

照 会 先  
(希少疾病用医療機器)  
医薬食品局審査管理課  
医療機器審査管理室  
担当 高江、高畑  
(内線 2787, 2788)

### 希少疾病用医療機器の厚生労働大臣指定について

希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器（以下「希少疾病用医療機器等」という。）の指定については、薬事・食品衛生審議会に対して諮問を行い、その答申を受け指定を行っているところです。今般、諮問を行っていた希少疾病用医療機器申請品目について答申が行われますので、これを受けて所定の手続きを経た上で指定を行う予定です。

#### 1 指定を行う希少疾病用医療機器の概要

- (1) 今回指定を行うものは、下記の1品目です。
- (2) 今般、当該品目を指定することにより、希少疾病用医療機器の指定件数は11品目となります。（ただし、希少疾病用医療機器等の指定が、直ちに医療機器等としての製造販売承認に結びつくものではありません。）

### 記

#### 希少疾病用医療機器指定予定品目

	医療機器の名称	予定される使用目的、効能又は効果	申請者の名称
1	血球細胞除去用浄化器 (吸着型血液浄化器)	難治性網膜ぶどう膜炎を有するベーチェット病患者の眼発作抑制	株式会社日本抗体研究所

以上

希少疾病用医療機器概要

名称	血球細胞除去用浄化器（吸着型血液浄化器）
予定される使用目的、効能又は効果	難治性網膜ぶどう膜炎を有するベーチェット病患者の眼発作抑制
申請者名	株式会社日本抗体研究所
対象疾患について	<p>ベーチェット病は、口腔粘膜のアフタ性潰瘍、眼症状、外陰部潰瘍、皮膚症状の4つの症状を主症状とし、神経、血管、腸管などに多彩な急性炎症を反復する、慢性再発性の難治性疾患である。本疾患の原因は不明であるものの、病態には好中球の機能異常が関与しており、また眼症状の活動期とTNF-<math>\alpha</math>産生の亢進には相関性があると報告されている。多彩な症状のうち、本疾患の7割の患者に認められる眼症状は、繰り返し起こる網膜ぶどう膜炎による眼発作によって、不可逆的な障害をもたらす失明ないしは失明に近い視力にいたる。本疾患は、1972年から厚生労働省の特定疾患に認定されている。平成15年度の特定疾患医療費助成金等の受給登録者数は16,632人であった。本品は、このうち特に既存療法をもってしても眼発作を抑制しえない患者を対象とし、その数は838人～943人と想定される。</p>
対象疾患に対する本品の使用目的、効能又は効果等について	<p>ベーチェット病の治療法としては、コルヒチン、ステロイド、シクロスポリンなどが用いられている。特に眼症状に対しては、これらの薬物治療が主となり反復する眼発作の再発抑制を目的としている。しかし、既存治療によっても視力予後不良症例が少なからずあり、また薬物治療による副作用の管理も問題となっている。</p> <p>難治性網膜ぶどう膜炎を有するベーチェット病患者に対する、本品の使用目的、効能・効果を想定する根拠は以下のとおりである。</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 本品は、潰瘍性大腸炎の治療機器として平成11年10月に承認されており、高い安全性が確認されている。</li> <li>2. 本品は、末梢血を体外循環することで顆粒球を吸着・除去する。更に、顆粒球の活性酸素産生能の低下や接着分子であるL-selectin発現量の低下、TNF-<math>\alpha</math>等の炎症性サイトカイン産生能を抑えるなどの機能的変化をもたらすことが明らかにされている。</li> <li>3. 難治性網膜ぶどう膜炎を有するベーチェット病患者に対する治療として、本品の有用性が以下のように報告されている。 <ol style="list-style-type: none"> <li>1) 北海道大学、九州大学からの報告：14例中9例の患者で有効性が認められ、眼発作回数も有意に低下した。</li> <li>2) スペインからの報告：患者5例に対し、視力の改善とともに、ステロイド投与量が、治療後は減量できた。薬剤の減量に伴い、症状の悪化もしくは眼発作のリバウンドは起こらなかったと報告されている。</li> </ol> <p>いずれの報告においても、本品による重篤な副作用は報告されていない。これらのことから、本品が難治性網膜ぶどう膜炎を有するベーチェット病に対する治療法として、副作用の少ない、安全性の高い医療機器になりうると考えられる。</p> </li> </ol>

(参考)

## 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器の指定制度

### 1 制度の主旨

難病、エイズ等を対象とする医薬品や医療機器は、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又は希少疾病用医療機器（以下「希少疾病用医薬品等」という。）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]

次のいずれの要件にも該当するものであること。

#### ① 対象者数

当該医薬品等の用途に係る対象者の数が、本邦において5万人未満であること。

#### ② 医療上の必要性

当該医薬品等の製造販売の承認が与えられたならば、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こと。「特に優れた使用価値を有する」とは、いわゆる難病など重篤な疾病を対象とするとともに、次のいずれかに該当するなど、特にその医療上の必要性の高いことをいうものであること。

(ア) 代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと。

(イ) 既存の医薬品等と比較して、著しく高い有効性又は安全が期待されること。

#### ③ 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理論的根拠があるととともに、その開発に係る計画が妥当であると認められること。

#### (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、独立行政法人医薬基盤研究所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

独立行政法人医薬基盤研究所は、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（医療機器については最長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	希少疾病用医療機器
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	9	0
平成17年	4	0
合 計	179	10

平成17年8月30日現在

## 副作用・感染等被害判定部会の 2 部会設置について（案）

平成 17 年 9 月 15 日  
厚生労働省医薬食品局

### 1. 2 部会設置について

副作用被害救済給付請求件数は、平成 13 年度の 483 件から平成 14 年度の 629 件と急激に増加、その後も順調に増加し、平成 16 年度には約 800 件に達している。これに対し、部会の審議時間の延長や開催回数の増加などで対応してきたが、平成 16 年度の給付決定件数は 633 件にとどまっている。今後も請求件数の増加が予想される一方、1 部会での処理件数は限界に達していることから、副作用・感染等被害判定部会を 2 部会制とし、判定業務の処理件数増を図ることとしたい。

### 2. 部会設置の根拠規定（改正後）

- ・独立行政法人医薬品医療機器総合機構法第 17 条第 2 項及び第 20 条第 2 項
- ・薬事・食品衛生審議会令第 7 条第 1 項
- ・薬事分科会規定第 2 条第 2 項及び第 3 項

### 3. 部会の所掌

副作用・感染等被害判定第一部会は、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法（平成 14 年法律第 192 号）第 17 条第 2 項の規定に基づき、救済給付の支給に関して医学的薬学的判定を要する事項を調査審議する（副作用・感染等被害判定第二部会に属する事項を除く。）。

副作用・感染等被害判定第二部会は、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法第 17 条第 2 項及び第 20 条第 2 項の規定に基づき、救済給付（副作用救済給付にあつては、その請求のあった者の疾病に係る医療が、主として次の各号に掲げる診療科において行われるものに限る。）の支給に関して医学的薬学的判定を要する事項を調査審議する。

- 一 内科（肝臓に係るものに限る）
- 二 呼吸器科
- 三 整形外科
- 四 血液内科
- 五 耳鼻咽喉科
- 六 消化器科
- 七 循環器科

## 八 麻酔科

### 4. 設置時期

平成 17 年 10 月

### 5. 委員

委員については、主として現行の副作用・感染等被害判定部会及び副作用被害判定調査会委員より選出するが、その他の委員は、新規に委嘱する。

### 6. 調査会について

2 部会の設置とともに、申請内容に関する調査を独立行政法人医薬品医療機器総合機構において専門家を交えた詳細なものとするとし、今までその役割を担ってきた副作用被害判定調査会は、平成 17 年 9 月末をもって終了することとする。ただし、生物由来製品感染等被害救済については、制度開始間もないことから、医学的薬学的判定を実施するにあたり、厚生労働省と連携を図り調査・審議を行う必要があるため、ひきつづき生物由来製品感染等被害判定調査会での調査・検討を行う。