



独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

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に係る優先的な 対面助言、優先審査及び手数料の減免と RS戦略相談／総合相談について

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
オファーン医薬品ワーキンググループ

希少疾病用医薬品・医療機器・再生医療等製品の 開発を促進するための支援措置（PMDA関係）

①優先審査

②医薬品承認申請手数料の減額

（注：希少疾病用医薬品のみ）

③指導・助言

支援措置①：優先審査

できるだけ早く医療の現場に提供できるように、通常、他の医薬品・医療機器に優先して承認審査がなされる。

✓ 審査順位の優先

✓ 総審査期間（令和5年度目標値）：

新医薬品　：80%マイル値で9ヵ月

（通常品目：80%マイル値で12ヵ月）

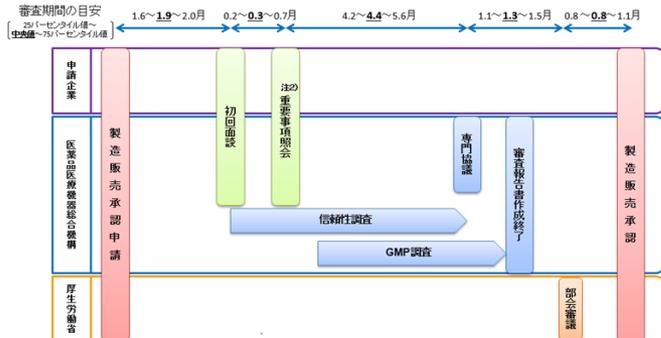
新医療機器：80%マイル値で10ヵ月

（通常品目：80%マイル値で14ヵ月）

優先審査等について

新医薬品に係る承認審査の標準的プロセスにおけるタイムライン(優先品目)

以下のタイムラインは、審査の経過上、特段の問題がなかった場合の標準的なプロセスについて、平成26年度以降に申請された新医薬品について申請受付から承認までの総審査期間の目標である9ヶ月(優先品目)を達成するよう努力するため、審査の実績を踏まえて、各審査イベント毎の審査期間の目安^{注1)}を示したものである。



注1) 審査期間の目安の設定にあたっては、平成25年度における新医薬品の承認審査における実績を用いた。なお、算出に用いた申請から承認までの各イベント毎の件数は、初回面談12件、重要事項照会12件、専門協議34件、部会審議30件、製造販売承認31件である。
注2) 重要事項照会：初回面談後に行われる最初の照会

<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/about-reviews/p-drugs/0014.html>

優先審査の対象品目

- (1) 希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器又は希少疾病用再生医療等製品
- (2) 先駆け審査指定医薬品、先駆け審査指定医療機器又は先駆け審査指定再生医療等製品
- (3) 先駆的医薬品、先駆的医療機器又は先駆的再生医療等製品
- (4) 特定用途医薬品、特定用途医療機器又は特定用途再生医療等製品
- (5) 次のいずれの要件にも該当する新医薬品、新医療機器又は新再生医療等製品

ア適用疾病が重篤であると認められること。
イ既存の医薬品、医療機器若しくは再生医療等製品又は治療方法と比較して、有効性又は安全性が医療上明らかに優れていると認められる

改正薬機法等の施行に伴い、令和2年8月31日付で、以下の関連通知が発出されておりますので、適宜ご参照ください。

優先審査等の取扱いについて	薬生薬審発0831第1号 薬生機審発0831第1号
希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて	薬生薬審発0831第7号 薬生機審発0831第7号
先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて	薬生薬審発0831第6号
先駆的医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定等に関する取扱いについて	薬生機審発0831第6号
特定用途医薬品の指定に関する取扱いについて	薬生薬審発0831第5号
特定用途医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定に関する取扱いについて	薬生機審発0831第5号
医薬品の条件付き承認の取扱いについて	薬生薬審発0831第2号
医療機器及び体外診断用医薬品の条件付き承認の取扱いについて	薬生機審発0831第2号
条件付き承認された医薬品における承認後の品質、有効性及び安全性に関する調査に際し添付すべき資料について	薬生薬審発0831第3号

支援措置②：医薬品承認申請手数料の減額

希少疾病用医薬品に指定された場合、承認申請手数料（審査+適合性調査）が減額される。

＜新規承認の場合の例＞

手数料区分		
新薬その1*（オーファン以外）	先の申請品目	46,901,700円
	規格違い品目	6,375,200円
新薬その1*（オーファン）	先の申請品目	35,810,400円
	規格違い品目	4,458,900円
新薬その2**（オーファン以外）	先の申請品目	21,329,800円
	規格違い品目	2,776,700円
新薬その2**（オーファン）	先の申請品目	16,302,000円
	規格違い品目	2,032,100円

*：新有効成分含有医薬品、新投与経路医薬品、新医療用配合剤及びバイオ後続品が該当する。

**：新効能医薬品、新剤形医薬品、新用量医薬品及び類似処方配合医薬品が該当する。

支援措置③：指導・助言

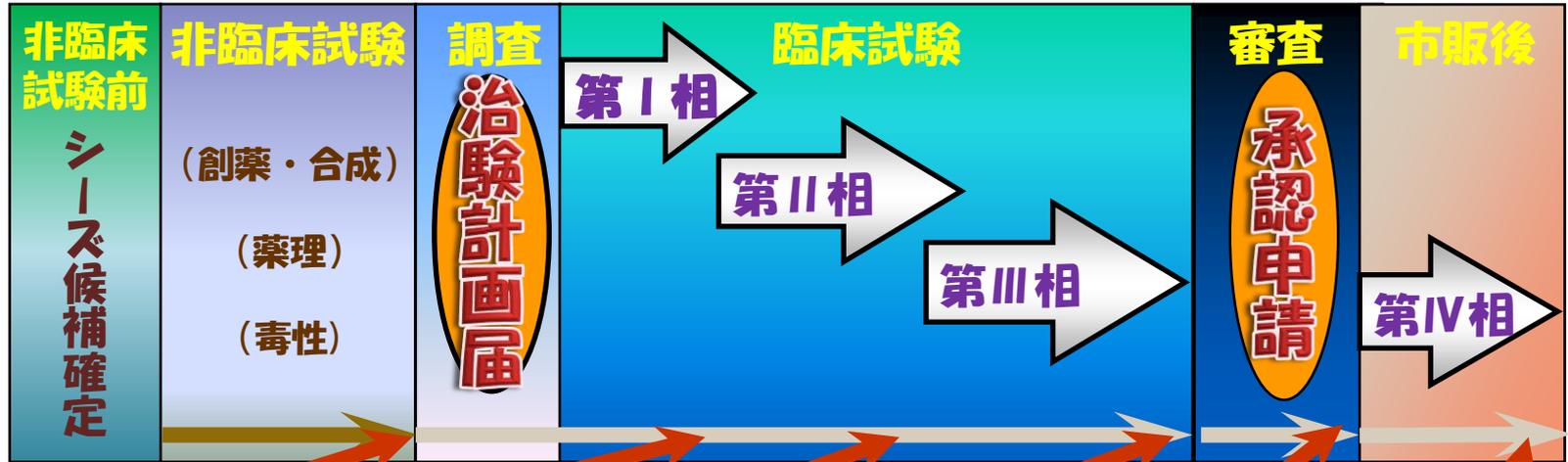
✓希少疾病用医薬品に指定された品目に係る治験相談は、優先的な適用を受けることができる。

→随時、治験相談に申し込むことができる。

※通常品目の場合

1. 毎月月初のみの申し込みとなる。
2. 希望日時、持ち点（相談区分、申請区分等による点数）を参考に実施予定日時が調整される。

PMDAが行う対面助言（各種相談）



主に製薬企業向け

治験相談（医薬品）

第I相試験
開始前相談

第II相試験
開始前相談

第II相試験
終了後相談

申請前相談

製造販売後
臨床試験等計画相談

製造販売後
臨床試験等終了時相談

追加相談
品質相談、安全性相談

レジストリ関連相談

手続相談

生物学的同等性試験等相談

信頼性基準適合性相談

優先審査品目該当性相談

条件付き早期承認品目該当性相談

ベンチャー向け
主にアカデミア・

RS戦略相談

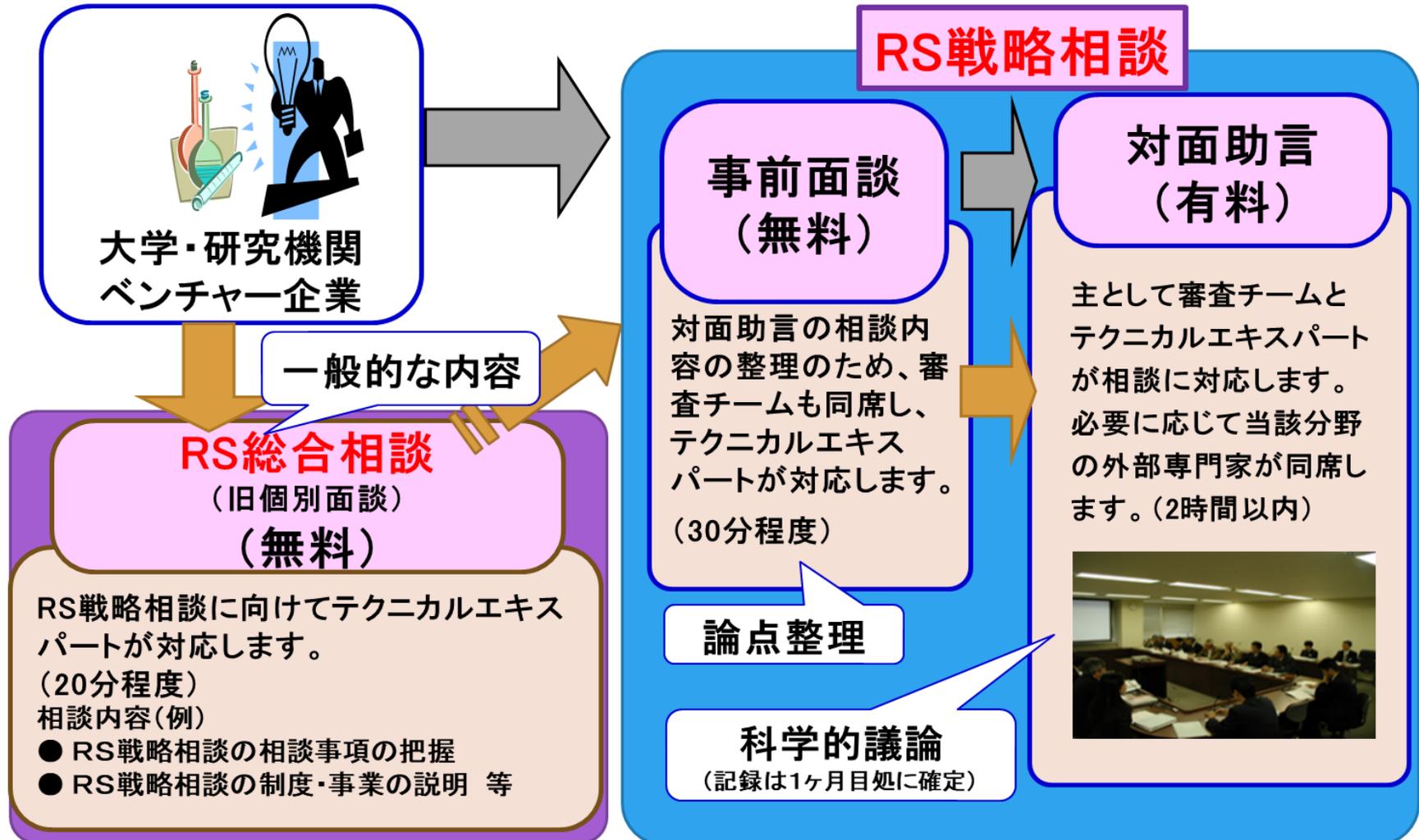
医薬品/医療機器/再生医療等製品戦略相談 要件※に該当

再生医療等製品等の品質
及び安全性に係る相談

開発計画等
戦略相談

※検証的試験に関して相談する場合の要件：
未承認薬適応外薬検討会議等の検討又は選定品目であって、
治験費用を公的研究資金で賄うもの（詳しくは実施要綱を確認してください）。
<https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/strategies/0005.html>

RS戦略相談の概略



対面助言の相談手数料

✓ 希少疾病用医薬品に指定された場合、対面助言の相談手数料が減額

相談区分	手数料 (オーファン以外)	手数料 (オーファン)
医薬品第Ⅰ相試験開始前相談	4,578,500円	3,441,000円
医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談	1,752,800円	1,320,200円
医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談	4,784,300円	3,592,900円
医薬品第Ⅱ相試験終了後相談	9,497,400円	7,134,300円
医薬品申請前相談	9,497,400円	7,130,100円
医薬品追加相談	2,889,700円	2,171,200円

審査関連業務＞審査等手数料・対面助言等の手数料について 1. 審査等手数料・対面助言等の手数料について (2)
<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/user-fees/0001.html>

RS戦略相談の相談手数料

相談の区分	手数料 (1相談当たり※1)	別に定める要件を満たす大学・研究機関、ベンチャー企業に該当する場合の手数料 (1相談当たり※1)
医薬品戦略相談	1,541,600円	154,100円
医療機器戦略相談※2	874,000円	87,400円
再生医療等製品戦略相談	874,000円	87,400円
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る相談※3	1,541,600円	154,100円
再生医療等製品等の品質及び安全性に係る追加相談※4	496,800円	-
開発計画等戦略相談	73,600円	-

※1：対面助言の1相談当たりの相談時間は2時間程度。ただし、開発計画等戦略相談は30分程度。

※2：体外診断用医薬品は、医療機器戦略相談の手数料を適用。

※3：1申込みで複数回の対面助言が可能。

ただし、別に定める要件を満たすベンチャー企業に該当しない企業は、1相談分の手数料で受けられる対面助言回数は3回まで、4回目以降は再生医療等製品等の品質及び安全性に係る追加相談(※4)となる。

審査関連業務＞審査等手数料・対面助言等の手数料について 1. 審査等手数料・対面助言等の手数料について(2)

<https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/user-fees/0001.html>

RS戦略相談：対面助言の実施状況

対面助言	開始※1～ 平成26年度	平成 27年度	平成 28年度	平成 29年度	平成 30年度	令和 元年度	令和 2年度	令和 3年度	令和 4年度	合計
医薬品戦略相談	162	58	40	61	49	44	49	59	41	563
医療機器戦略相談	65	16	20	24	26	25	17	24	15	232
再生医療等製品戦略 相談※2	2	11	14	13	5	11	13	16	7	92
再生医療等製品等の 品質及び安全性に係る 相談※3	49 [96]	29 [55]	26 [64]	29 [71]	25 [54]	29 [53]	25 [55]	25 [46]	20 [39]	257 [533]
開発計画等戦略相談 ※4	1	0	0	0	0	0	0	0	0	1
合計	279 [326]	114 [140]	100 [138]	127 [169]	105 [134]	109 [133]	104 [134]	124 [145]	83 [102]	1145 [1421]

※1：薬事戦略相談事業は、H23.7.1から実施。

※2：H26.11.25から実施。（それまでは医薬品戦略相談又は医療機器戦略相談として実施。）

※3：H26.11.24まで医薬品戦略相談として受付けたものを含む。また、[]内の数値は、再生医療等製品等に係る治験計画の届出を行う前に、当該製品の品質及び安全性に係る十分な確認を行うために必要な範囲で、複数日に渡って相談を行ったものを、個別に計上した場合の延べ件数。

※4：H26.11.25から実施。（H29.3.31までは、薬事開発計画等戦略相談として実施。）

相談受付業務の運用変更について

- 新型コロナウイルス感染症の感染症法の位置づけが5類感染症に変更されたことを受けて、**面談の実施形式は、面会形式、Web会議形式、又はその両方を組み合わせて実施**することとしました。希望する実施方法を相談の日程調整依頼申込みの際に記載してください。
- 実施方法は、会議室や機材等を踏まえて相談担当部において決定します。
- 相談の申込み手続きについて（一部抜粋）

手続き	運用
相談の申込み （※提出先が「審査マネジメント課」とされているもの）	申込書の提出は原則電子メールでの提出となりました。電子メールの件名は「申込書_受付番号〇〇（申込者名）」とし、以下のアドレスにテキスト認識可能な電子ファイルで提出してください。 <医薬品／医薬部外品／再生医療等製品> shinyaku-uketsuke_●_pmda.go.jp <医療機器／体外診断用医薬品> kikitaishin-uketsuke_●_pmda.go.jp （送信の際は_●_を半角のアットマークに置き換えてください）
各種対面助言（有料の相談）資料の提出（※提出先が「審査マネジメント課」とされているもの）	電子媒体（CD又はDVD）の郵送又は持参、あるいは申請電子データシステム（ゲートウェイシステム）を利用して提出してください。 審査マネジメント課では電子メールでの相談資料受付は行っていません。

PMDAのHPにて、相談受付業務の運用変更についてのお知らせを掲載しています（随時更新）。

詳細はこちらをご参照ください → <https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/0001.html>

ご不明な点等ございましたら、審査マネジメント課に、電話（03-3506-9556）又はメールにて、お尋ねください。
 ただし、回答にはお時間をいただくことがありますこと、ご了承ください。

承認申請・治験関連手続きのオンライン化について

申請書等のオンライン提出に係る取扱い等について（令和5年3月22日付け四課長通知）	https://www.pmda.go.jp/files/000248066.pdf
治験計画届書等の申請電子データシステムを利用したオンライン提出について（令和5年1月11日より開始）	https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0005.html
治験中の副作用及び不具合等報告の申請電子データシステムを利用したオンライン提出について（令和5年4月1日より開始） ※医薬品・医療機器・再生医療等製品の治験副作用・不具合報告、治験安全性最新報告の電子メールによる提出は令和5年9月29日で終了しました。	https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0011.html
ゲートウェイシステムを通じた医薬品及び再生医療等製品の適合性書面調査、GCP/GPSP実地調査の資料の提出方法について（令和5年7月31日更新）	https://www.pmda.go.jp/files/000246450.pdf
オンライン提出に関する最新の通知等	https://web.fdsinsei.mhlw.go.jp/notice/onlinesubmission.html

PMDAオーファン医薬品WG

活動目的

希少疾病用医薬品の開発における問題点の整理、医療技術・科学の進展に併せた医薬品等の開発に関する新たな考え方・方法の検討・提案を実施し、希少疾病用医薬品が国内外でタイムラグなく開発されることを目指す

活動内容

- ◆ オーファン医薬品の開発を取り巻く現状の把握及び新たな動向の注視
 - ✓ これまでの経験の整理・分析を行うことが重要である。
 - ✓ 開発に関する新たな考え方や手法に関する情報を収集する。
- ◆ 海外規制当局との協力関係の構築
 - ✓ 海外と日本との医薬品開発のタイムラグ解消に向け、継続的な取組みが必要。
 - ✓ 欧米規制当局は、オーファン医薬品に係る開発を一層促進するための体制の整備に取り組んでいるため、状況を注視し、必要に応じて日本も議論に参加する。
- ◆ 国内外への日本の希少疾病用医薬品指定制度及び希少疾病用医薬品の開発状況等に関する情報発信

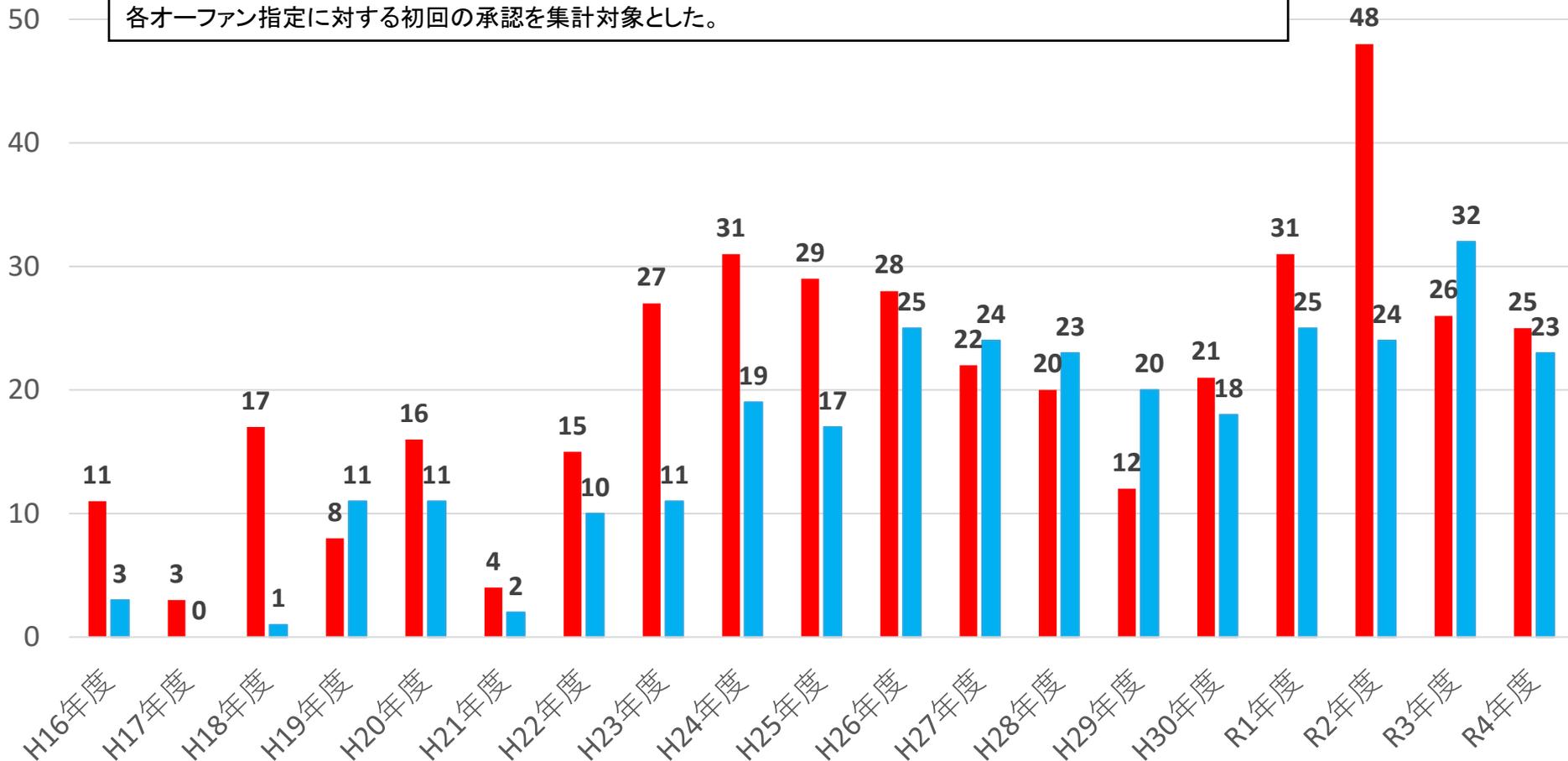
日米欧の開発支援制度

	日本	米国	欧州
制度開始	1993年	1983年	2000年
指定要件	<ul style="list-style-type: none"> 対象者数50,000人未満または指定難病であること 医療上の必要性 開発の可能性 	患者数200,000人未満または米国において開発コストの回収が困難である	<ul style="list-style-type: none"> 10,000人あたり患者数5人 重篤な疾患 医療上の必要性
助成制度	医薬基盤研究所による開発支援事業 (※AMEDも支援事業を実施)	Orphan products grants program	ECまたは他の団体による
指導、助言	あり	あり	あり
ベンチャー企業への支援	RS戦略相談	Small business assistance	micro, small and medium-sized enterprises (SMEs) incentives
税制措置	あり	あり	あり

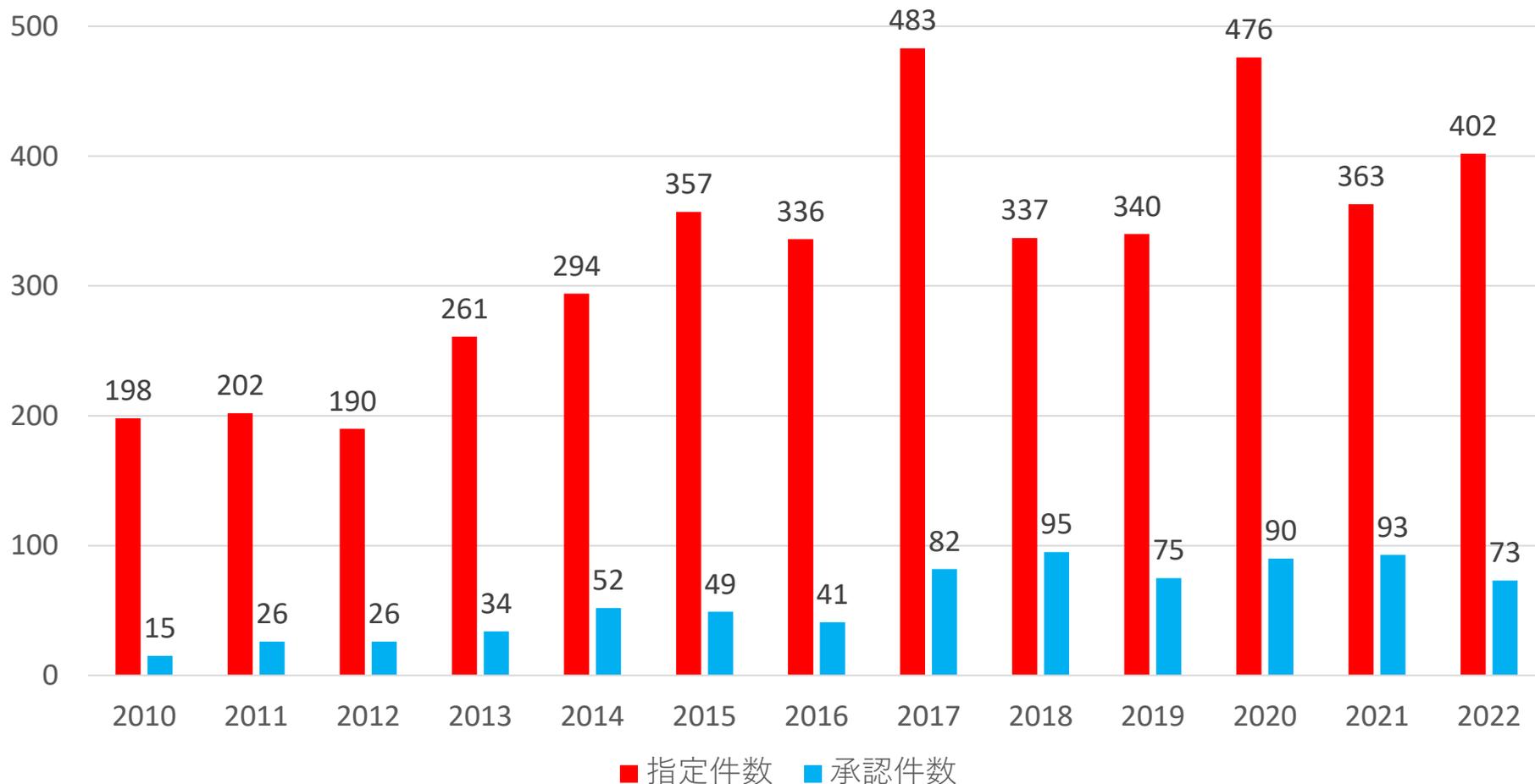
※ AMEDは本制度による支援事業とは別に希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業による助成を行っている。

希少疾病用医薬品の指定及び承認件数：日本

※平成16年度～令和4年度に指定された件数(394件)及び平成16年度～令和4年度に指定された品目のうち、平成16年度～令和4年度に承認に到達した件数(299件)について集計。なお、承認に到達した件数については、各オーファン指定に対する初回の承認を集計対象とした。

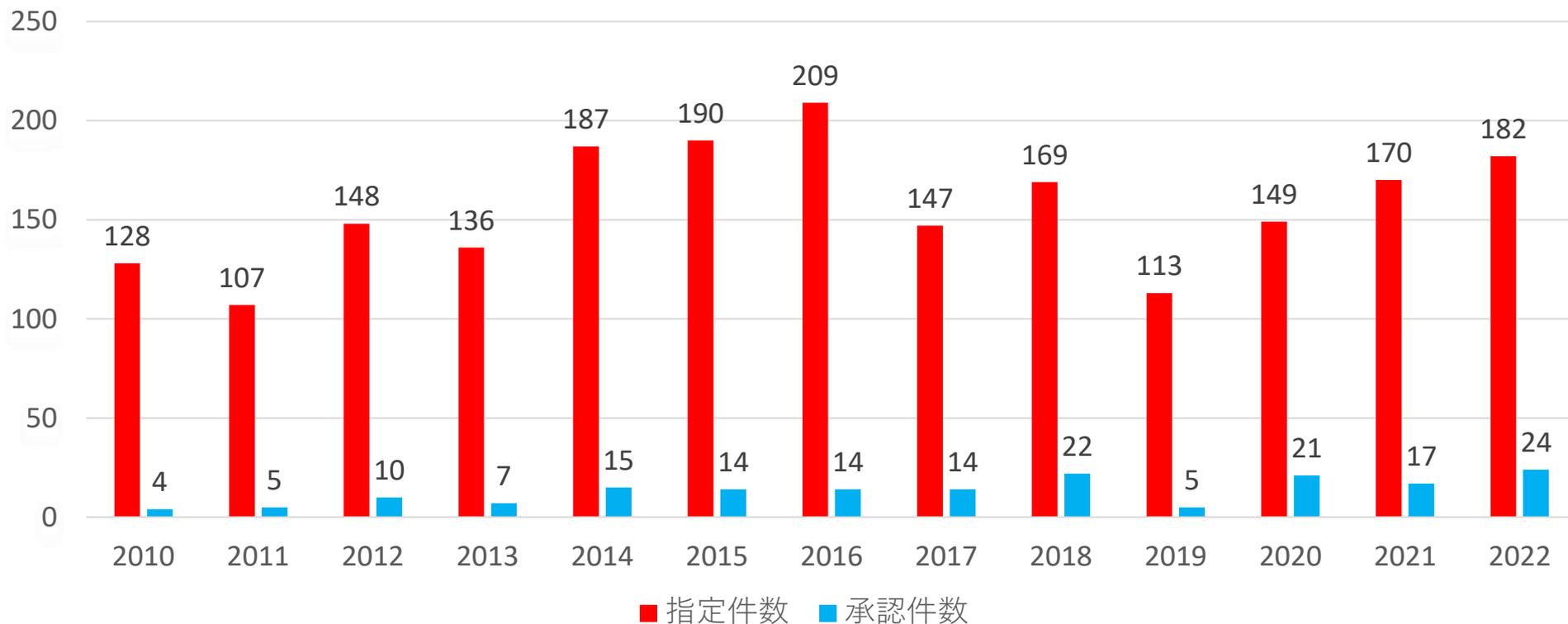


希少疾病用医薬品の指定及び承認件数：米国



※<https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/index.cfm>より集計(2023年10月現在)

希少疾病用医薬品の指定及び承認件数：欧州

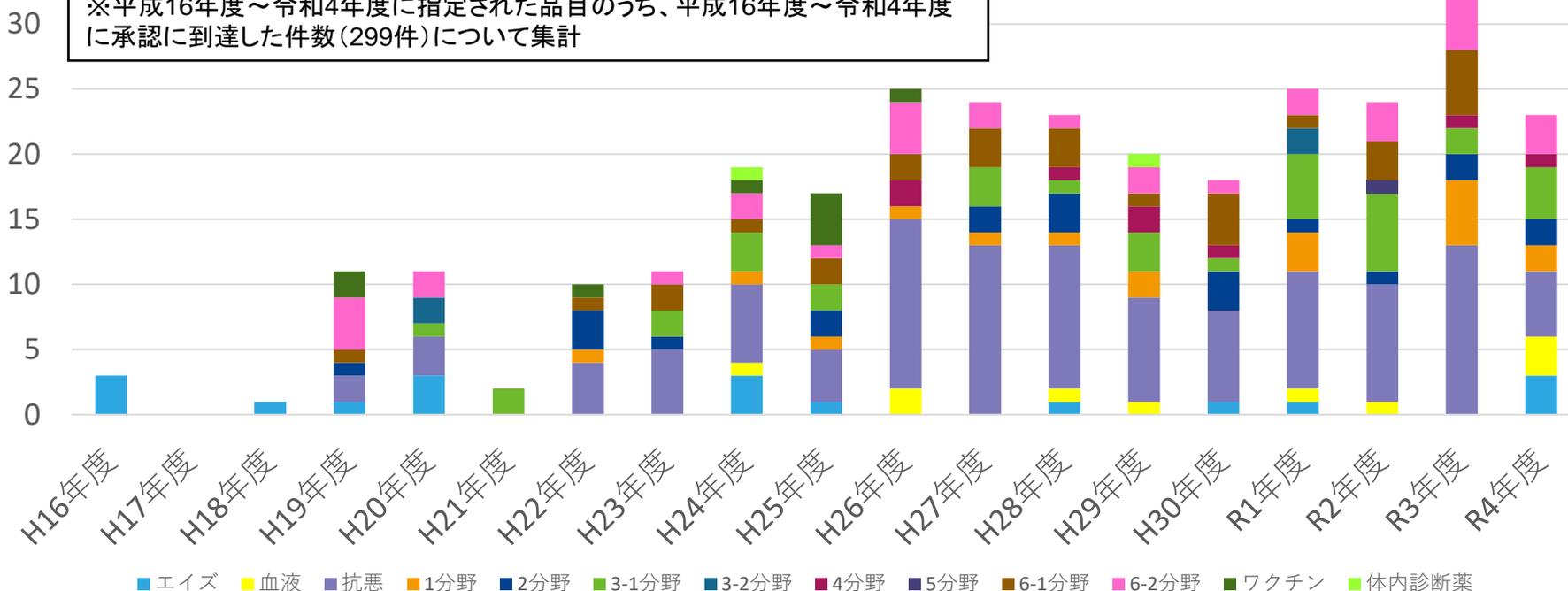


※ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>より集計(2023年10月現在)

希少疾病用医薬品の承認件数（分野別）：日本

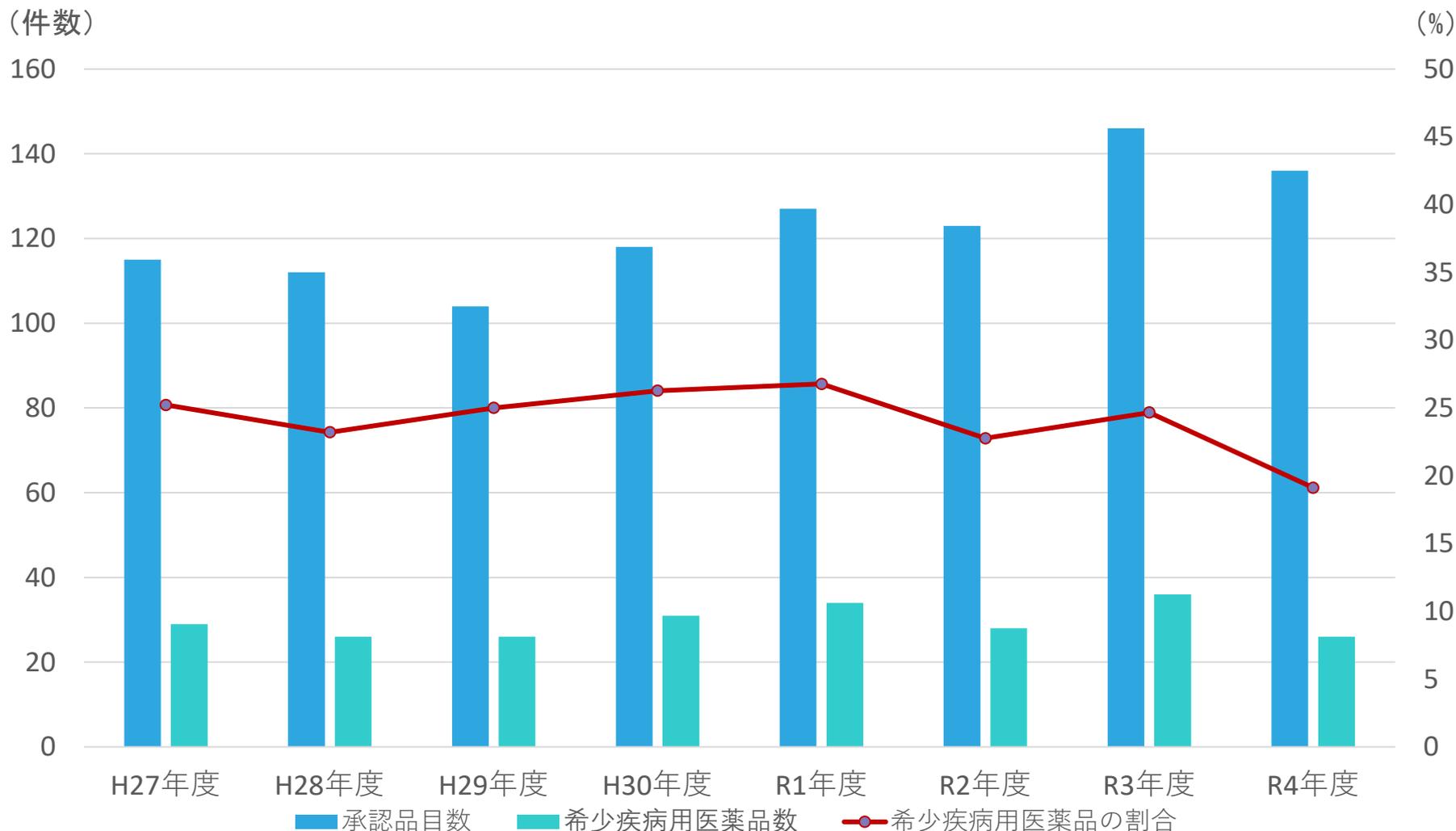
35

※平成16年度～令和4年度に指定された品目のうち、平成16年度～令和4年度に承認に到達した件数(299件)について集計



分野	分野
エイズ	HIV感染症治療薬
血液	血液製剤（血液製剤代替医薬品を含む）
抗癌	抗癌性腫瘍用薬
1分野	消化器官用薬、外皮用薬、免疫抑制剤、その他（他の分野に分類されないもの）
2分野	循環器官用薬、抗パーキンソン病剤、アルツハイマー病薬
3-1分野	中枢神経系用薬、末梢神経系用薬。ただし、麻酔用薬を除く
3-2分野	麻酔用薬、感覚器官用薬（炎症性疾患に係るものを除く）、麻薬
4分野	抗菌剤、抗ウイルス剤（エイズ医薬品分野に係るものを除く）、
6-1分野	呼吸器官用薬、アレルギー用薬（外皮用薬を除く）、感覚器官用薬（炎症性疾患に係るもの）
6-2分野	ホルモン剤、代謝性疾患用剤（糖尿病、骨粗鬆症、痛風、先天性代謝異常等）
ワクチン	ワクチン（感染症の予防に係るものに限る）、抗毒素類
体内診断薬	造影剤、機能検査用試薬（体外診断用医薬品を除く）

承認品目における希少疾病用医薬品の占める割合：日本



希少疾病用医薬品に関する最近の話題



2023年2月16日

日本ライソゾーム病患者家族会協議会と独立行政法人医薬品医療機器総合機構の
連携による医薬品情報提供について

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という）と日本ライソゾーム病
患者家族協議会（以下「協議会」という）では、新たに製造販売承認された次の医薬品に
ついて、別添により、協議会会員向けの情報提供を致します。

販売名：ガラフォルドカプセル 123mg
製造販売業者：アミカス・セラピューティクス株式会社

PMDA と協議会では連携により次の試行的実施を進めていくこととしており（参考資
料）、今回の情報提供は1. の取り組みの2例目となります。

- 今後発売される新薬の有効性及び安全性に関するわかりやすい情報の提供
- 協議会を介した治療薬使用に関連する安全性情報の収集

＜これまでの取り組み＞

No	販売名（製造販売業者）	情報提供開始年月
1	ゼンフォザイム点滴静注用 20mg (サノフィ株式会社)	2022年5月
2	ガラフォルドカプセル 123mg (アミカス・セラピューティクス株式会社)	2023年2月

日本ライソゾーム病患者家族会協議会
独立行政法人医薬品医療機器総合機構

ガラフォルドカプセル[®] 123mg

製造販売業者：アミカス・セラピューティクス株式会社

本資料について：本剤は2022年12月23日に12歳以上の小児に使用する際の用法・用量の追加が認められ
ました。その内容を主にお知らせするために作成したものです。

品目概要

- ◆ ファブリー病の治療薬です。
 - ・添付文書の効能・効果は「ミガーラスタットに反応性のあるGLA 遺伝子変異を伴うファブリー病」とされています。
 - ・本剤に反応性のあるGLA 遺伝子変異を持つ患者さんのみ投与されます。
- ◆ 1日1カプセルを、2日に1回内服します。
 - ・食事の前後2時間は、本剤は内服しないようにしてください。

安全性について

- ◆ 今回実施された小児を対象とした臨床試験では、これまでと同様、頭痛、吐き気・嘔吐（おうと）、錯感覚^{注1}などの副作用が認められています。気になる症状がありましたら、医療機関に連絡してください。



頭痛



吐き気・嘔吐



錯感覚^{注1}

注1) 軽く触れるだけでびりびりする症状

- ◆ 本剤は対象の患者さんが非常に少ないため、一定のデータ集積まで、この薬を使用した患者さん全員を対象とした調査が行われています。
- ◆ 長期間投与における安全性と腎機能障害のある患者さんにおける安全性は、まだ十分明らかになっておりませんが、上記調査において、併せて確認することになっています。

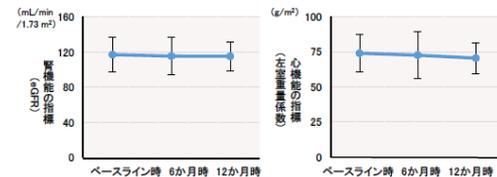


日本ライソゾーム病患者家族会協議会

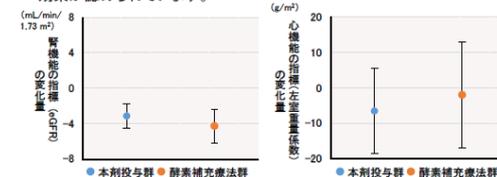
有効性について

別添

- ◆ 今回の小児の用法・用量の追加の根拠になった、12歳～18歳の患者さんを対象とした臨床試験で、腎機能^{注2}・心機能^{注2}の維持効果が認められました。注2) 腎機能の指標であるeGFR、心機能の指標である左室重量係数を用いて検討されました。



- ◆ また、これまで酵素補充療法を受けていた16歳～74歳の患者さんを対象とした臨床試験では、酵素補充療法と同程度の腎機能・心機能^{注2}の維持効果が認められています。



- ◆ 本剤と酵素補充療法を併用したときの有効性は確認されていません。

- ◆ この資料は、医薬品の有効性・安全性情報を簡潔にまとめ、医薬品の適正使用の推進や、患者さん参画型安全対策の発展・向上を目的として、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）と、日本ライソゾーム病患者家族会協議会（患者会）が連携し、共同で作成したものです。
- 医薬品の情報収集には、添付文書等も参考してください。
- PMDA 医療用医薬品添付文書等検索 <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/>
- 資料に対するご意見等は、患者会までまとめてPMDAに連絡しています。下記連絡先までお伝えください。

<連絡先> 電話/FAX: 03-5786-1551 e-mail: post@ip-ltd.com

<https://www.pmda.go.jp/safety/0002.pdf>

ご清聴ありがとうございました。

