム	丸石製薬株式会社	麻酔前投薬
R7.3	マシテンタン	ヤンセンファーマ株式会社	肺動脈性肺高血圧症