

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
製品の指定基準の見直しについて平成 26 年 12 月 18 日
医薬食品局 審査管理課
医薬食品局医療機器・再生医療等製品担当参事官室

【背景】

希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器の指定制度*は、患者数が少なく、かつ、企業の自主的な開発が進みにくい難病等に対する医薬品等の開発の支援に向けて、平成5年に創設された。

今般、平成27年1月1日から難病の患者に対する医療等に関する法律が施行されることを踏まえ、未だ治療法が確立されていない指定難病に対する医薬品等の開発支援を行うために以下の通り指定基準の変更を行いたい。

*：希少疾病用再生医療等製品については平成26年11月25日から運用。

【指定3要件の変更】

現行	変更案
<ul style="list-style-type: none">・ わが国における対象患者数が5万人未満であること。	<ul style="list-style-type: none">・ わが国における対象患者数が5万人未満であること。<u>ただし、対象疾病が指定難病の場合は、その限りではない。</u>
<ul style="list-style-type: none">・ 医療上、特にその必要性が高いこと。・ 開発の可能性が高いこと。	<ul style="list-style-type: none">・ 医療上、特にその必要性が高いこと。・ 開発の可能性が高いこと。

【今後の予定】

- ・ 平成27年1月上旬～2月上旬：パブリックコメント
- ・ 平成27年4月1日：施行

(参考条文)

○医薬品医療機器等法

第七十七条の二 厚生労働大臣は、次の各号のいずれにも該当する医薬品又は医療機器、医療機器又は再生医療等製品につき、製造販売をしようとする者（本邦に輸出されるものにつき、外国において製造等をする者を含む。）から申請があつたときは、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて、当該申請に係る医薬品又は医療機器、医療機器又は再生医療等製品を希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品として指定することができる。

一 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こと。

二 申請に係る医薬品又は医療機器、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。

○医薬品医療機器等法施行規則

第二百五十一条 法第七十七条の二第一項第一号に規定する厚生労働省令で定める人数は、五万人とする。

○難病の患者に対する医療等に関する法律（難病法）

第一条 この法律は、難病（発病の機構が明らかでなく、かつ、治療方法が確立していない希少な疾病であつて、当該疾病にかかることにより長期にわたり療養を必要とすることとなるものをいう。以下同じ。）の患者に対する医療その他難病に関する施策（以下「難病の患者に対する医療等」という。）に関し必要な事項を定めることにより、難病の患者に対する良質かつ適切な医療の確保及び難病の患者の療養生活の質の維持向上を図り、もって国民保健の向上を図ることを目的とする。

第五条 都道府県は、支給認定（第七条第一項に規定する支給認定をいう。以下この条及び次条において同じ。）を受けた指定難病（難病のうち、当該難病の患者数が本邦において厚生労働省令で定める人数に達せず、かつ、当該難病の診断に関し客観的な指標による一定の基準が定まっていることその他の厚生労働省令で定める要件を満たすものであつて、当該難病の患者の置かれている状況からみて当該難病の患者に対する良質かつ適切な医療の確保を図る必要性が高いものとして、厚生労働大臣が厚生科学審議会の意見を聴いて指定するものをいう。以下同じ。）の患者が、支給認定の有効期間（第九条に規定する支給認定の有効期間をいう。第七条第四項において同じ。）内において、特定医療（支給認定を受けた指定難病の患者に対し、都道府県知事が指定する医療機関

(以下「指定医療機関」という。)が行う医療であって、厚生労働省令で定めるものをいう。以下同じ。)のうち、同条第三項の規定により定められた指定医療機関から受けるものであって当該支給認定に係る指定難病に係るもの(以下「指定特定医療」という。)を受けたときは、厚生労働省令で定めるところにより、当該支給認定を受けた指定難病の患者又はその保護者(児童福祉法(昭和二十二年法律第百六十四号)第六条に規定する保護者をいう。以下同じ。)に対し、当該指定特定医療に要した費用について、特定医療費を支給する。

○難病法施行規則

第一条 難病の患者に対する医療等に関する法律(以下「法」という。)第五条第一項の厚生労働省令で定める人数は、人口(官報で公示された最近の国勢調査又はこれに準ずる全国的な人口調査の結果による人口をいう。)のおおむね千分の一程度に相当する数とする。

第二条 法第五条第一項の厚生労働省令で定める要件は、難病(法第一条に規定する難病をいう。以下同じ。)の診断に関し客観的な指標による一定の基準が定まっていることとする。

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 (オーファンドラッグ等)の指定制度について (現行)

制度の目的

医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品・医療機器・再生医療等製品(医薬品等)の開発を支援する。

オーファンドラッグ等の指定要件

対象者数

対象者数が国内において5万人に達しないこと

医療上の必要性

代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと、
又は既存の医薬品と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること

開発の可能性

対象疾病に対して、当該医薬品等を使用する根拠があり、開発計画が妥当であること

これらの条件を満たす医薬品等を指定
(医薬品医療機器等法第77条の2)

支援等の内容について

優先的な治験相談及び優先審査の実施

<総合機構>

総審査期間の中央値 (平成25年度PMDA目標) → 新医薬品 (優先品目) 9ヵ月 (通常品目は12ヵ月)
新医療機器 (優先品目) は10ヵ月 (通常品目は14ヵ月)

申請手数料の減額

試験研究費への助成金交付

<医薬基盤研究所>

指定から承認申請までに必要な試験研究に要する直接経費の2分の1に相当する額を上限。

税制措置上の優遇措置

<医薬基盤研究所による認定>

助成金を除くオーファンドラッグ等の試験研究費総額の12%が税控除の対象。

研究開発に関する指導・助言

<医薬基盤研究所>

	定義
難病	<ul style="list-style-type: none"> ○発病の機構が明らかでなく ○治療方法が確立していない ○希少な疾病であって ○長期の療養を必要とするもの <p style="text-align: right;">（難病法第一条）</p>
指定難病※1	<p>難病のうち、以下の要件を満たすものを、患者の置かれている状況からみて良質かつ適切な医療の確保を図る必要性が高いものとして、厚生科学審議会の意見を聴いて、厚生労働大臣が指定</p> <ul style="list-style-type: none"> ○患者数が省令で定める人数(人口の0.1%程度)以下 ○診断に関し客観的な指標による一定の基準が定まっている <p style="text-align: right;">（難病法施行規則第一条及び第二条）</p>
オーファン ドラッグ等※2	<p>以下の要件を満たすものにつき、製造販売者から申請があったときは、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて、厚生労働大臣が指定</p> <ul style="list-style-type: none"> ○省令で定める人数(5万人)未満 ○特に優れた使用価値を有する見込み <p style="text-align: right;">（医薬品医療機器等法第77条の2）</p>

※1：約300疾病が指定される予定（平成26年12月18日現在、110疾病が既に指定済み）

※2：平成5～25年度で指定された品目数は、医薬品が331品目、医療機器が24品目

医薬品医療機器等法における希少疾病の範囲

	患者数	
	~49,999人	50,000~ 人口のおおむね0.1%程度
指定難病	希少疾病用医薬品等 (現行)	追加(拡大)範囲
指定難病以外		

指定難病リスト(平成26年12月18日現在)

No.	病名
1	球脊髄性筋萎縮症
2	筋萎縮性側索硬化症
3	脊髄性筋萎縮症
4	原発性側索硬化症
5	進行性核上性麻痺
6	パーキンソン病
7	大脳皮質基底核変性症
8	ハンチントン病
9	神経有棘赤血球症
10	シャルコー・マリー・トゥース病
11	重症筋無力症
12	先天性筋無力症候群
13	多発性硬化症／視神経脊髄炎
14	慢性炎症性脱髄性多発神経炎／多巣性運動ニューロパ
15	封入体筋炎
16	クロー・深瀬症候群
17	多系統萎縮症
18	脊髄小脳変性症(多系統萎縮症を除く)
19	ライゾーム病
20	副腎白質ジストロフィー
21	ミトコンドリア病
22	もやもや病
23	プリオン病
24	亜急性硬化性全脳炎
25	進行性多巣性白質脳症
26	HTLV-1関連脊髄症
27	特発性基底核石灰化症
28	全身性アミロイドーシス
29	ウルリッヒ病
30	遠位型ミオパチー
31	ベスレムミオパチー
32	自己貪食空胞性ミオパチー
33	シュワルツ・ヤンペル症候群
34	神経線維腫症
35	天疱瘡
36	表皮水疱症
37	膿胞性乾癬(汎発型)
38	スティーヴンス・ジョンソン症候群
39	中毒性表皮壊死症
40	高安動脈炎
41	巨細胞性動脈炎
42	結節性多発動脈炎
43	顕微鏡的多発血管炎
44	多発血管炎性肉芽腫症
45	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症
46	悪性関節リウマチ
47	バーシャー病
48	原発性抗リン脂質抗体症候群
49	全身性エリテマトーデス
50	皮膚筋炎／多発性筋炎
51	全身性強皮症
52	混合性結合組織病
53	シェーグレン症候群
54	成人スチル病
55	再発性多発軟骨炎
56	ベーチェット病
57	特発性拡張型心筋症
58	肥大型心筋症
59	拘束型心筋症

60	再生不良性貧血
61	自己免疫性溶血性貧血
62	発作性夜間ヘモグロビン尿症
63	特発性血小板減少性紫斑病
64	血栓性血小板減少性紫斑病
65	原発性免疫不全症候群
66	IgA 腎症
67	多発性嚢胞腎
68	黄色靭帯骨化症
69	後縦靭帯骨化症
70	広範脊柱管狭窄症
71	特発性大腿骨頭壊死症
72	下垂体性ADH分泌異常症
73	下垂体性TSH分泌亢進症
74	下垂体性PRL分泌亢進症
75	クッシング病
76	下垂体性ゴナドトロピン分泌亢進症
77	下垂体性成長ホルモン分泌亢進症
78	下垂体前葉機能低下症
79	家族性高コレステロール血症(ホモ接合体)
80	甲状腺ホルモン不応症
81	先天性副腎皮質酵素欠損症
82	先天性副腎低形成症
83	アジソン病
84	サルコイドーシス
85	特発性間質性肺炎
86	肺動脈性肺高血圧症
87	肺静脈閉塞症／肺毛細血管腫症
88	慢性血栓塞栓性肺高血圧症
89	リンパ脈管筋腫症
90	網膜色素変性症
91	バッド・キアリ症候群
92	特発性門脈圧亢進症
93	原発性胆汁性肝硬変
94	原発性硬化性胆管炎
95	自己免疫性肝炎
96	クローン病
97	潰瘍性大腸炎
98	好酸球性消化管疾患
99	慢性特発性偽性腸閉塞症
100	巨大膀胱短小結腸腸管蠕動不全症
101	腸管神経節細胞僅少症
102	ルビンシュタイン・テイビ症候群
103	CFC症候群
104	コステロ症候群
105	チャージ症候群
106	クリオピリン関連周期熱症候群
107	全身型若年性特発性関節炎
108	TNF受容体関連周期性症候群
109	非典型溶血性尿毒症症候群
110	ブラウ症候群

○上記110疾病は平成27年1月1日から先行して医療費助成を開始する指定難病(第一次実施分)。

○今後、指定難病の指定を追加で行い(第二次実施分)、平成27年夏頃をメドに第一次、二次合わせて、約300疾病となる予定。