

# (参考)希少疾病用医薬品指定申請書の記載について

**名称:**

- 原則として、日本医薬品一般名称 (JAN)、国際一般名 (INN) 等を記載すること。
- JANについては、以下のWebサイトで検索することができる。  
<http://moldb.nihs.go.jp/jan/Default.aspx>

**製造方法:**

- 製造方法の概要を記載すること。

<例1>  
化学合成したYY(有効成分)を錠剤として製する。

<例2>  
YY(有効成分)は、遺伝子組換えヒトインターフェロン ガンマであり、ZZ細胞から産生される。

<例3>  
YY(有効成分)はヒト血液から単離する。

様式第七 (一) (第二百五十条関係)

希少疾病用医薬品指定申請書

名称	
成分及び分量又は本質	
製造方法	
予定される用法及び用量	
予定される効能又は効果	
使用価値が特に優れていると判断する理由	
備考	

上記により、希少疾病用医薬品の指定を申請します。  
年 月 日

住所 法人にあつては、主たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては、名称及び代表者の氏名 印

厚生労働大臣 殿

(注意) 1 用紙の大きさは、日本工業規格 A4 とすること。  
2 この申請書は、正副 2 通提出すること。  
3 字は、墨、インク等を用い、楷書ではっきり書くこと。

**成分及び分量又は本質:**

- 開発薬剤の概要(剤形、成分、分量)について記載すること。

<例>  
1錠中にYY(有効成分)をXX mg含有する。

**予定される用法及び用量:**

- 予定される用法及び用量を記載すること。

<例>  
通常、成人には1回XX mgを1日2回食後に経口投与する。

# (参考)希少疾病用医薬品指定申請書の記載について

様式第七 (一) (第二百五十条関係)

## 希少疾病用医薬品指定申請書

名称	
成分及び分量又は本質	
製造方法	
予定される用法及び用量	
予定される効能又は効果	
使用価値が特に優れていると判断する理由	
備考	

上記により、希少疾病用医薬品の指定を申請します。

年 月 日

住所 法人にあつては、主たる事務所の所在地

氏名 法人にあつては、名称及び代表者の氏名 印

厚生労働大臣 殿

- (注意)
- 1 用紙の大きさは、日本工業規格 A4 とすること。
  - 2 この申請書は、正副 2 通提出すること。
  - 3 字は、墨、インク等を用い、楷書ではっきり書くこと。

### 予定される効能又は効果:

- 予定される効能又は効果を記載すること。

### <注意>

- 特定の疾患を医学薬学上の明確な理由なしに、「重篤の」「重度の」「重症の」「多剤無効の」等の接頭語又はただし書き等を付すことによって効能を限定し、患者数を5万人以下に区切り、希少疾病用医薬品制度の優遇措置を得ようとする申請(いわゆる輪切り申請)は、原則として認めない。

### 備考:

- 本申請の担当者氏名、所属及び連絡先(電話番号、FAX番号、e-mail)を記載すること。
- 他に本申請にあたって、必要な情報があれば当該欄に記載すること。

### 使用価値が特に優れていると判断する理由:

- 以下の点について記載すること。
  - A) 対象疾患について
    - ✓ 病因、病状等の概要
    - ✓ 対象患者数(疾患の有病率)
    - ✓ 類似の医薬品の有無、治療方法の有無など医療の現状の概要
  - B) 当該医薬品を使用する理論的根拠
    - ✓ 作用機序
    - ✓ 臨床試験成績
  - C) 海外における開発及び承認状況
  - D) 日本における開発状況及び開発計画
- 十分なスペースがない場合は、別添として添付することは差し支えない。