

(3) 創薬等の治療方法の開発・実用化 に向けた取組について

難病法基本方針上の医薬品等の研究開発推進の位置付け

○ 難病患者に対する医療のための医薬品等の研究開発の推進については、難病法基本方針において、国は、難病の病因・病態の解明、難病患者の早期診断、効果的治療が行えるよう研究開発を推進すること、患者数が少ないために開発が進みにくい医薬品等の研究開発を積極的に支援することとされている。

○難病の患者に対する医療等の総合的な推進を図るための基本的な方針(平成二十七年厚生労働省告示第三百七十五号)

第六 難病の患者に対する医療のための医薬品、医療機器及び再生医療等製品に関する研究開発の推進に関する事項

(1) 基本的な考え方について

難病の治療方法が確立され、根治すること、すなわち難病の克服が難病の患者の願いであることを踏まえ、**難病の病因や病態を解明し、難病の患者を早期に正しく診断し、効果的な治療が行えるよう研究開発を推進する。**特に、**患者数が少ないために開発が進みにくい医薬品、医療機器及び再生医療等製品の研究開発を積極的に支援する。**

(2) 今後の取組の方向性について

ア 国は、難病の病因や病態の解明、医薬品、医療機器及び再生医療等製品の開発を推進するための実用的な研究事業を実施し、第五の(2)のイに規定する政策的な研究事業との連携を推進する。

イ 国は、希少疾病用の医薬品、医療機器及び再生医療等製品の研究開発を促進するための取組を推進する。また、医療上の必要性が高い未承認又は適応外の医薬品、医療機器及び再生医療等製品に係る要望について、引き続き、適切な検討及び開発要請等を実施する。

ウ 研究者及び製薬企業等は、指定難病患者データベースに集められた指定難病患者データ等を活用しつつ、医薬品、医療機器及び再生医療等製品に関する研究開発、副作用等の安全性情報収集に積極的に取り組む。

医療ニーズの高い医薬品の早期導入に関する検討

- 欧米等では使用が認められているが国内では未承認の医薬品等について、開発要望を募集し、早期導入の要望を踏まえ、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において、医療上の必要性を評価し、必要な助言を行うこと等により、開発企業の支援を実施している。

○未承認薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認されていること。

○適応外薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む）されていること。

○未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれの国でも未承認薬であるが、一定の要件を満たしていること。

次の（1）及び（2）の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

（1）適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合

- ア 生命の重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

（2）医療上の有用性が次のいずれかの場合

<未承認薬、適応外薬>

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ 欧米等において標準的療法に位置付けられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

<未承認薬迅速実用化スキーム対象品目>

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 国内外の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている

【学会、患者団体等】
未承認薬・適応外薬に係る要望

- 重複をまとめると
- ・ 第Ⅰ回要望は374件
 - ・ 第Ⅱ回要望は290件
 - ・ 第Ⅲ回要望は168件
 - ・ 第Ⅳ回要望は76件

【関連学会、製薬企業】
要望に係る見解の提出

医療上の必要性を評価

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

WG（分野ごと設置）

2019年1月末まで

企業に開発要望
第Ⅰ回要望は165件
第Ⅱ回要望は88件
第Ⅲ回要望は51件
第Ⅳ回要望は15件

開発企業を募集
第Ⅰ回要望は20件
第Ⅱ回要望は15件
第Ⅲ回要望は5件
第Ⅳ回要望は6件

【製薬企業】

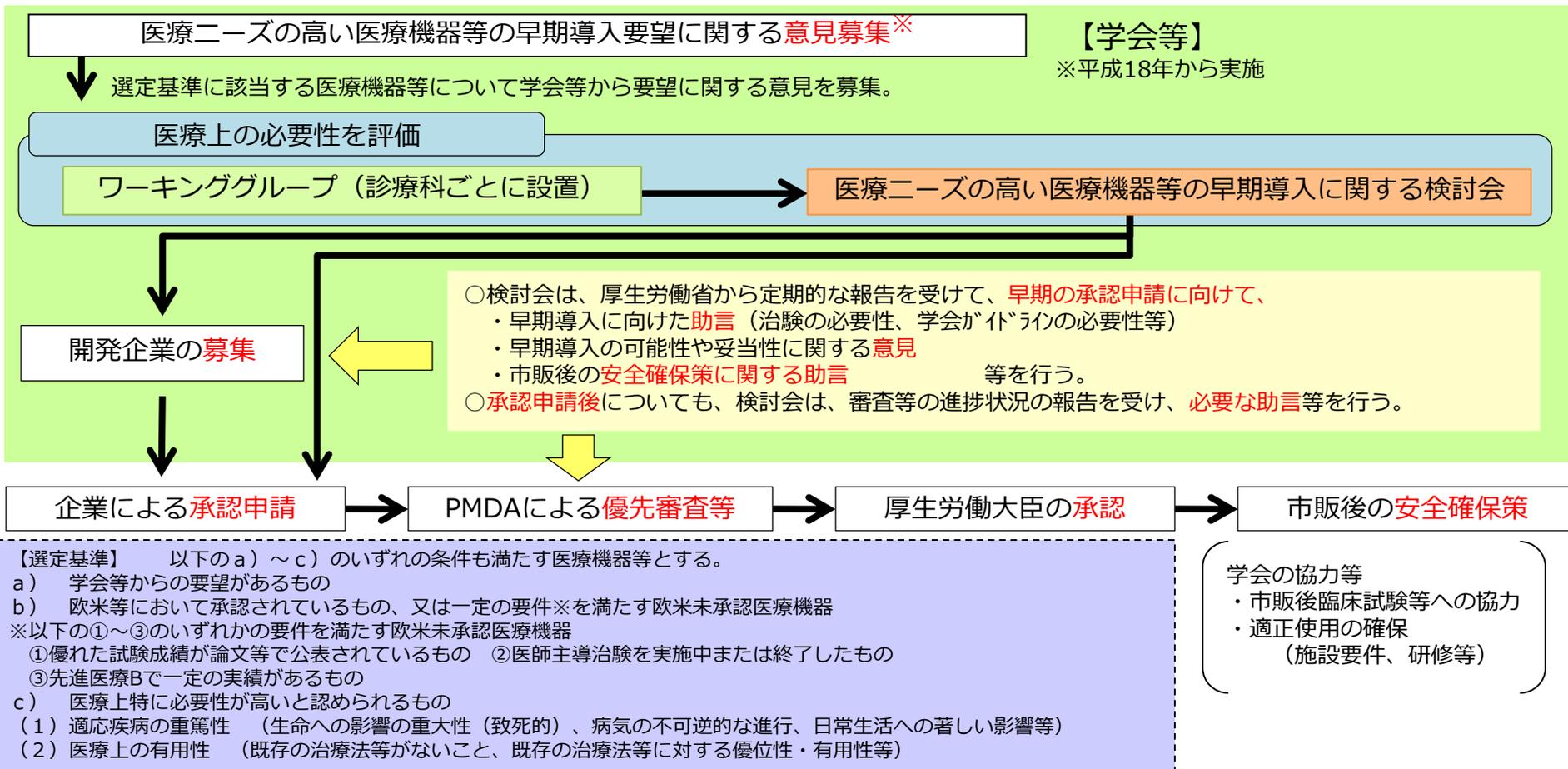
承認申請に向けた開発の実施

【開発支援】

- ・ 希少疾病用医薬品指定等により開発支援
- ・ 公知申請への該当性の妥当性を確認
- ・ 承認申請のために実施が必要な試験の妥当性を確認

医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討

- 欧米等では使用が認められているが国内では未承認の医療機器等について、早期導入の要望を踏まえ、「医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会」において、医療上の必要性を評価し、医療ニーズの高い医療機器として選定し、必要な助言を行うことにより、開発企業の支援を実施している。



希少疾病用医薬品・医療機器への開発支援

- 希少疾病用医薬品・医療機器への開発支援として、希少疾病用医薬品等を指定し、優先的な治験相談及び優先審査、試験研究費への助成金交付、税制措置上の優遇などの優遇措置を行っている。

※ ①対象患者数が5万人に達しないこと又はその用途が指定難病であること、②医療上の必要性が高いこと、③開発の可能性が高いこと、の3つの要件を満たす医薬品等

希少疾病用医薬品等の指定要件

対象患者

- 国内の対象患者数が5万人に達しない疾患※

※ 平成27年4月1日から、用途が「指定難病」の場合、5万人以上の疾患であっても本要件を満たすものとする

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

＜医薬品医療機器総合機構
(令和元年度目標)＞

総審査期間

➔ 新医薬品：優先品目9カ月（通常品目12カ月）※
新医療機器（優先品目）は10カ月（通常品目は14カ月）※

申請手数料の減額

※※

試験研究費への助成金交付

＜医薬基盤・健康・栄養研究所＞

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・健康・栄養研究所による認定＞

助成金を除く希少疾病用医薬品等の試験研究費総額の20%が税控除の対象。

研究開発に関する指導・助言

＜医薬基盤・健康・栄養研究所＞

※ 目標値は、優先品目、通常品目共に80%マイル値

※※ 医療用医薬品の場合のみ

希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器、 希少疾病用再生医療等製品の指定状況

○ 平成27年度以降、60品目の希少疾病用医薬品等の指定を行っている。

年度	希少疾病用医薬品 (品目数)				希少疾病用医療機器 (品目数)				希少疾病用再生医療等製品 (品目数)			
	指定	承認済	開発中	取消	指定	承認済	開発中	取消	指定	承認済	開発中	取消
27	22	14	8	0	0	0	0	0	0	0	0	0
28	20	13	6	1	1	0	1	0	1	0	1	0
29	12	1	11	0	1	0	1	0	1	0	1	0
30	2	0	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0

(平成30年8月31日現在)

指定：医薬品医療機器等法第77条の2の規定に基づき希少疾病用医薬品等として指定された品目数

承認：当該年度に指定された品目のうち、医薬品医療機器等法第14条等の規定に基づき製造販売承認された品目数

取消：当該年度に指定された品目のうち、医薬品医療機器等法第77条の6の規定に基づき希少疾病用医薬品等の指定が取り消された品目数