

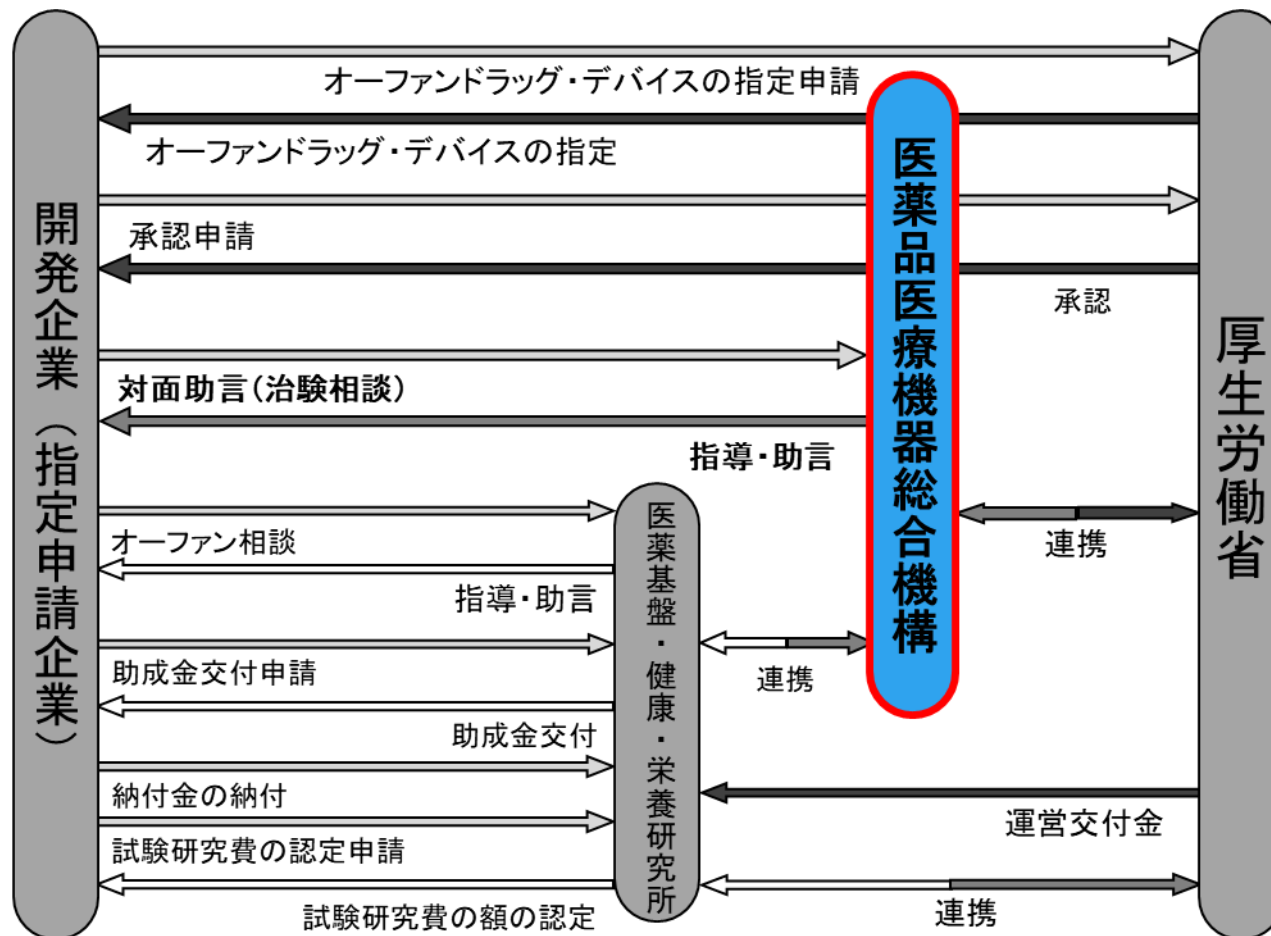


独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

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

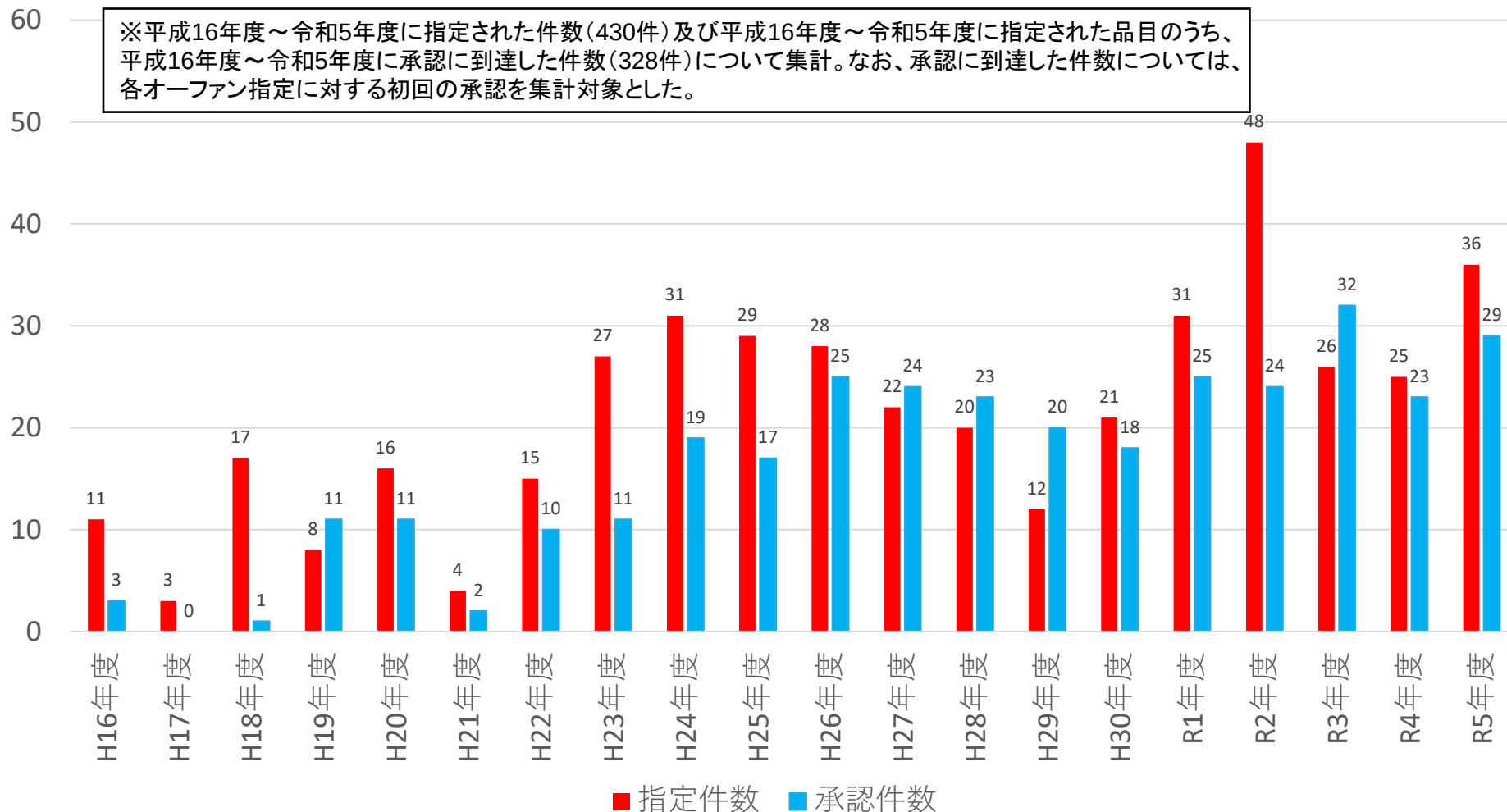
独立行政法人医薬品医療機器総合機構
オープン医薬品ワーキンググループ

希少疾病用医薬品・医療機器・再生医療等製品の 指定制度におけるPMDAの役割



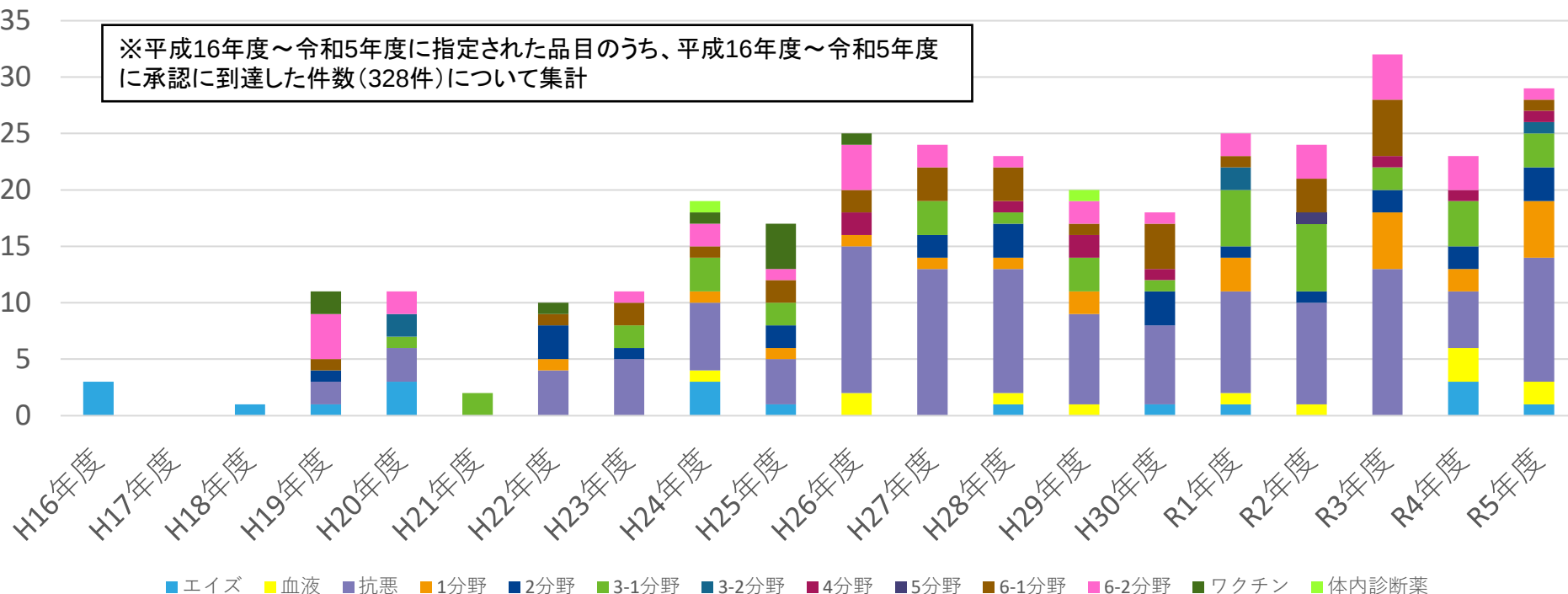
希少疾病用医薬品の指定及び承認件数：日本

※平成16年度～令和5年度に指定された件数(430件)及び平成16年度～令和5年度に指定された品目のうち、平成16年度～令和5年度に承認に到達した件数(328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。



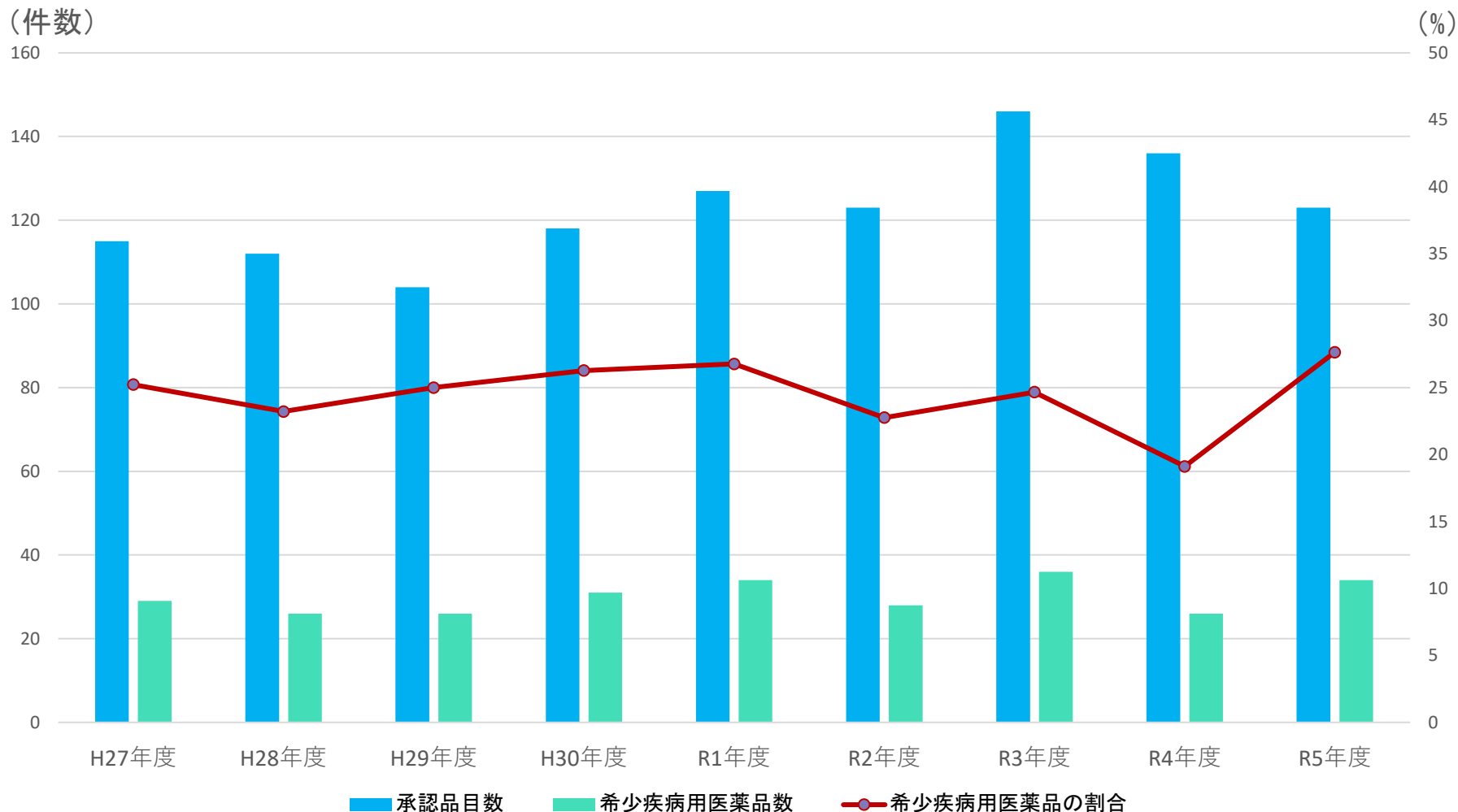
希少疾病用医薬品の承認件数（分野別）：日本

※平成16年度～令和5年度に指定された品目のうち、平成16年度～令和5年度に承認に到達した件数(328件)について集計



分野		分野	
エイズ	HIV感染症治療薬	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 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）、 抗真菌剤、抗寄生虫剤、駆虫剤
血液	血液製剤（血液製剤代替医薬品を含む）	4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）
抗癌	抗悪性腫瘍用薬	6-1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）
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）	6-2分野	ワクチン
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	体内診断薬	ワクチン（感染症の予防に係るものに限る）、抗毒素類 造影剤、機能検査用試薬（体外診断用医薬品を除く）
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		

承認品目における希少疾病用医薬品の占める割合：日本



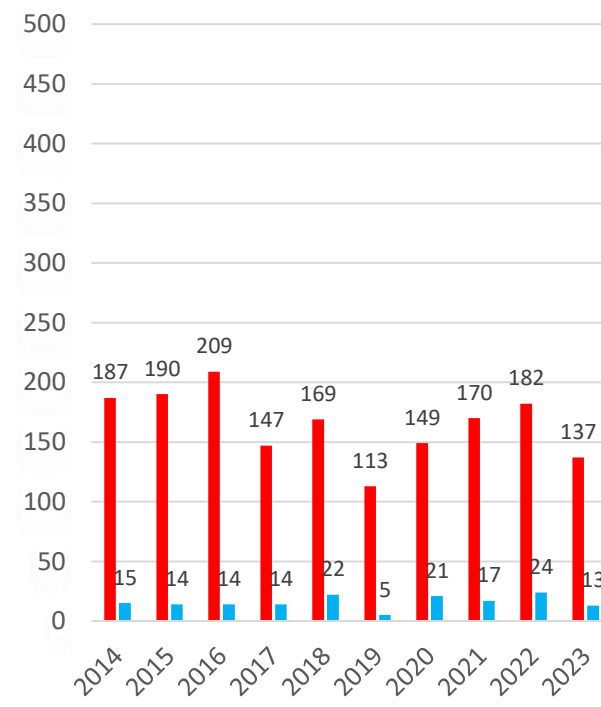
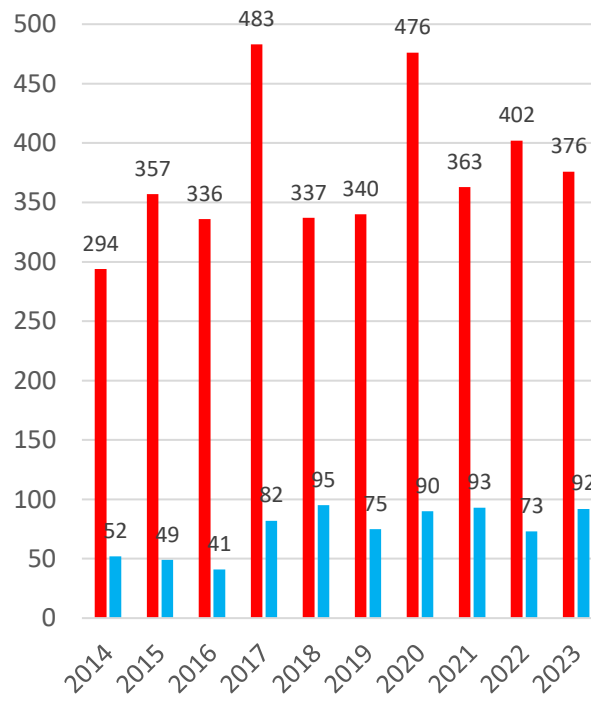
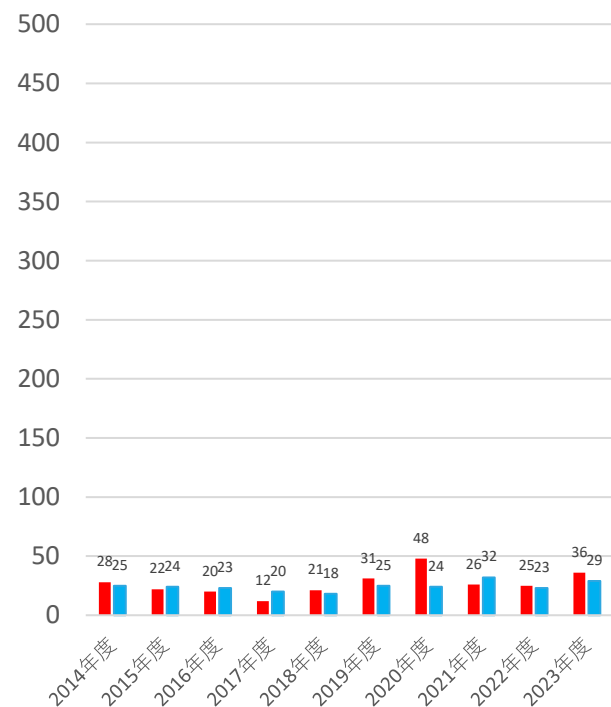
※初回承認に加え、その後の含量違い、剤形追加等を含めて集計した

希少疾病用医薬品の指定・承認件数の日米欧の比較

日本

米国

EU



■ 指定件数

■ 承認件数

※<https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/opd/index.cfm>及び

<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>より集計(2024年10月現在)

希少疾病用医薬品の指定制度の日米欧比較

	日本	米国	欧州
制度開始	1993年	1983年	2000年
指定要件	- 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	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	NIBIOHN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。

指定要件の改正

- 指定要件の明確化（「輪切り」要件の明確化、医療上の必要性の要件の明確化）
- 指定時期の早期化（非臨床段階での指定も可能に）

「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について（令和6年1月16日付け医薬薬審発0116第1号、医薬機審発0116第1号）

	改正後	改正前
対象者数	- 本邦において5万人未満 （医学薬学上の明確な理由のない「輪切り」は原則として認めない。 一方、年齢層、治療体系、治療ライン等の医学薬学上の適切な根拠に基づき、高いアンメットニーズがありつつも開発が進んでいない範囲に限定した対象疾患に対して製造販売をしようとする場合は「輪切り」に該当しない。） - 指定難病の場合は難病法に規定する人数	- 本邦において5万人未満 （医学薬学上の明確な理由のない「輪切り」は原則として認めない。） - 指定難病の場合は難病法に規定する人数
医療上の必要性	重篤な疾病、かつ以下のいずれかに該当 - 既承認薬等がない。 - 既承認薬等はあるが、当該既承認薬等のみでは十分ではなく複数の選択肢が臨床的に必要とされている。 - 既承認薬等はあるが、臨床試験の結果等に基づき当該既承認薬等と比較して高い有効性又は安全性が期待される。	重篤な疾病、かつ以下のいずれかに該当 - 代替する適切な医薬品等や治療方法がない。 - 既存の医薬品等と比較して著しく高い有効性や安全性が期待される。
開発の可能性	国内での開発を行うことのできる体制及び計画を有している。 具体的には、承認申請に至るまでに実施する予定の臨床試験の概観が明らかとなっていること。また、少なくとも初めて人に投与する臨床試験を実施するために必要な非臨床試験については概ね完了していること。	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もに、その開発に係る計画が妥当である。

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

（注：希少疾病用医薬品は優先審査に該当するとされたもののみ）

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（注：希少疾病用医薬品については優先審査に該当するとされたもののみ）

できるだけ早く医療の現場に提供できるよう、通常、他の医薬品・医療機器・再生医療等製品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6年度目標値）：

新医薬品：80%タイル値で9ヵ月

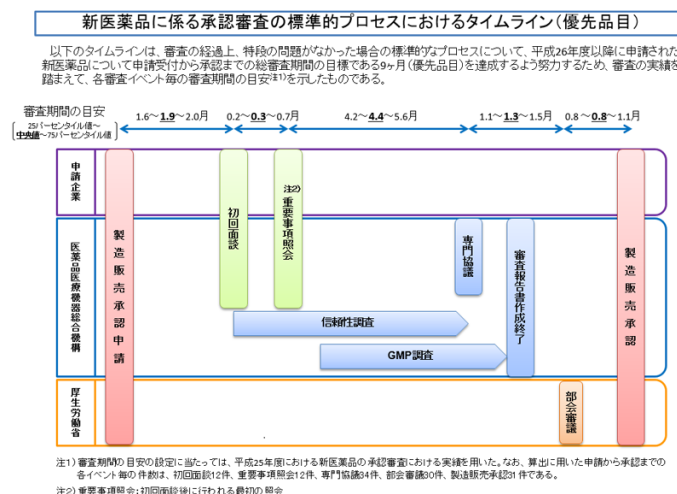
（通常品目：80%タイル値で12ヵ月）

新医療機器：80%タイル値で10ヵ月

（通常品目：80%タイル値で14ヵ月）

再生医療等製品：50%タイル値で9ヵ月

（通常品目：50%タイル値で12ヵ月）



優先審査等について

希少疾病用医薬品の指定要件の改正に伴い、優先審査の対象品目についても改正された

「優先審査等の取扱いについて」の一部改正について（令和6年1月16日付け医薬薬審発0116第2号、医薬機審発0116第2号）

改正後	改正前
(1) <u>希少疾病用医薬品のうち、優先審査に該当するとされたもの</u>、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	(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

その他、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。

- ・ 「先駆的医薬品の指定に関する取扱いについて」の一部改正について（医薬薬審発1222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」の一部改正について（医薬機審発0112第1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）

希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

開発早期に優先審査非該当として希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち、その後医療上優れた臨床結果等が得られた新医薬品について、改めて優先審査への該当性を評価するもの。

実施要綱等の詳細は以下を参照

- <https://www.pmda.go.jp/review-services/f2f-pre/consultations/0009.html>
- <https://www.pmda.go.jp/files/000268593.pdf>

(別添 4)

対面助言のうち、新医薬品の優先審査品目該当性相談及び条件付き承認品目該当性相談に関する実施要綱

1. 対面助言の区分及び内容

① 医薬品優先審査品目該当性相談

先駆け審査指定制度の対象医薬品及び先駆的医薬品に指定された品目（以下「先駆け審査指定医薬品」という。）、希少疾病用医薬品並びに特定用途医薬品を除く医薬品のうち承認申請前に優先審査を希望する新医薬品について、優先審査への該当性を評価し報告書を作成するもの。

② 医薬品優先審査品目該当性相談（医薬品申請前相談あり）

先駆け審査指定医薬品、希少疾病用医薬品及び特定用途医薬品を除く医薬品のうち承認申請前に優先審査を希望する新医薬品について、医薬品申請前相談の実施と並行して、優先審査への該当性を評価し報告書を作成するもの。

③ 希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談

優先審査には非該当のものとして開発早期に希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち優先審査を希望する新医薬品について、承認申請前に優先審査への該当性を評価し報告書を作成するもの。

④ 希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談（医薬品申請前相談あり）

優先審査には非該当のものとして開発早期に希少疾病用医薬品の指定を受けた品目のうち優先審査を希望する新医薬品について、医薬品申請前相談の実施と並行して、承認申請前に優先審査への該当性を評価し報告書を作成するもの。

令和6年度「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」に係る相談手数料の助成について（周知）（令和6年5月28日付け薬機発第1625号）
<https://www.pmda.go.jp/files/000268594.pdf>

Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センターの設置

小児用・希少疾病用等の医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談体制を整備するために、「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」が設置された。

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター※

※事務局：審査マネジメント部

小児用医薬品

開発計画の策定を企業等に促し、PMDAが確認する対応の促進

希少疾病用医薬品

希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品

開発の加速化

【相談体制の整備】

- 小児用医薬品開発計画確認相談
- 希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談
- 医薬品申請データパッケージ相談（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品／医師主導治験による開発品）

令和6年度「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」に係る相談手数料の助成について（周知）（令和6年5月28日付け薬機発第1625号）

<https://www.pmda.go.jp/files/000268594.pdf>

Copyright © Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, All Rights Reserved.

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

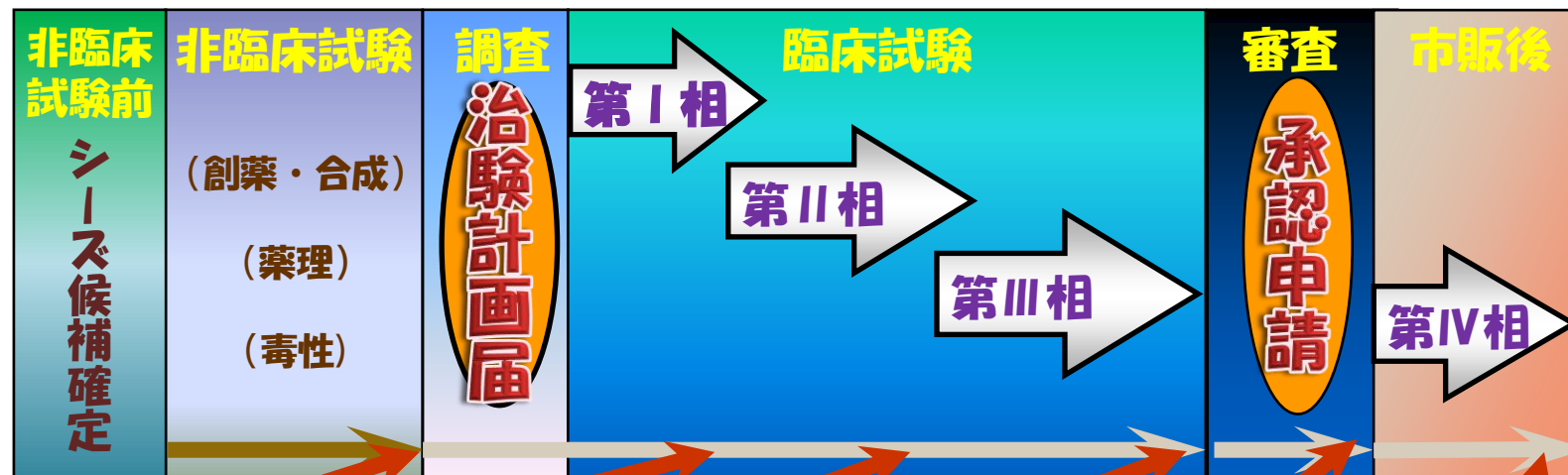
✓希少疾病用医薬品に指定された品目（優先非該当品目を除く）に係る治験相談は、優先的な適用を受けることができる。

→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

主にアカデミア・ベンチャー向け

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

手続相談

生物学的同等性試験等相談

レジストリ関連相談

信頼性基準適合性相談

優先審査品目該当性相談

条件付き承認品目該当性相談

RS戦略相談

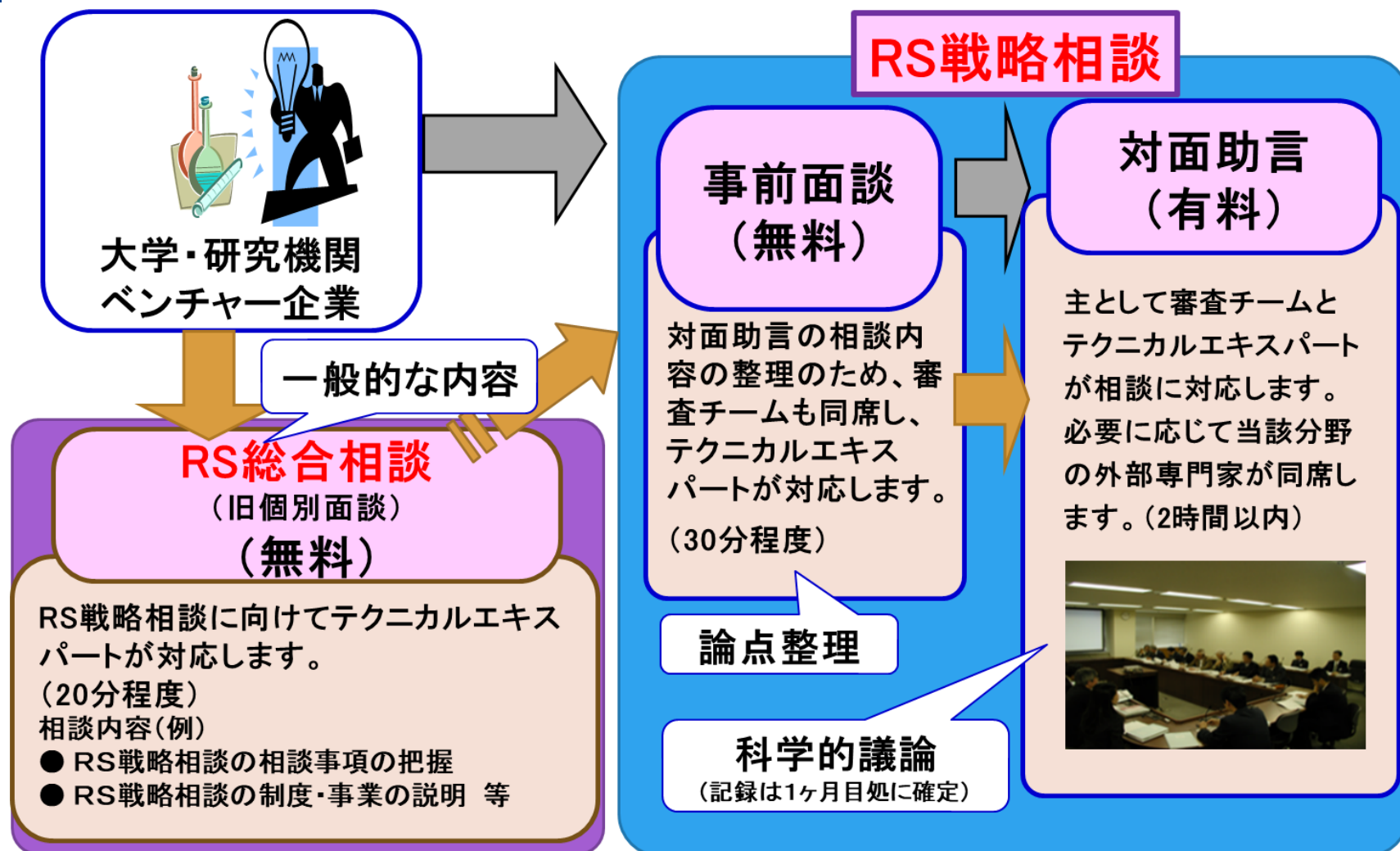
医薬品/医療機器/再生医療等製品戦略相談 ※要件※に該当

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

※優先審査及び優先相談への該当性にかかわらず、希少疾病用医薬品に指定された医薬品

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	令和 5年度
医薬品戦略相談	162	58	40	61	49	44	49	59	41	48
医療機器戦略相談	65	16	20	24	26	25	17	24	15	18
再生医療等製品戦略 相談※2	2	11	14	13	5	11	13	16	7	6
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]	18 [42]
開発計画等戦略相談 ※4	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0
合計	279 [326]	114 [140]	100 [138]	127 [169]	105 [134]	109 [133]	104 [134]	124 [145]	83 [102]	90 [114]

※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について

- ・ 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しています。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す。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。

相談受付業務の運用についてのお知らせ：<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.fds-hinsei.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、継続的な取り組みが必要。
 - ✓ 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

ご清聴ありがとうございました。

