

○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

(平成五年八月二五日)

(薬発第七二五号)

(各都道府県知事あて厚生省薬務局長通知)

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(平成五年法律第二七号)及び関係政省令の施行については、平成五年八月二五日厚生省発薬第二一三号厚生事務次官依命通達が発せられたところであるが、今般の改正のうち平成五年一〇月一日施行分については同通達によるほか、細部に関しては左記によらるたい。

なお、この通知において、改正後の薬事法(昭和三五年法律第一四五号)を「法」と、改正後の薬事法施行規則(昭和三六年厚生省令第一号)を「規則」とそれぞれ略称する。

記

第一 優先審査及び再審査期間に関する事項

1 優先審査

- (1) 法第一四条第四項の規定により優先的に審査を行うことができる「医療上特にその必要性が高いと認められる医薬品又は医療用具」とは、法第二条第六項に規定する希少疾病用医薬品(以下「希少疾病用医薬品」という。)、同項に規定する希少疾病用医療用具(以下「希少疾病用医療用具」という。))その他重篤な疾病等を対象とする新医薬品又は新医療用具であって医療の質の向上に明らかに寄与すると認められるものであること。
- (2) このほか、優先審査の取扱いの詳細については、別途通知するところによること。

2 再審査期間

- (1) 法第一四条の四第一項第一号に規定する調査期間は原則として次のとおりとし、当該調査期間経過後三月以内に再審査を受けなければならないこと。
  - ア 次のいずれかに該当する新医薬品 一〇年
    - (イ) 希少疾病用医薬品
    - (イ) 市販後調査において、当該医薬品の長期使用による延命効果、QOLの改善、合併症の予防効果等、患者に対する総合的な治療効果を指標とした評価を、薬剤疫学的手法を用いて行う必要があると承認時において明らかに認められる医薬品
  - イ 次のいずれかに該当する新医薬品 四年以上六年未満で別に定める期間
    - (ア) 既に製造又は輸入の承認を与えられている医薬品と効能又は効果のみが明らかに異なるもの
    - (イ) 既に製造又は輸入の承認を与えられている医薬品と用法(投与経路を除く。))又は用量が明らかに異なる医薬品であって有効成分及び投与経路が同一のものその他既に製造又は輸入の承認を与えられている医薬品との相違が軽微であると認められる医薬品
  - ウ 前記ア又はイに掲げる医薬品以外の新医薬品 六年
- (2) 新医薬品と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が同一性を有すると認められる医薬品であって当該新医薬品の調査期間中に承認するものについては、当該新医薬品の再審査の申請期間に合致するように厚生大臣が指示する期間に再審査を受けなければならないこと。
- (3) 既に製造又は輸入の承認を受けている医薬品が、承認後において、当該医薬品の長期使用による延命効果、QOLの改善、合併症の予防効果等、患者に対する総合的な治療効果を指標とした評価を、薬剤疫学的手法を用いて行う必要があると認められるに至った場合は、法第一四条の四第二項の規定により、調査期間を一〇年に延長できること。なお、調査期間の延長の必要性については、承認を受けた者から提出される使用成績調査実施計画書等に基づき、判断するものであること。
- (4) 平成五年一〇月一日において、既に製造又は輸入の承認を受けている医薬品のうち、希少疾病用医薬品に相当すると認められる医薬品であって調査期間を延長する必要があると認められるものについては、前記(3)と同様の取扱いとすること。
- (5) これらのほか、再審査に係る調査期間の取扱いの詳細については、別途通知するところによること。

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

法第七七条の二第一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、本邦において五万人未満であること。

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。

なお法第七七条の二第一項第二号の「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。

(2) 指定の方法

希少疾病用医薬品等の指定については、中央薬事審議会の意見を聴いて行うこととする。

なお、指定した医薬品等については、指定年月日、医薬品等の名称、対象疾病並びに申請者の氏名及び住所を官報に公示すること。

2 指定の申請

(1) 申請書の記載

希少疾病用医薬品等の指定を受けようとする者は、別紙様式第1による申請書(正本一通及び副本二通)を提出すること。

ただし、外国において当該医薬品等の製造をしようとする者であって国内管理人を選任しているものについては、併せて国内管理人の氏名及び住所を届け出ること。

(2) 申請書の添付資料

施行規則第六四条の二第二項の規定により申請書に添付すべき資料が定められているが、その具体的な内容は次のとおりであること。なお、左記の資料のほか、必要に応じて資料の提出を求めることがあること。

ア 対象者数に関する資料

当該医薬品等の用途に係る対象者数に関する客観的な統計資料

イ 医療上の必要性に関する資料

(ア) 病因、症状等対象疾病に関する資料

(イ) 類似の医薬品等の有無、治療方法の有無など医療の現状に関する資料

ウ 当該医薬品等を使用する理論的根拠となる資料

(ア) 医薬品の場合

昭和五五年五月三〇日薬発第六九八号通知の別表1に掲げる資料のうち申請時において入手可能な資料の概要

(イ) 医療用具の場合

昭和五五年六月三〇日薬発第八五二号通知の別表に掲げる資料のうち申請時において入手可能な資料の概要

エ 開発計画

予定している試験項目、試験期間、所要経費など開発計画の概要を説明する資料

3 試験研究等の中止

法第七七条の二第一項の規定による指定を受けた者は、当該指定に係る希少疾病用医薬品等の試験研究又は製造若しくは輸入を中止しようとするときは、あらかじめ少なくとも中止の一年前までに厚生大臣に届け出ること。

なお、中止の届出は、別紙様式第2による届書を提出することにより行うこと。

4 指定の取消

法第七七条の二の四の規定による中止の届出があったときは、指定を取り消すこと。また、次のいずれかに該当するときは、指定を取り消すことがあること。

なお、指定の取消しの公示は、第二一1—(2)に準じて行うこと。

ア 第二一1—(1)—アの要件を欠くと認められるとき。

イ 他の医薬品等が承認されたことなどにより、第二一1—(1)—イの要件を欠くと認められるとき。

ウ 指定申請書の虚偽記載等不正があったと認められるとき。

エ 正当な理由なく希少疾病用医薬品等の試験研究又は製造若しくは輸入が行われな

オ 指定を受けた者について薬事に関する法令又はこれに基づく処分に違反する行為があったとき。

5 その他

平成五年一〇月一日において、既に製造又は輸入の承認を申請している医薬品等についても、希少疾病用医薬品等の指定のための申請が可能であること。

### 第三 通知の改正等

本通知等の施行に伴い、昭和五五年四月一〇日薬発第四八三号薬務局長通知「薬事法の一部を改正する法律の施行について」中第二—2—(2)を削り、(3)中「(2)アからウまでに該当する場合であっても、」を削り、第六—5中「第四項」を「第五項」に改め、第六—6中「第六四条の二」を「第六四条の六」に改めること。

別紙様式第1(1)

### 希少疾病用医薬品指定申請書

名称	
成分及び分量又は本質	
製造方法	
予定される用法及び用量	
予定される効能又は効果	
使用価値が特に優れていると判断する理由	
備考	

上記により、希少疾病用医薬品の指定を申請します。

年 月 日

住所	法人にあっては、 主たる事務所の所在地	
氏名	法人にあっては、 名称及び代表者の 氏名	(印)

厚生大臣 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは、日本工業規格A4とすること。
- 2 この申請書は、正本1通及び副本2通提出すること。
- 3 字は、墨、インク等を用い、楷〈かい〉書ではっきり書くこと。

別紙様式第1(2)

希少疾病用医療用具指定申請書

種別	
名称	
形状、構造及び寸法	
原材料又は成分及び分量	
製造方法	
予定される性能、使用目的、効能又は効果	
予定される操作方法又は使用方法	
使用価値が特に優れていると判断する理由	
備考	

上記により、希少疾病用医療用具の指定を申請します。

年 月 日

	住所	法人にあっては、 主たる事務所の所在地	
--	----	------------------------	--

	氏名	法人にあつては、 名称及び代表者の 氏名	(印)
--	----	----------------------------	-----

厚生大臣 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは、日本工業規格A4とすること。
- 2 この申請書は、正本1通及び副本2通提出すること。
- 3 字は、墨、インク等を用い、楷〈かい〉書ではっきり書くこと。
- 4 粉状又は液状の医療用具にあつては、形状、構造及び寸法欄の記載を要しないこと。

別紙様式第2

／希少疾病用医薬品／希少疾病用医療用具／試験研究／製造／輸入中止届書

指定年月日	
名称	
中止の理由	
備考	

上記により、／希少疾病用医薬品／希少疾病用医療用具の／試験研究／製造／輸入／中止の届出をします。

年 月 日

	住所	法人にあつては、 主たる事務所の所 在地	
	氏名	法人にあつては、 名称及び代表者の 氏名	(印)

厚生大臣 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは、日本工業規格A4とすること。
- 2 この申請書は、正本1通及び副本2通提出すること。
- 3 字は、墨、インク等を用い、楷〈かい〉書ではっきり書くこと。