

(4) 希少疾病用医薬品の指定要件の判断基準等の周知徹底

勸 告	説明図表番号
<p>【制度の概要等】</p> <p>希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器（以下「希少疾病用医薬品等」という。）の指定制度は、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研究開発が進まない医薬品及び医療機器の開発を支援することを目的とするものである。</p> <p>薬事法第77条の2第1項の規定等により、この指定を受けるためには、</p> <ul style="list-style-type: none"> i) 指定の申請に係る医薬品等の用途に係る対象者の数が、我が国において5万人未満であること ii) 難病など重篤な疾病を対象とするとともに、特に医療上の必要性が高いものであること iii) 対象疾病に対して指定の申請に係る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と認められることが必要であるとされている。 <p>なお、希少疾病用医薬品等の指定を受けた場合には、独立行政法人医薬基盤研究所法（平成16年法律第135号）第15条第2号の規定により、その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として、医薬基盤研究所を通じて助成金の交付を受けることができるほか、希少疾病用医薬品等に関する試験研究について、厚生労働省、PMDA及び医薬基盤研究所から指導・助言を受け、また、助成金の交付対象期間中の試験研究費総額（医薬基盤研究所の助成金を除く。）の12%を税額控除額として算定できるなどの支援措置を受けることができる。</p> <p>【調査結果】</p> <p>今回、39 医薬品等製造販売業者のうち、平成19年4月から23年9月までにおいて希少疾病用医薬品の指定実績がある8業者における希少疾病用医薬品の開発状況、厚生労働省における希少疾病用医薬品の指定制度の運用状況及び医薬基盤研究所における指導・助言の実施状況を調査した結果、以下のような状況がみられた。</p> <p>ア 医薬品製造販売業者における希少疾病用医薬品の開発状況及び厚生労働省における希少疾病用医薬品の指定制度の運用状況</p> <p>前述の8業者における平成19年4月から23年9月までの希少疾病用医薬品の指定品目数は15品目であり、その開発状況についてみると、9品目が既に製造販売承認済みであり、2品目が製造販売承認申請中、4品目が開発中となっている（平成23年9月30日時点）。</p> <p>この8業者に対し、厚生労働省における希少疾病用医薬品の指定制度の運用状況に係る意見を聴取したところ、指定要件として「希少疾病用医薬品等の用途に係る対象者の数が、我が国において5万人未満であること」とされ</p>	<p>図表1-(4)-①</p> <p>図表1-(4)-②</p>

ていることに関して、そのうちの1業者が平成17年及び19年に抗がん剤の指定申請に係る相談を同省に行った際、複数の適応症に有効性が示唆される抗がん剤の場合、「全ての適応症に対する対象者数の合計が5万人未満であることが必要である。」との見解が示され、その時点では対象者数の合計が5万人を超えるため、指定は適切でないと判断されたものの、22年に再相談を行ったところ、「対象となる適応症のみの対象者数で指定の可否を判断する。」との見解が示され、この場合、対象者数の合計が5万人未満であるため、当該医薬品の指定が可能と判断されたとしている。

当該業者は、平成22年に再相談を行ったことにより、厚生労働省において対象者数に係る見解の変更が行われていたことを知ったとしており、同省では指定要件の判断基準の周知を行っていないため、指定申請に係る相談を行った業者でなければ知り得ない状況となっているとしている。一方、厚生労働省は対象者数に係る見解の変更を行ったことはないとしており、両者の間で指定要件の判断基準に関して認識の相違が生じている状況がみられた。

また、指定要件として「対象疾病に対して希少疾病用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と認められること」とされていることに関して、厚生労働省は「当該指定要件の判断に当たり、臨床試験データがある場合にはその概要の提供を受けているが、必須要件とはしていない。」としているが、3業者において「厚生労働省は、臨床試験データがなければ指定しないという立場を採っていると考えられる。」との認識を持っており、両者の間で臨床試験データの必須性についても認識の相違が生じている状況がみられた。

このような状況を踏まえると、希少疾病用医薬品の開発を促進させるためには、医薬品製造販売業者に対し指定要件の判断基準等の周知を図ることが必要と考えられる。

イ 医薬基盤研究所における指導・助言の実施状況

前述の8業者が希少疾病用医薬品の指定を受けた15品目に係る医薬基盤研究所の指導・助言の実施状況をみると、指導・助言を受けたものは皆無となっている。8業者では、その理由として、この指導・助言は、i) 希少疾病の啓蒙や手続方法の解説がほとんどであり、試験研究にはメリットがない、ii) PMDAの審査とリンクしているか不明であるといったことを挙げている。

これに関し、医薬基盤研究所における指導・助言に係る実施体制等をみると、平成22年度までは職員3名体制により、希少疾病用医薬品等の開発支援制度や助成金の受給申請手続に係る指導・助言とともに、試験研究の内容に係る相談として助成金が交付された医薬品等製造販売業者に対する研究の進捗についてもPMDAと調整を行いつつ指導・助言を行っていた。しかし、医薬品製造販売承認申請前における試験研究の内容自体に係る相談

図表1-(4)-③

<p>については、PMDAで行うようにとの助言を行うにとどめている状況となっていた。</p> <p>医薬基盤研究所では、平成 23 年度からは研究振興業務を担当するプログラムオフィサー（医薬品の開発歴を有した研究機関等のOB）を指導・助言の主担当としても活用することで、試験研究の内容自体に係る相談対応について運用改善を行ったとしている。しかし、この運用改善についての周知までは行われておらず、医薬品等製造販売業者からの助成金交付申請前の相談時に説明しているのみとなっており、医薬基盤研究所の相談受付件数は、平成 19 年度から 22 年度まで各年度 12 件から 15 件で推移しているが、23 年度においても 12 件と増加の傾向はみられない。</p> <p>なお、この点に関して、「医療イノベーション5か年戦略」において、医薬基盤研究所を中心（本部）とする創薬支援ネットワークを構築し、研究支援や助言機能等の強化を図ることとされており、基礎研究等から医薬品の実用化までの切れ目のない支援が求められている。</p> <p>【所見】</p> <p>したがって、厚生労働省は、申請（開発）ラグの解消を図る観点から、以下の措置を講ずる必要がある。</p> <p>① 国内における希少疾病用医薬品の開発を促進するため、医薬品製造販売業者に対し指定要件の判断基準等を周知すること。</p> <p>② 医薬基盤研究所の指導・助言に係る体制の見直しにより、希少疾病用医薬品の試験研究の内容に係る相談に対応するための整備が図られた旨の周知を図り、医薬品製造販売業者による指導・助言の活用を促すこと。</p>	<p>図表 1-(4)-④</p>
--	-------------------

図表 1 - (4) - ① 希少疾病用医薬品等の指定制度に関する規定

○ 薬事法（昭和 35 年法律第 145 号）（抄）

（指定等）

第 77 条の 2 厚生労働大臣は、次の各号のいずれにも該当する医薬品又は医療機器につき、製造販売をしようとする者（本邦に輸出されるものにつき、外国において製造等をする者を含む。）から申請があつたときは、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて、当該申請に係る医薬品又は医療機器を希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器として指定することができる。

- 一 その用途に係る対象者の数が本邦において厚生労働省令で定める人数に達しないこと。
 - 二 申請に係る医薬品又は医療機器につき、製造販売の承認が与えられるとしたならば、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物であること。
- 2 厚生労働大臣は、前項の規定による指定をしたときは、その旨を公示するものとする。

○ 薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の一部を改正する法律の施行について（平成 5 年 8 月 25 日付け厚生省薬務局長通知薬発第 725 号）（抄）

第二 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療用具の指定等に関する事項

1 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療用具の指定

(1) 指定の基準

法第 77 条の 2 第 1 項の規定による希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療用具（以下「希少疾病用医薬品等」という。）の指定は、指定の申請に係る医薬品又は医療用具（以下「医薬品等」という。）につき、次のいずれの要件にも該当するものについて行うものであること。

ア 対象者数

当該医薬品等の用途に係る対象者（感染性の疾病の予防の用途に用いる医薬品にあつては、当該申請時において当該医薬品につき、製造販売の承認が与えられたならば、その用途に使用すると見込まれる者。）の数が、本邦において 5 万人未満であること。

イ 医療上の必要性

当該医薬品等の製造又は輸入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。

なお法第 77 条の 2 第 1 項第 2 号の「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性が期待されること。

ウ 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。

（注）下線は当省が付した。

図表 1 - (4) - ② 希少疾病用医薬品等の指定を受けた場合の支援措置に関する規定

○ 独立行政法人医薬基盤研究所法（平成 16 年法律第 135 号）（抄）

（業務の範囲）

第 15 条 研究所は、第三条の目的を達成するため、次の業務を行う。

一（略）

二 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器に関する試験研究に関し、必要な資金に充てるための助成金を交付し、並びに指導及び助言を行うこと（厚生労働省の所管する他の独立行政法人の業務に属するものを除く。）。

三 前二号に掲げる業務に附帯する業務を行うこと。

（注）下線は当省が付した。

図表 1 - (4) - ③ 医薬基盤研究所における希少疾病医薬品の開発に係る指導・助言体制

(単位：人)

区 分	課長	専門員 (課長補佐)	係長	事務補助員	プログラム オフィサー
平成 22 年度以前	1	1	1	1	(6)
23 年度以降	1	1	—	1	7

(注) 1 当省の調査結果による。

2 平成 22 年度以前は、プログラムオフィサーを指導・助言の主担当には活用せず。

図表 1 - (4) - ④ 医薬基盤研究所における希少疾病用医薬品等の相談受付件数

(単位：件)

年 度	平成 19 年度	20	21	22	23
相談受付件数	15	12	13	15	12

(注) 当省の調査結果による。