

第2回 がん新薬開発合同シンポジウム  
「わが国からの新薬開発を目指して」  
～医療イノベーションをどう実現するか

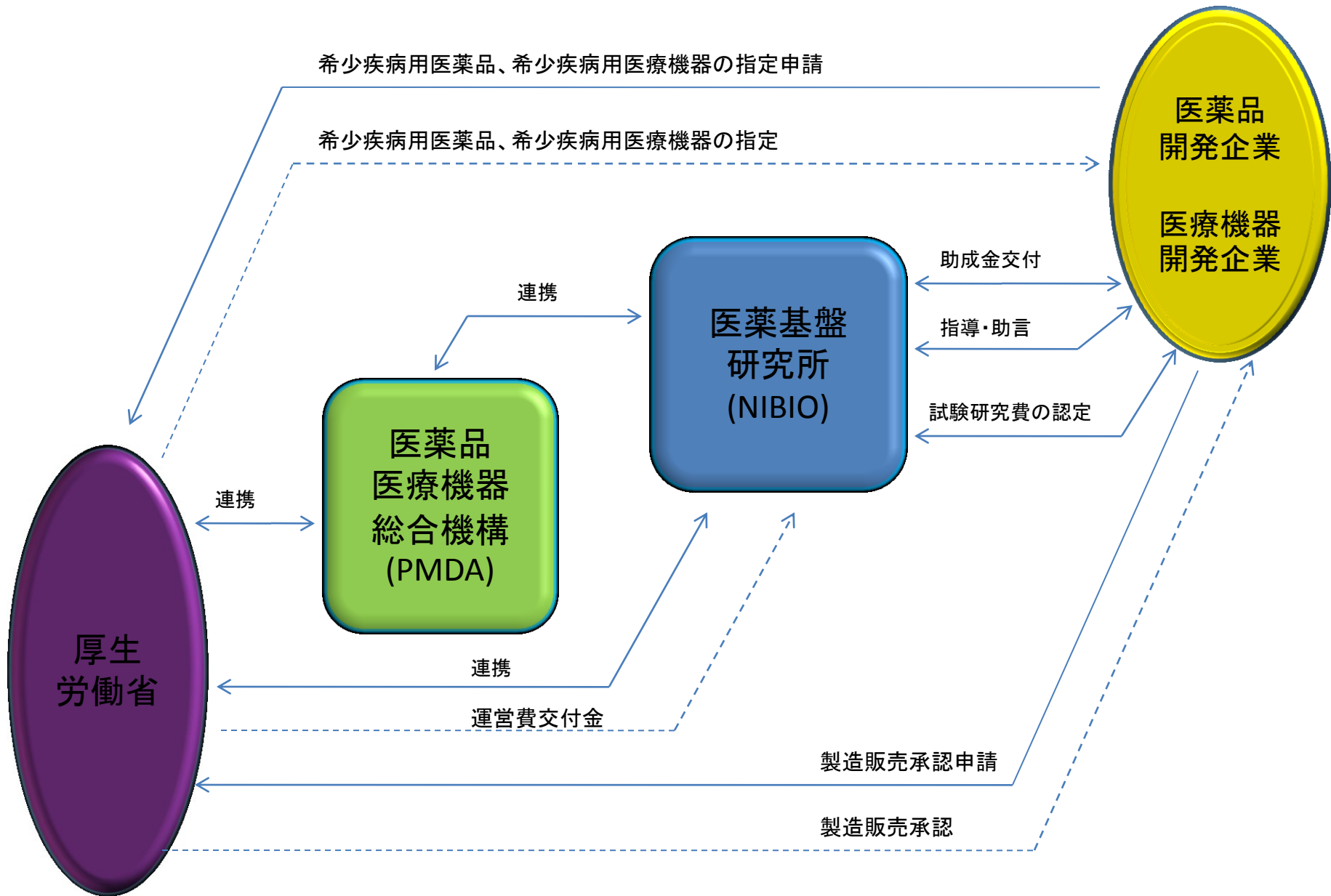
## 希少疾患に対する新薬開発： 基盤研の取り組み

武井貞治

(独立行政法人医薬基盤研究所研究振興部長)

# 事業のしくみ

オーファンドラッグ・オーファンデバイスの研究開発促進制度



# 薬事法第2条第15項

この法律で「希少疾病用医薬品」とは、第77条の2第1項の規定による指定を受けた医薬品を、「希少疾病用医療機器」とは、同項の規定による指定を受けた医療機器をいう。

# 薬事法第77条の2第1項

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。）からの申請があったときは、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。

# 薬事法第77条の2第1項(続き)

1. 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。
2. 申請にかか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ものになる物であること。
3. 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。

# 薬事法施行規則第252条

法第77条の2第1項第1号に規定する厚生労働省令で定める人数は、5万人とする。

指定状況(平成5～平成23年度)

希少疾病用医薬品	269品目
希少疾病用医療機器	23品目

助成金交付品目総数

希少疾病用医薬品	139品目
希少疾病用医療機器	12品目

そのうち、これまでに承認された品目数

希少疾病用医薬品	89品目
希少疾病用医療機器	4品目

# 希少疾病用医薬品、 希少疾病用医療機器と 認めてもらおうと

- 優先的な治験相談及び優先審査の実施
- 再審査期間の延長
- 開発に必要な試験研究費への助成金交付
- 試験研究に関する指導・助言
- 試験研究費に対する税制上の優遇措置

が受けられる。



# 開発に必要な試験研究費への 助成金交付

- 希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器の指定を受けると、医薬基盤研究所より、開発に必要な試験研究費の助成金を受けることができます。
- 助成金の額は、開発に要した試験研究費の50%を限度とします。

# 試験研究に関する指導・助言

- 希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器の指定を受けると、医薬基盤研究所から指導、助言を受けることができます。
- 相談事項は、指定後から承認申請までの試験研究に関する相談です。
- 相談は無料です。

# 試験研究費に対する 税制上の優遇措置

- 医薬基盤研究所は、租税特別措置法に基づき、助成金交付期間に行われた希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器の試験研究に要した費用について認定を行います。
- 認定を受けると、試験研究費総額（医薬基盤研究所の助成金を除く）の12%が控除額の対象となります。

# 権利であって、義務ではありません

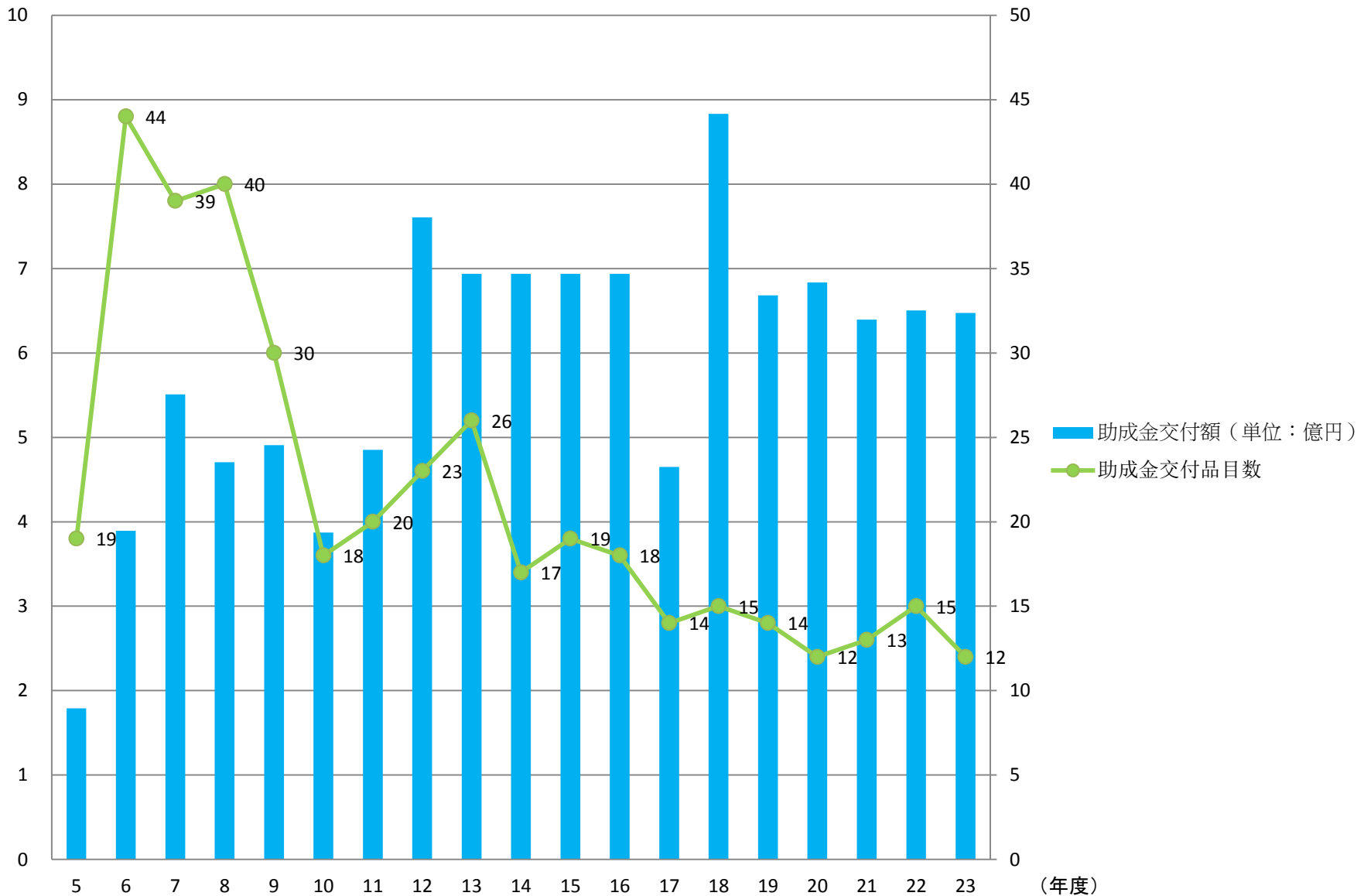
- 以上説明した5つのメリットは、希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器の指定を受けた場合に、開発企業の要請により厚生労働省等が行うものです。
- 従って、指定を受けた場合に、必ずこれらのメリットを受けなければならない、というものではありません。

# 助成金交付状況

## 平成5年度から平成23年度までの助成金交付の推移

(億円)

(品目数)



# 希少疾病用医薬品等 開発振興事業

## 助成金交付終了品目における直近2年間の承認取得

平成22年度、23年度の製造販売承認医薬品(黄色:平成22年度承認、橙色:平成23年度承認)

指定番号	助成年度	販売名	効能・効果又は使用目的	開発企業名
(18薬)第187号	平成18、19年度	沈降インフルエンザワクチンH5N1「化血研」	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	一般財団法人 化学及血清 療法研究所
(19薬)第197号	平成19、20、21年度	レボレード錠12.5mg、 レボレード錠25mg	慢性特発性血小板減少性紫斑病	グラクソ・スミ スクライン(株)
(19薬)第200号	平成19、20、21年度	ヴォリブリス錠2.5mg	肺動脈性肺高血圧症	グラクソ・スミ スクライン(株)
(19機)第13号	平成19、20年度	植込み型補助人工心臓 EVAHEART	本品は、心臓移植適応の重症心不全患者で、薬物療法や体外式補助人工心臓などの補助循環法によっても継続した代償不全に陥っており、かつ、心臓移植以外には救命が困難と考えられる症例に対して、心臓移植までの循環改善に使用される。	(株)サンメディカル 技術研究所
(22機)第21号	平成22年度	胎児シャント	本品は、胎児胸水に対し、胸腔穿刺術が奏効しなかった場合に、胸水を羊水腔に持続的に排出することを目的とする。	(株)八光
(22薬)第232号	平成22年度	ポテリジオ点滴静注 20mg	再発又は難治性のCCR4陽性の 成人T細胞白血病リンパ腫	協和発酵キリン (株)

# 希少疾病用医薬品等 開発振興事業

## 平成22年度に製造販売承認を受けた オーファンデバイスから(報道発表資料)(参考)

日本人の小柄な体格に適合し、自宅療養を可能とする  
小型・高性能の次世代型の植え込み型補助人工心臓

(同時資料提供)  
厚生労働記者会  
厚生日比谷クラブ  
本町記者会  
大学・科学記者クラブ  
大阪府庁産業記者会



希少疾病用医薬品等開発振興事業で支援した  
オーファンドラッグ(オーファンデバイス)が  
医療機器の承認を受けました!!  
—植え込み型補助人工心臓 EVAHEART—

独立行政法人医薬基盤研究所(大阪府茨木市、以下「基盤研」という。)では、設立当初(平成17年4月)より、オーファンドラッグ<sup>※1</sup>を対象とした「希少疾病用医薬品等開発振興事業」<sup>※2</sup>を行ってまいりましたが、この度、同事業で支援したオーファンデバイス1件が厚生労働省より医療機器としての承認(薬事法の製造販売承認)を受けましたので、お知らせいたします。

### 植え込み型補助人工心臓システム<sup>※3</sup>

- 販売名 植え込み型補助人工心臓 EVAHEART
- 一般名 植え込み型補助人工心臓システム
- 承認日 平成22年12月8日
- 使用目的 本品は、心臓移植適応の重症心不全患者で、薬物療法や体外式補助人工心臓などの補助循環法によっても継続した代償不全に陥っており、かつ、心臓移植以外には救命が困難と考えられる症例に対して、心臓移植までの循環改善に使用される。
- 製造販売業者 株式会社サンメディカル技術研究所
- オーファンドラッグ指定番号(厚生労働省)  
(19機)第13号(平成19年7月6日指定)
- 指定時の名称 植え込み型補助人工心臓システム
- 基盤研による助成金交付年度 平成19、20年度

### ※1 オーファンドラッグとは

難治性疾患やエイズ等の医薬品、植え込み型補助人工心臓等の医療機器は、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から研究開発投資の回収が困難なため、開発がなかなか進まないのが現状です。このような医薬品、医療機器をオーファンドラッグ(Orphan Drug)といいます。また、これらのうち医療機器のことをオーファンデバイスと呼ぶこともあります。

平成22年12月10日  
照会先:独立行政法人医薬基盤研究所  
大阪府茨木市彩都あさぎ7-6-8  
研究振興部 希少疾病用医薬品等開発振興課  
電話:072-641-9804  
戦略企画部 電話:072-641-9832

平成19年度助成

平成20年度助成

21年1月承認申請



# 希少疾病(オーファン)治験ウェブ

http://www.nibio.go.jp/orphan/index.html 公開とその反響

希少疾病医薬品及び希少疾病医療機器の治験を円滑に進めるための研究会の報告をふまえ、平成24年3月、希少疾病(オーファン)治験ウェブを公開した。

社団法人日本医師会治験推進センターなど外部機関のウェブサイトとのリンクなど、患者の目線に立ったウェブの運営を行うことで関係機関からも期待されており、平成24年3月末時点の当ウェブサイト訪問者数は約2,500人にのぼっている。



平成24年3月30日 文部科学省・厚生労働省「臨床研究・治験活性化5か年計画2012」において当ウェブについて言及！

(希少・難治性疾患等の治験に関する情報提供)

特に希少・難治性疾患等については、国立保健医療科学院の臨床研究(試験)情報検索ポータルサイトだけでなく、独立行政法人医薬基盤研究所のウェブサイトや公益財団法人難病情報センターのウェブサイト等においても、関係企業の協力を得て現在実施中の治験の情報提供を行う等、国民・患者目線に立った情報提供の在り方について検討を進める。



ご清聴有難うございました

[www.nibio.go.jp](http://www.nibio.go.jp)

または

「希少疾病用医薬品」←

検索