

希少疾病用医薬品・医療機器 (オーファンドラッグ・デバイス)の指定制度について

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・医療機器の開発を支援する。

オーファンドラッグ・デバイスの指定要件

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
厚生労働科学研究事業や信頼すべき学会の調査結果等、
数種類の統計データ等を利用して患者数を推定

医療上の必要性

代替する適切な医薬品・医療機器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・医療機器を使用する根拠があり、開発計画が妥当であること
海外において既に承認がなされていること、臨床研究などにより既に十分なデータが存在する場合等を除き、臨床試験第Ⅰ相の後半、第Ⅱ相の前半の段階で、それまでの非臨床・臨床のデータをもとに開発の可能性を説明することが望ましい。

これらの条件を
満たす医薬品・
医療機器を指定
(薬事法第77条の2)