

薬事分科会資料

希少疾病用医薬品の指定について

(平成16年12月24日薬事分科会報告用資料)

厚生労働省医薬食品局審査管理課

平成16年12月24日薬事分科会

希少疾病用医薬品の指定について

[希少疾病用医薬品]

	医薬品の名称	予定される効能、効果 又は対象疾病	対象患者数	申請書の名称
1	NPC-02（酢酸亜鉛）	ウィルソン病	約3,400人	ノーベルファーマ株式会社
2	イブリツモマブ ティウキセタン	CD20陽性のB細胞性 非ホジキンリンパ腫	約20,700～ 23,900人	日本シェーリング株式会社

希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療用具の指定制度

1 制度の主旨

難病、エイズ等を対象とする医薬品や医療用具は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことにより十分にその研究開発が進んでいない状況にある。このため、国としてもこうした医薬品等について特別の支援措置を講じることとした。

2 制度の概要

厚生労働大臣は、企業からの申請に基づき、指定基準に合致するものを希少疾病用医薬品等として指定することができる。希少疾病用医薬品等として指定されたものについては、助成金の交付、税制措置、試験研究に関する指導・助言、税額控除、優先審査、再審査期間の延長等の支援措置が講じられる。

なお、希少疾病用医薬品等の指定が、直ちに医薬品等としての製造又は輸入承認に結びつくものではない。

[指定基準]

- ① 本邦における対象患者数が5万人未満であること。
- ② 医療上、特にその必要性が高いこと。
- ③ 開発の可能性が高いこと。

(1) 助成金の交付

希少疾病用医薬品等の開発に係る経費の負担を軽減するため、独立行政法人医薬品医療機器総合機構を通じて助成金の交付を行う。(平成15年度予算額約7億5千万円)

(2) 税制措置

希少疾病用医薬品等の試験研究費の15%相当額を増加試験研究費の控除限度額に加算(法人税の14%が限度)する。

(3) 指導・助言

独立行政法人医薬品医療機器総合機構は、希少疾病用医薬品等に関する試験研究について指導及び助言を行う。

(4) 優先審査

希少疾病用医薬品等に指定されたものについては、できるだけ早く医療の現場に提供できるよう、他の医薬品等に優先して承認審査を行う。

(5) 再審査期間の延長

希少疾病用医薬品等に指定され、承認された医薬品等については、再審査期間を最長10年間(医療用具については最長7年間)に延長する。

3 これまでに指定された品目数

指定年	希少疾病用医薬品	希少疾病用医療用具
平成 5年	40	2
平成 6年	28	0
平成 7年	11	2
平成 8年	24	1
平成 9年	4	0
平成10年	6	0
平成11年	20	2
平成12年	11	1
平成13年	5	2
平成14年	8	0
平成15年	9	0
平成16年	10	0
合 計	176	10

* 今回指定品目を加えた品目数

平成16年12月9日現在