希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器及び希少疾病用再生医療等製品ガイド

- 希少疾病用医薬品等開発振興事業の概要 -

最終更新：令和８年９月

はじめに

希少疾病用医薬品等の指定制度が制定される以前※1は、難病、エイズ等を対象とする医薬品や医療機器は、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により、本邦では十分にその研究開発が進んでいない状況にありました。また、医療をめぐる国民のニーズの多様化等に対応して、安全かつ良質な医薬品・医療機器を一日も早く医療の現場に提供することが求められていました。こうした国民の期待の高まりや、医薬品・医療機器の研究開発をとりまく状況の変化等を踏まえ、平成５年４月に薬事法※2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５年法律第 27 号）が公布され（施行は平成５年 10 月１日）、薬事法に希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器が規定され、その試験研究を促進するための特別な支援措置が講じられました。また、平成 25 年の薬事法等の一部を改正する法律（平成 25 年法律第 84 号）により、薬機法上に再生医療等製品が新たに規定され、希少疾病用再生医療等製品の制度についても創設されました。

本制度の変遷と並行して、行政側の業務体制も大きく変化しました。平成 16 年４月に国立医薬品食品衛生研究所医薬品医療機器審査センター、医薬品副作用被害救済・研究振興調査機構及び財団法人医療機器センターの一部の業務を統合し、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）が設立されました。これにより、審査関係の部署が統合され、希少疾病用医薬品等に関する指導・助言を実施するに相応しい連携と環境が整い、PMDA において有料の対面助言が受けられることになりました。また、平成 17 年４月には国立医薬品食品衛生研究所大阪支所を主な母体に、国立感染症研究所、PMDA の組織の一部を統合して独立行政法人医薬基盤研究所が設立され、当該研究所が希少疾病用医薬品等の開発振興業務を引き継ぎました。平成 27 年４月には独立行政法人医薬基盤研究所と国立健康・栄養研究所が統合して国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所（以下「NIBN」という。）が設立され、現在に至るまで希少疾病用医薬品等開発振興事業を行っています。

本ガイドは、このような制度を取り巻く状況の変化にあっても、継続した制度の理解と指定可否判断の一律化、円滑な業務運用を目的として、指定制度や開発振興事業の全体像や必要な手続き等を一冊にまとめたものです。

希少疾病用医薬品の指定要件は、「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」（令和２年８月 31 日薬生薬審発 0831 第７号厚生労働省医薬・生活衛

生局医薬品審査管理課長、薬生機審発 0831 第７号医療機器審査管理課長連名通知）等によって周知されていたところですが、令和６年１月、「創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会」における検討を踏まえ、約３年半ぶりに見直されました。この改定を契機に本ガイドを更新し、巻末に参考資料として本制度に関する主な沿革を記載しました。

本制度や事業は、行政側（厚生労働省、PMDA 及び NIBN）と医薬品等の開発に当たる企業側の各関係者が連携をうまく保つことができて、はじめて有効に機能するものです。本ガイドが共通の指針として、本制度を活用した創薬により、薬を必要としている人に一日でも早く治療薬が提供される一助となれば幸甚です。

※1 本邦では、昭和 60 年（1985 年）に「稀用医薬品の製造（輸入）承認申請に際し添付すべき資料について」の通知の中で、熱帯病等を適応症とする稀用医薬品の開発促進を図るとともに、国内における症例数が少ないという実態を勘案して、承認申請に際し必要な添付資料の簡素化を行うこととされた。
※2 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（現在の薬機法（医薬品医療機器法））

令和８年９月

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課
厚生労働省医薬局医療機器審査管理課
独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）
国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所
（NIBN）

目　次

Ⅰ　希少疾病用医薬品等の指定制度概要・・・・・・・・・・・・・・・・・・　1
１．制度の概要
２．希少疾病用医薬品等指定制度に係る組織
３．希少疾病用医薬品等の指定の基準と手続きについて
４．希少疾病用医薬品等の指定の取消しとその手続きについて
希少疾病用医薬品等の各種様式

Ⅱ　希少疾病用医薬品等の開発振興・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・　18
１．優先審査について
２．医薬品申請手数料の減額
３．PMDA における対面助言の優先制度及び手数料の減額
４．再審査期間延長
５．助成金交付事業
６．税制措置
７．指導及び助言

Ⅲ　Ｑ＆Ａ・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・・　23
１．指定制度、承認申請及び審査等について
２．指導・助言について
３．助成金について
４．税額控除に係る特別試験研究費の額の認定について

Ⅰ　希少疾病用医薬品等の指定制度概要

１．制度の概要

希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器及び希少疾病用再生医療等製品（以下「希少疾病用医薬品等」という。）は、企業からの申請に基づき、対象者数が本邦において５万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの要件（指定基準）に合致するものとして、薬事審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものである。

【指定基準】

① 本邦における対象者数が５万人未満であること。ただし、その用途が指定難病の場合は、難病の患者に対する医療等に関する法律（以下「難病法」という。）第５条第１項に規定する人数（人口のおおむね千分の一程度）まで対象範囲とする。
② 医療上、特にその必要性が高いこと。
③ 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こと。

希少疾病用医薬品等として指定されたものについては、以下に示すように試験研究に関する助成金の交付、指導・助言、税制優遇措置、優先審査、再審査期間の延長等の支援措置が講じられる。

なお、希少疾病用医薬品等の指定が、直ちに医薬品、医療機器又は再生医療等製品（以下「医薬品等」という。）の製造販売承認に結びつくものではない。

（１）助成金の交付

希少疾病用医薬品等の開発に係る経費の負担を軽減するため、NIBN を通して助成金の交付を受けることができる。

（２）指導・助言

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 NIBN による指導・助言を受けることができる。

（３）税制措置

NIBN からの助成金の交付対象期間に行う試験研究に係る費用のうち、希少疾病用医薬品等試験研究費（NIBN の助成金を除いた額）の 20％を税制控除額として算定できる。

（４）優先審査

希少疾病用医薬品等に指定されたもののうち一部のものについては、できるだけ早く

医療の現場に提供できるよう、他の医薬品等に優先して承認審査が行われる。また、PMDAによる優先対面助言の対象となる。

（５）再審査期間の延長

希少疾病用医薬品及び希少疾病用再生医療等製品に指定され、承認された医薬品及び再生医療等製品については、再審査期間が最長 10 年間付与される。なお、小児に対する用法・用量設定に関する開発を行う必要があると明らかに認められる医薬品については、調査期間を 2 年間延長し、最長で 12 年を超えない範囲とすることができる。

２．希少疾病用医薬品等指定制度に係る組織

希少疾病用医薬品等制度において、主な行政機関の役割は以下のとおりである。

（１）厚生労働省

① 希少疾病用医薬品等の指定前の相談業務
② 希少疾病用医薬品等の指定
③ NIBN に対する運営費交付金の交付

（２）PMDA

① 希少疾病用医薬品等の指定申請に係る事前評価
② 希少疾病用医薬品等に係る承認申請前の試験研究の実施及び承認申請資料に関する相談（優先対面助言）
③ 希少疾病用医薬品等の承認申請後の承認審査（優先審査）

（３）NIBN

① 製薬企業等、指定を受けた者に対する助成金の交付
② 製薬企業等、指定を受けた者に対する試験研究費の額の認定
③ 製薬企業等、指定を受けた者に対する指導・助言の実施

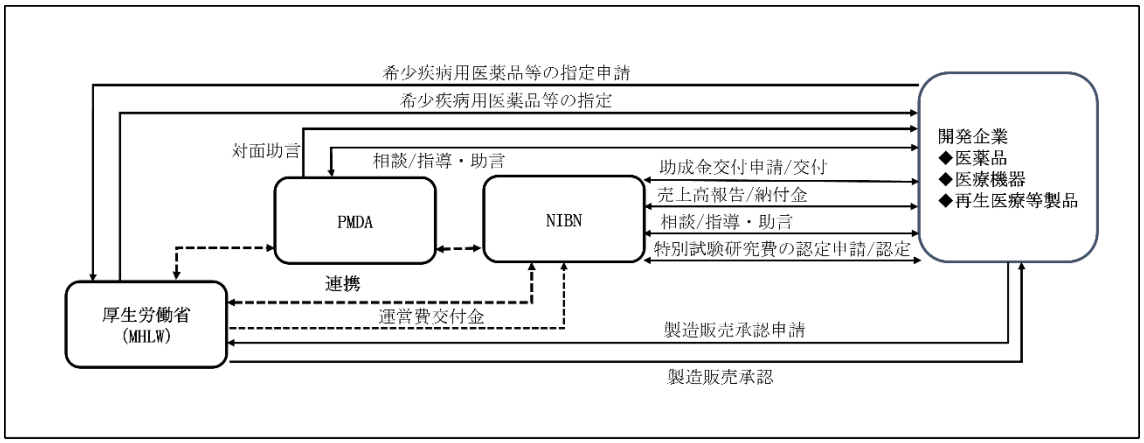

図　希少疾病用医薬品等に係る組織

３．希少疾病用医薬品等の指定の基準と手続きについて

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等の指定は、指定の申請に係る医薬品等につき、次の（１）から（３）まで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。

（１）対象者数

ア．対象者数の基準

医薬品等の用途に係る対象者の数が、本邦において５万人未満であること。

ただし、その用途が指定難病（難病法第５条第１項に規定する指定難病をいう。以下同じ。）の場合は、対象者の数が同項に規定する人数（人口のおおむね千分の一程度）未満であること。

イ．対象者数の推定方法

厚生労働科学研究事業や関連学会の信頼できる調査結果等を利用して対象者数を推定する必要がある。しかし、患者数にかかる調査が十分ではなく、確実な人数を示すことができない疾病の場合は、複数の統計データ等に基づき、かつ、複数の手法により推計することが望ましい。

ただし、医薬品等の用途が指定難病である場合は、対象者数については要件を満たしているものとみなすので、別途対象者数を推定する必要はない。

ウ．指定対象となる疾患の範囲

特定の疾患の患者数に関して、医学薬学上の明確な理由なしに、「重篤な」等の接頭語、ただし書き等を追加することによって、患者数を５万人未満として計算するいわゆる「輪切り」申請については、原則として認めない。

一方、例えば、年齢層（小児を含む）、治療体系、治療ライン、リスク分類、投薬の必要性等を含め、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のであれば、当該疾患については「輪切り」には該当しない。ただし、疾患全体の患者数が５万人を大幅に超える場合は、患者数は複数の根拠に基づき慎重に確認するものとする。

エ．感染症の疾病の予防の用途について

感染性の疾病の予防の用途に用いる医薬品又は再生医療等製品にあっては、対象者数は、当該申請時において当該医薬品又は再生医療等製品につき、製造販売の承認が与えられたならば、１年間に、その用途に使用すると見込まれる者の人数とする。「感染性の疾病の予防の用途に用いる医薬品」とは、次のいずれかの要件に該当する医薬品を含むが、これらに限らない。

① 国内での発生が稀で、特定の集団に限定して流行している感染症の予防に用いるワクチン

② 海外でのみ発生している感染症で、その流行地域への訪問者（渡航者）等が用いる渡航者用ワクチン

③ 国民の生命、健康に重大な影響を与えるおそれのある新興・再興感染症に対するワクチンであって、当該感染症の流行に対応して使用するために流行前に開発され、承認を与えられたとしても直ちに使用されないもの

（２）医療上の必要性

当該医薬品等の製造販売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と見込まれること。

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、原則として、次のア及びイに該当するなど、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．対象疾患の重篤性等

指定対象の疾患としては、原則として、重篤な疾病又は国民の生命、健康に重大な影響を与えるおそれのある感染症を対象とする。重篤な疾病とは、致死的であることのほか、著しく生活の質を落とす状態が長期的に継続する場合などが該当する。

イ．対象疾患に対する有用性

次の①～③のいずれかに該当し、対象疾患に対する有用性を有する医薬品等を

対象とする。

① 既承認薬等（標準的に用いられている治療法・予防法を含むが、未承認・適応外で使用されている医薬品等を除く。以下②～③において同じ。）がないこと。

② 既承認薬等がある場合であって、いずれの既承認薬による治療を行った場合でも予後不良など、当該既承認薬等のみでは治療法・予防法として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こと（医療環境・投与環境から既承認薬の投与が困難である患者が一定数存在すると考えられる場合を含む。）。例えば、新規作用機序であって非臨床試験の結果等から効果が期待できること、医療環境・投与環境から既承認薬の投与が困難である患者に対する投与が可能となることが考えられることなど、医薬品等としての有用性が一定程度期待されること。

③ 既承認薬等がある場合であって、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こと。

なお、高い有効性又は安全性が期待される場合としては、次のような場合が該当しうると考えられるが、これらに限らず、薬剤、疾患の特性等に応じ個別に判断すること。

- 適切に設計された比較臨床試験において既承認薬と直接比較した結果により有効性又は安全性における優越性が示されていること
- 既承認薬と直接比較した臨床試験以外の臨床試験の結果等から、既承認薬と比較して著しく高い有効性又は安全性が十分に期待されること
- 国内又は国際的に認められている主要なガイドラインにおいて、有効性又は安全性の観点から一定の科学的根拠に基づき既承認薬と比較して高い優先度に位置づけられていること
- 添付文書上の注意喚起の程度が明らかに異なる（例えば、既承認の適応での警告欄における記載が異なる）場合など、安全性プロファイルが明らかに異なり既承認薬の投与が困難である一定数の患者が治療可能になることから、安全性において優れている蓋然性が高いこと

（３）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こと。

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。

２）指定の手続きについて

希少疾病用医薬品等の指定申請は、常時受け付けている。指定申請を受け付けた後、薬事審議会の審議を経て指定を行う。希少疾病用医薬品等の指定は審議の約２～３週間後に行われる。

○指定相談の事前準備

（１）相談の申込み

① 希少疾病用医薬品等の指定を希望する企業等（以下「相談者」という。）からの相談の申込みについては、随時受け付ける。

② 相談は、医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課の希少疾病用医薬品等の指定業務を担当する者（以下「指定業務担当者」という。）に申し込むこと。

③ 申込みは、メールや電話で受け付けている。なお、様式は別紙１の希少疾病用医薬品等指定相談申込書を用いてもよい。

④ 相談は日本語によること。

（２）相談日の決定

相談日は、相談の申込みが行われた後、指定業務担当者より電話又はメールにより連絡される。

○指定相談の実施

（１）相談の実施方法

① 相談時間は原則として 30 分～１時間程度とすること。

② 相談人数の制限については特に規定しないが、内容に応じた適切な人数とすること。

③ 対面のほか、Web 会議も活用可能である。

（２）相談時の注意事項

① 品目の概要や、対象疾患の概要を説明するとともに、各指定要件への該当性について説明すること。

② 相談に用いる資料としては、指定申請資料の案を用いてもよいが、説明に必要な事項を簡潔にまとめたパワーポイント等の資料を相談用に別途作成して用いてもよい。

③ 相談資料は、事前に指定業務担当者に送付しておくこと。

○指定申請書の提出

（１）指定相談実施後、特段の問題がなければ、指定申請書を医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課宛てメール等により電子ファイルを提出する。指定手続きを円滑に進めるため、申請資料の内容の修正を求める場合があることから、事前に案を提出

することが望ましい。

① 指定申請書（別紙３（１）医薬品、３（２）医療機器及び３（３）再生医療等製品）

ア．様式（医薬品医療機器等法施行規則第 250 条）

「希少疾病用医薬品指定申請書」(様式第 107(1))、「希少疾病用医療機器指定申請書」(様式第 107(2))、「希少疾病用再生医療等製品指定申請書」(様式第 107(3))

イ．部数

指定申請書の案について、原則として、メール等により電子ファイルを提出する。正本は原則として、Gateway により電子ファイルを提出する。

ウ．提出先

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課

② 指定申請書の添付資料

ア．対象者数に関する資料

わが国における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

承認申請資料（案）のうち、希少疾病用医薬品等の指定申請時に入手可能な資料

エ．開発計画（開発の可能性を判断するための資料）

現在までの開発状況、予定している試験項目、試験期間など開発計画の概要を説明する資料

③ 希少疾病用医薬品等概要の作成

ア．部会説明用資料及び公表用資料として、希少疾病用医薬品等概要を作成する。希少疾病用医薬品等概要の様式は別紙２のとおり。なお、名称、予定される効能・効果及び申請者名は英名又は英語表記を併記すること。

○指定申請後の手続き

（１）医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課で指定申請書を受理した後、希少疾病用医薬品等としての指定の可否について審査を行う。

（２）審査の結果、指定して差し支えないとの判断がなされた場合には、薬事審議会に諮問を行う。

（３）薬事審議会（希少疾病用医薬品は医薬品第一部会又は医薬品第二部会、希少疾

病用医療機器は医療機器・体外診断薬部会、希少疾病用再生医療等製品は再生医療等製品・生物由来技術部会）での審議で、指定しても差し支えないとの答申が得られた場合には、原則として指定を行うものとする。

（４）諸手続が終了後、指定書は申請者に郵送される。また、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（成分名）、予定される効能又は効果、並びに申請者の氏名又は名称及び住所を厚生労働省のホームページに掲載する。

３）優先審査及び優先相談の該当性変更の手続きについて

優先審査及び優先相談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及び優先相談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の評価を行う「希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談」を受けることができる。

「希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談」は PMDA で常時受け付けている。手続き、必要書類等については PMDA のホームページを確認すること。

４．希少疾病用医薬品等の指定の取消しとその手続きについて

１）試験研究等の中止の届出

（１）希少疾病用医薬品等の指定を受けた者が、当該指定に係る希少疾病用医薬品等の試験研究、製造販売又は製造を中止しようとするときは、速やかに厚生労働大臣に届け出なければならない。

なお、中止届書の提出にあたっては、事前に医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課の指定業務担当者及び NIBN に連絡をとること。

①中止届書（別紙４）

ア．様式（医薬品医療機器等法施行規則第 252 条）

「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 試験研究 / 製造販売 / 製造 中止届書」（様式第 108）

イ．提出方法

中止届書の案について、原則として、メール等により電子ファイルを提出する。正本は原則として、Gateway により電子ファイルを提出する。

ウ．提出先

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課

（２）医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課で中止届書を受理した後、薬事審議会に報告のうえ、希少疾病用医薬品等の指定の取消しが通知されることとなる。また、指定の取消しの公示は、指定時に準じて行う。

２）指定の取消し

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。

ア．指定の要件を欠くと認められるとき。

イ．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。

ウ. 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販売が行われないとき。

エ. 指定を受けた者について法その他薬事に関する法令で定めるもの又はこれに基づく処分に違反する行為があったとき。

指定を受けた者は、要件に該当しないと考えられる事由が生じた場合は速やかに厚生労働省に対して申し出て、指定の継続や優先審査の該当の継続の可否について確認を受けること。なお、指定の要件や優先審査の要件を満たす状況に変わりがないと考える場合は、厚生労働省に対して確認を求める必要はない。ただし、厚生労働省が、要件を満たさない可能性があると考えた場合には、指定を受けた者に対して照会等を行う場合がある。

別紙 1

希少疾病用医薬品等指定相談申込書

厚生労働省医薬局
医薬品審査管理課／医療機器審査管理課
　オーファン指定業務担当者　宛

会社名	相談者名（出席者名及び所属部署）
連絡先電話番号 （　　）　　－	希望相談日時（複数提示すること）
指定候補品目名	
予定される効能・効果	
備考	

（注）様式は A4 版とすること。
※ 必ずしも、希望相談日に相談を実施できるものではないことに留意すること。

別紙 2(1)

希少疾病用医薬品概要

名称	JAN の場合は INN 等の英名を併記すること
予定される効能・効果	英語表記を併記すること
申請者名	英語表記を併記すること
対象疾患について	対象疾患の概略説明、患者数等を記載
医療上の必要性、開発状況等について	医療上の必要性、これまでの臨床試験成績（外国を含む）、開発状況等を記載

（注） 1. 様式は A4 判とすること。
2. 詳細についてさらに説明を要する場合には、別添として添付することは差し支えない。
3. 公表用資料として用いることを前提に作成すること。

別紙 2(2)

希少疾病用医療機器概要

名称	英名を併記すること
予定される使用目的又は効果	英語表記を併記すること
申請者名	英語表記を併記すること
対象疾患について	対象疾患の概略説明、患者数等を記載
医療上の必要性、開発状況等について	医療上の必要性、これまでの臨床試験成績（外国を含む）、開発状況等を記載

（注） 1. 様式は A4 判とすること。
2. 詳細についてさらに説明を要する場合には、別添として添付することは差し支えない。
3. 公表用資料として用いることを前提に作成すること。

別紙 2(3)

希少疾病用再生医療等製品概要

名称	英名を併記すること
予定される効能、効果又は性能	英語表記を併記すること
申請者名	英語表記を併記すること
対象疾患について	対象疾患の概略説明、患者数等を記載
医療上の必要性、開発状況等について	医療上の必要性、これまでの臨床試験成績（外国を含む）、開発状況等を記載

（注） 1. 様式は A4 判とすること。
2. 詳細についてさらに説明を要する場合には、別添として添付することは差し支えない。
3. 公表用資料として用いることを前提に作成すること。

別紙３(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

厚生労働大臣　殿

（注意）

1　用紙の大きさは、日本産業規格 A4 とすること。

2　この申請書は、正副２通提出すること。

3　字は、墨、インク等を用い、楷書ではっきり書くこと。

別紙３(2)

希少疾病用医療機器指定申請書

類　　別	
名　　称	
形状、構造及び原理	
原材料又は構成部品	
製　造　方　法	
予定される使用目的、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、希少疾病用医療機器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

厚生労働大臣　殿

（注意）

1　用紙の大きさは、日本産業規格 A4 とすること。

2　この申請書は、正副２通提出すること。

3　字は、墨、インク等を用い、楷書ではっきり書くこと。

4　粉状又は液状の医療機器にあっては、形状、構造及び原理欄の記載を要しないこと。

別紙３(3)

希少疾病用再生医療等製品指定申請書

名　　称	
形状、構造、成分、分量又は本質	
製　造　方　法	
予定される用法及び用量又は使用方法	
予定される効能、効果又は性能	
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、希少疾病用再生医療等製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

厚生労働大臣　殿

（注意）

1　用紙の大きさは、日本産業規格 A4 とすること。

2　この申請書は、正副２通提出すること。

3　字は、墨、インク等を用い、楷書ではっきり書くこと。

別紙 4

希 少 疾 病 用 医 薬 品　試験研究
希 少 疾 病 用 医 療 機 器　製造販売　　中止届書
希少疾病用再生医療等製品　製　　造

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 機 器 / 希少疾病用再生医療等製品 の 試験研究 / 製造販売 / 製　造 中止の届出をします。

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

厚生労働大臣　殿

（注意）
1　用紙の大きさは、日本産業規格 A4 とすること。
2　この申請書は正副 2 通提出すること。
3　字は、墨、インク等を用い、楷書ではっきり書くこと。

Ⅱ　希少疾病用医薬品等の開発振興

１．優先審査について

希少疾病用医薬品（指定に際して優先審査・優先相談に該当するとされたものに限る。）、希少疾病用医療機器及び希少疾病用再生医療等製品に指定されたものは、できる限り早期に医療の現場に提供できるよう、通常、他の医薬品等に優先して承認審査がなされる。すなわち承認審査の各段階において、可能な限り承認審査順位が優先される。また、優先品目として扱われるため、承認審査期間は、行政側、申請者側の双方の努力により、令和８年度は、医薬品は原則 80%タイル値で９か月、医療機器は 10 か月、再生医療等製品は 50%タイル値で９か月を目標としている。

	優先品目	通常品目
新医薬品	９か月*	12 か月*
新医療機器	10 か月	14 か月*

*80%タイル値

	優先品目	通常品目
再生医療等製品	９か月*	12 か月*

*50%タイル値

２．医薬品申請手数料の減額

希少疾病用医薬品に指定された場合、PMDA における審査及び適合性調査に係る申請手数料が減額される。手数料については医薬品医療機器等法関係手数料令において定められており、最新情報については次のホームページに掲載の「医薬品申請手数料」を参照のこと。

厚生労働省による案内：

https://web.fd-shinsei.mhlw.go.jp/application/list_drug2.html

PMDA による案内：

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

新規承認（国＋PMDA（審査+適合性））（令和４年５月 20 日改正）

コード	手数料区分		
GAA	新薬その１（オーファン以外）	先の申請品目	46,901,700
GAB		規格違い品目	6,375,200
GAC	新薬その１（オーファン）	先の申請品目	35,810,400
GAD		規格違い品目	4,458,900

GAK	新薬その２（オーファン以外）	先の申請品目	21,329,800
GAL		規格違い品目	2,776,700
GAM	新薬その２（オーファン）	先の申請品目	16,302,000
GAN		規格違い品目	2,032,100

（単位：円）

３．PMDA における対面助言の優先制度及び手数料の減額

希少疾病用医薬品（指定に際して優先審査・優先相談に該当するとされたものに限る。）、希少疾病用医療機器及び希少疾病用再生医療等製品に指定された品目に係る承認申請前の試験研究の実施及び承認申請資料に関する治験相談は、優先的な適用を受けることができる。

すなわち、医薬品の通常品目の場合、「対面助言日程調整依頼書」の提出は原則毎月第一勤務日及びその前勤務日のみ可能であるが、希少疾病用医薬品に指定された医薬品については、随時「対面助言日程調整依頼書」を提出することができる。

また、希少疾病用医薬品に指定された場合は、通常品目に比べて治験相談の手数料が次のように減額される。最新情報については、PMDA ホームページに掲載の「対面助言等の手数料」を参照のこと。

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

治験相談の手数料（令和８年５月 29 日改正）

相談区分	希少疾病用医薬品	通常品目
医薬品第Ⅰ相試験開始前相談	3,441,000	4,578,500
医薬品前期第Ⅱ相試験開始前相談	1,320,200	1,752,800
医薬品後期第Ⅱ相試験開始前相談	3,592,900	4,784,300
医薬品第Ⅱ相試験終了後相談	7,134,300	9,497,400
医薬品申請前相談	7,130,100	9,497,400
医薬品追加相談	2,171,200	2,889,700

（単位：円）

４．再審査期間延長

希少疾病用医薬品及び希少疾病用再生医療等製品に指定され、承認された場合には、再審査期間が最長 10 年間付与される。なお、小児に対する用法・用量設定に関する開発を行う必要があると明らかに認められる医薬品については、調査期間を 2 年間延長し、最長で 12 年を超えない範囲とすることができる。

また、異種効能の追加を行った場合に新たに再審査期間が付与される場合には、基本的には下表のとおり設定される。

既存効能	追加効能	追加効能の再審査期間
① 一般効能（再審査期間８年） 残余４年以上 残余４年未満	 → 一般効能 → → 一般効能 →	 残余期間 ４年
② 一般効能（再審査期間８年）	→ オーファン効能 →	10 年
③ オーファン効能のみ(再審査期間 10 年)	→ 一般効能 →	５年 10 ヶ月
④ オーファン効能(再審査期間 10 年)	→ オーファン効能 →	10 年
⑤ オーファン効能＋一般効能(再審査期間 10 年)	→ 一般効能 →	４年

＊医薬薬審発 0227 第１号（令和８年２月 27 日付）

５．助成金交付事業

NIBN では、希少疾病用医薬品等の開発に必要な経費の助成を行っている。助成交付対象者は、医薬品医療機器等法第 77 条の２の規定に基づく厚生労働大臣の指定を受けた品目の開発企業等である。外国企業等であっても、指定を受け、我が国での医薬品等の製造販売承認申請のために試験研究を行おうとする場合には、一定の条件下で交付申請できる。原則として対象を希少疾病用医薬品等として指定を受けた日以降、承認申請までに行われる試験研究とする。ただし、承認申請後に実施される試験研究であっても、審査当局の指示に基づき実施するものなど、NIBN がその妥当性を確認し、助成金を交付することが必要であると認めた場合は、当該試験研究に係る経費も対象としている。

助成対象経費は、諸謝金、旅費、委託料等の試験研究に必要な経費、及び印刷製本費等の承認申請資料の作成に必要な経費である。助成金は助成対象経費の２分の１に相当する額を限度とし、助成期間は助成金の交付を開始した年度から原則として３年間である。

なお、本事業は「高度人材ポイント制による出入国在留管理上の優遇制度」において、加点の対象となっている。

高度人材ポイント制の申請を行う外国人が、希少疾病用医薬品等開発振興事業の支援措置を受けている企業等に就労している場合、特別加算としてポイントが加点される。

詳細については、次のホームページを参照のこと。

http://www.immi-moj.go.jp/newimmiact_3/index.html

（１）事務手続き

助成金交付に係る事務手続きは、次のとおり。

① 交付申請

申請者は、試験研究の目的・内容、事業計画、交付申請額、算定根拠、経費配分等を記載した助成金交付申請書により交付の申請を行う。

② 交付決定

NIBN は、①交付申請の内容をヒアリング等にて確認し、適正と認めたときは交付を決定し、申請者にその旨を通知した後、速やかに申請者と助成対象事業の実施等に関する契約を締結する。

③ 状況報告

NIBN は、助成対象事業の遂行状況を確認するため、申請者を対象とした実地調査を実施し、その結果を後述の④計画変更に反映する。

④ 計画変更等承認申請

申請者が助成対象事業の計画等を変更しようとするときは、計画変更の申請を行う。NIBN は、③状況報告の結果を踏まえ、適正と認めたときは計画変更等承認を通知する。

⑤ 実績報告

申請者は、原則として助成対象事業の完了した日から 15 日を経過した日、又は３月 31 日のいずれか早い日までに実績報告書を提出する。

⑥ 交付金額の確定

NIBN は、申請者を対象とした経理調査、及び⑤実績報告に基づいて助成金額を確定する。その確定した額を超える助成金が既に交付されているとき、申請者はその超過分を返還しなければならない。

（２）助成金交付申請における留意事項

助成金は国の補助金を財源としているものであるため、助成対象事業の実施にあたっては、「補助金等に係る予算の執行の適正化に関する法律（昭和 30 年法律第 179 号)」の規定に従い、目的外使用等の違法行為のないようにするほか、次の点に留意する必要がある。

①助成金交付は単年度方式であるため、助成対象事業が当該年度内に予定どおり実施されなかったときは、助成金の返還を求める場合もある。

②NIBN は、交付申請額及び支出実績額に対し、前述の法律に基づき査定する。申請者が用いる単価がこれを超える場合は減額査定となる。

（３）納付金

助成金の交付を受けた企業は、希少疾病用医薬品等から得られた収益の一部を、納付金として NIBN に納めることとなっている。NIBN は、企業からの納付金を希少疾病用医薬品等開発振興業務に充てることとしている。

各事業年度の納付金額は、前事業年度における売上高から１億円を引き、それを 100 で除した金額となる。希少疾病用医薬品等が製造販売の承認を受けてから 10 年間、又は希少疾病に対する追加効能の承認を受けてから 10 年間が納付対象となる。ただし納付金の合計額は、当該希少疾病用医薬品等について交付した助成金の合計額を限度とし

ている。

６．税制措置

NIBN では、租税特別措置法に基づき、助成金の交付対象期間に行われた希少疾病用医薬品等の特別試験研究費の認定を開発企業からの申請により行っている。この認定により、助成金交付を受けた希少疾病用医薬品等の試験研究費（NIBN からの助成金を除く）の 20%が控除額の対象となる。

７．指導及び助言

希少疾病用医薬品等の指定及び指定された希少疾病用医薬品等の臨床試験、承認申請等に関する指導・助言については、厚生労働省、PMDA 及び NIBN が連携して行っている。

問合せ先

指定申請（指定前）に関する相談	厚生労働省医薬局 医薬品審査管理課（医薬品） 医療機器審査管理課（医療機器・再生医療等製品）
指定後から製造販売承認申請までの開発支援等に関する相談	国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所 戦略研究支援部 開発振興・調整課
製造販売承認申請までの試験研究に関する相談	独立行政法人医薬品医療機器総合機構

Ⅲ　Ｑ ＆ Ａ

１．指定制度、承認申請及び審査等について

Ｑ 1:　一度指定申請して、指定を受けられなかった候補物質であっても、開発を進めて、指定基準の医療上の必要性の要件が明確になった場合など、再申請することは可能か。

Ａ 1:　可能である。

Ｑ 2:　候補物質は新規成分でなくてもよいのか。追加効能も指定申請できると考えてよいか。

Ａ 2:　既存成分の追加効能についても指定申請することができる。候補物質は新規成分に限らない。また、候補物質が複数の効能を持つことが期待される場合、その一部の効能についても指定申請することができる。

Ｑ 3:　海外でオーファンドラッグとして承認を受けている製品を導入する場合、国内における臨床開発の開始に先立って指定を受けることは可能か。

Ａ 3:　海外でオーファンドラッグとして承認を受けている医薬品であっても、そのことのみをもって指定の可否の判断を行うものではなく、他の場合と同様に指定基準を満たしているかどうかにより判断される。しかし、申請の際、海外データを用いることは可能であり、それらのデータにより指定基準を満たすことが示される場合には、国内における臨床開発の開始に先立って指定される場合もあり得る。

Ｑ 4:　同一効能に対して、２成分以上が指定されることはあるのか。また、一方が先に承認された場合、他方の指定が取り消されることはあるのか。

Ａ 4:　同一効能に対して、複数の異なる成分が申請される場合であっても、薬剤の特性（異なる作用機序、使われ方）、医療上の必要性に基づき、個別に指定の可否が判断される。そのため、同一効能に対して複数成分が指定されることもあり得る。一方が先に承認を取得したような場合、医療上の必要性に変化が生じたものと考えられるが、その場合の取扱いは個別に判断され、直ちに指定が取り消されるものではない。

Ｑ 5:　同一成分・同一効能に対し、別々に複数企業が開発を行っている場合、各々が指定を受けることは可能か。また、開発が早かった企業が承認を受けた場合、

他方は指定を取り消されるのか。

A 5: 可能である。すなわち、同一効能に対して同一成分が申請される場合であっても、各々の申請資料に基づき、個別に指定の可否が判断される。
同一成分・同一効能で複数品目の指定があり、どこか１社が他社よりも先に承認を取得したような場合には、医療上の必要性に変化が生じたものと考えられるが、直ちに指定が取り消されるものではなく、その場合の取扱いは個別に判断される。

Q 6: 指定を受け、その後開発中に対象患者数が５万人を超えたことが判明した場合は、指定の取消しを受けるのか。

A 6: 指定後に対象患者数が５万人を超えたことのみをもって、直ちに指定が取り消されるものではない。

Q 7: 基礎の早い段階のものは指定されないのか。

A 7: 基礎試験の段階であることのみをもって、指定しないと判断するものではない。しかし、他の場合と同様に指定基準を満たしているかどうかにより判断されるため、指定基準を満たすことを示す十分なデータが無い段階においては、指定が困難となることが予想される。

Q 8: 申請書の様式はどこに示されているのか。

A 8: 医薬品医療機器等法施行規則(昭和 36 年厚生省令第 1 号)で「希少疾病用医薬品指定申請書」(様式第 107(1))、「希少疾病用医療機器指定申請書」(様式第 107(2)、「希少疾病用再生医療等製品指定申請書」(様式第 107(3)) が示されている。
(厚生労働省 HP 参照：
http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html)

Q 9: 複数の効能がある場合、指定申請書の「予定される効能又は効果」欄の記載は、予定されるオーファン効能のみ記載すればよいのか。

A 9: 「予定される効能又は効果」欄には、予定されるオーファン効能のみの記載でよい。

Q10: 複数のオーファン効能を予定している場合にはどのような記載となるのか。

A10: 原則的には、承認申請を同時に行うことが想定される場合には、１申請と

して「予定される効能又は効果」欄に複数の効能を記載することになり、承認申請を効能ごとに行うことが想定される場合には、複数の指定申請を出すことになる。

Q11：　添付資料については示されているのか。

A11：　下記の資料について、簡潔にまとめてもらいたい（Ⅰ章３．参照）

ア．対象者数に関する資料

わが国における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

指定申請時において入手可能な以下に関する資料の概要

（例えば、医薬品の場合は次の資料の概要）

イ）起原又は発見の経緯及び外国における使用状況等に関する資料

ロ）製造方法並びに規格及び試験方法等に関する資料

ハ）安定性に関する資料

ニ）薬理作用に関する資料

ホ）吸収、分布、代謝、排泄に関する資料

ヘ）急性毒性、亜急性毒性、慢性毒性、催奇形性その他の毒性に関する資料

ト）臨床試験の成績に関する資料

エ．開発計画（開発の可能性を判断するための資料）

現在までの開発状況、予定している試験項目、試験期間など開発計画の概要を説明する資料

オ．希少疾病用医薬品等概要

部会説明用資料及び公表用資料として、希少疾病用医薬品等概要を作成する。

（厚労厚生労働省 HP 参照：

http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html ）

Q12：　１年に何品目ぐらい指定されるのか。

A12：　指定基準に合致するものであれば指定を行うこととしており、年間の指定品目数は限定していない。

Q13：　指定のスケジュールはどのようになっているのか。

A13: 希少疾病用医薬品等の指定申請については、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課で常時受け付けている。指定申請は医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課と指定申請前の相談を十分に行った上で実施する。指定申請前の相談は、医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課の希少疾病用医薬品等の指定業務を担当する担当官に連絡し、相談日程の調整等を行い実施する。相談を踏まえて指定申請資料が確定したら、希少疾病用医薬品等の指定申請を行う。指定申請後、厚生労働省での審査を経て薬事審議会での審議を受けて指定が行われる。指定時には申請者宛てに指定書が郵送され、また、厚生労働省告示として、指定された旨が官報に掲載される。なお、指定申請の相談から指定申請までの期間は、品目や指定申請資料の確認や整備に要する時間が異なるので示せないが、申請資料の大幅な修正等が必要ない場合、おおむね３～６か月程度である。指定手続きの流れの詳細については、厚生労働省のウエブサイト
（http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html ）
で確認できる。

Q14: 治験としての臨床成績がなくとも、臨床研究や臨床使用により既存の医薬品等と比較して、著しく高い有効性もしくは安全性が期待される報告がなされている場合、当該報告を根拠資料として指定申請し、指定を得ることは可能か。

A14: 信頼される学術雑誌に掲載された報告等を用いて、既存の医薬品等と比較して優れた有効性もしくは安全性が期待されることを示すことができるとともに、その他の指定基準が満たされていると判断できる場合には、治験としての臨床成績がなくても指定される場合がありうる。

Q15: 海外（米国など）でオーファン指定されなかった場合でも、日本の指定基準を満たしていれば指定は認められるのか。

A15: 認められる。

Q16: 疾患としては患者数が多いものでも、コンパニオン診断薬等とあわせて用いることで、薬事承認範囲の対象者数が５万人未満まで絞られるような場合は、希少疾病用医薬品の指定を受けられるのか。

A16: コンパニオン診断薬等による対象患者対象の絞込みに明確な医学・薬学的根拠があり、そのコンパニオン診断薬等と合わせて当該医薬品の薬事承認を得ることが明確な場合、指定は認められる。

Q17: 希少疾病用医薬品等の指定申請後、部会の資料搬入までの間に、当局審査により申請書の記載事項（例えば、使用価値が特に優れていると判断する理由）又は添付資料に修正が生じた場合、どのような手続きをとれば良いのか。

A17: 医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課の指示に従い、部会の資料搬入前に差替えを行うこと。

Q18: 開発計画を変更した際にどのような対応が必要となるか。

A18: 指定申請時に添付した開発計画を変更した場合、指定前は速やかに医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課に相談すること。

Q19: 指定を受けた後に指定内容に以下の変更があった場合の手続きはどのようにすればよいか。

①指定を受けた品目を持つ企業が合併し、会社名が変わった場合

②企業が倒産した場合

③他の企業に品目開発権利を譲渡した場合

A19: 速やかに医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課に相談し、指示に従うこと。なお、助成金交付を受けている/受けていた場合、別途、NIBN にも連絡すること。

Q20: 希少疾病用医薬品等の指定を受けた医薬品等に係る開発の権利を他社から譲渡された場合に、譲渡を受けた企業が引き続き希少疾病用医薬品等として開発を継続する場合には、どのような事務手続きが必要か。

A20: まだ開発中のものについては、既に指定を受けている企業と、譲渡をこれから受ける企業の両社の手続きが必要。譲渡する側は中止届と経緯を説明する報告書、譲渡を受ける側からは、両社で合意に至っていることを説明する陳述書を医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課に提出すること。一方、承認後については、特に事務的な手続きは必要ない。なお、助成金交付を受けている/受けていた場合、別途、NIBN にも連絡すること。

Q21: 希少疾病用医薬品等として指定を受けた際の予定される効能又は効果の範囲を超えた効能又は効果について、承認申請をすることは可能か。

A21: PMDA 及び医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課に承認申請前に余裕を持って相談すること。

Q22: アカデミア等が希少疾病用医薬品等の指定申請をすることは出来るのか。

A22: 医薬品医療機器等法第 77 条の２第１項に、「厚生労働大臣は、（中略）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。）から申請があったときは、（中略）指定することができる。」とあり、指定申請をする者は、製造販売をしようとするものに限られる。

Q23：　希少疾病用医薬品等の製造販売を中止しようとするときは、あらかじめ、厚生労働大臣に届けなければならないとされているが、具体的にどのように届け出るのか。

A23：　速やかに希少疾病用医薬品/希少疾病用医療機器/希少疾病用再生医療等製品試験研究/製造販売/製造　中止届書を厚生労働省医薬局医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課に提出すること。

Q24：　希少疾病用医薬品等　試験研究/製造販売/製造　中止届書を提出せず、薬価上の供給停止に関する手続きのみで供給を停止してしまった場合にはどのような手続きが必要なのか。

A24：　速やかに厚生労働省に連絡すること。

２．指導・助言について

Q 1：　希少疾病用医薬品の治験に係わるデザインや評価方法等についての、指定後の指導・助言はどのように行われるのか。

A 1：　希少疾病用医薬品（指定に際して優先審査・優先相談に該当するとされたものに限る。）の指定効能に限っては、PMDA では優先対面助言品目として扱われ、対面助言により治験の実施計画に係る相談、指導・助言が行われる。なお、指定前にあっては通常の対面助言の扱いとなる。優先対面助言品目の日程調整は、通常の品目が月１回の申し込みであるのに対して、随時申し込みが可能である。また、助成金交付を受けている場合、開発企業あるいは NIBN の要望により、優先対面助言相談に NIBN 担当者が同席する場合もある。優先対面助言後、開発企業より開発上の疑問点等があれば、NIBN 担当者が相談に応じる。

Q 2：　指導・助言を受ける場合の手数料について教えてほしい。

A 2：　厚生労働省で実施している指定申請（指定前）に関する相談（指定相談）及び NIBN で実施している相談は無料である。PMDA における優先対面助言では手数料が必要である。手数料の具体的な金額については PMDA のウエブサイト（https://www.pmda.go.jp/review-services/drug-reviews/user-fees/0001.html ）で確認できる。なお、優先対面助言に係る手数料は助成金の対象となる。

Q 3: NIBN ではどのような相談を受け付けているのか教えてほしい。

A 3: オーファンの開発に関する全般的な内容を受け付けている。相談内容によってはNIBN に所属する PO（プログラム・オフィサー）が同席し、承認申請に向けた指導・助言を実施している。また、適切な関係機関を紹介することもある。年に４回の個別相談会を実施しているほか、随時メールや電話、WEB を用いた相談を受け付けている。

３．助成金について

Q 1: 助成対象期間は、原則として３事業年度までとなっているが、２年目以降の助成金交付申請はいつ行えばよいのか。

A 1: ５月頃に NIBN が実施する募集に毎年度申請することが必要である。詳細はホームページにて確認されたい。

Q 2: すでに別の公的な助成金を受けている場合、助成金の交付申請をすることは可能か。

A 2: 可能である。申請書（様式１）の「助成金交付経験の有無」に交付を受けている助成金を記載してほしい。また、本助成対象となる試験研究を明確にし、一つの経費が複数の助成の対象となることがないよう、留意していただきたい。また、製造販売をしようとする者ではない者が担当する治験（例えば、医師主導治験等）に対して、他の公的な助成を受けている場合も、会計上の明確な区分が必要となるため、適宜相談されたい。

Q 3: 共同開発の場合、助成金の交付申請は各試験研究実施者が別々に行うのか、それとも１社が代表して行うのか。また、各社別々に申請を行った場合、助成金は試験研究実施者それぞれに交付されるのか。

A 3: 助成金交付申請は各試験研究実施者それぞれ又は共同で行うことで差し支えない。別々に申請する場合は、各試験研究実施者が担当する試験研究を明確にし、一つの指定の中で助成対象経費が重複して申請されることがないよう、留意していただきたい。なお、申請毎に契約書を締結し、助成金は契約書毎に交付される。共同研究者が指定を受けている場合において、指定を受けていない試験研究実施者は助成金の交付対象とはならない。

Q 4: 助成対象期間（３事業年度）とは、NIBN の事業年度か。もしくは試験研究実

施者の事業年度か。

A 4: NIBN の事業年度（４月１日～翌年３月 31 日）である。

Q 5: 年度途中にオーファン指定を受けた場合、指定を受けた年度は助成金交付申請を見送り、その翌年度以降に助成金交付申請を行った場合、交付対象期間は交付を開始した年度から３年間と考えて差し支えないか。

A 5: 差し支えない（助成対象期間は、原則として交付を開始した時から３事業年度である）。

Q 6: 助成対象期間は原則として３事業年度までとなっているが、３事業年度を超えて助成金交付が認められるのはどのような場合か。

A 6: 例えば、やむを得ない事情により治験薬の供給が停止したために治験に遅れが生じた場合等、NIBN が引き続き助成金を交付することが必要であると認めた場合は助成金の交付期間が延長されることがある。

Q 7: 申請金額（助成対象として計上する金額）の上限及び交付金額の上限について教えてほしい。

A 7: 助成金交付申請時における申請金額の上限額は、特に定められていない。申請年度内に必要と見込まれる額（支出予定額）を計上することで差し支えない。助成金交付額の上限は、計上経費の合計金額の２分の１であるが、必ずしも助成対象経費の 50%が交付されるわけではなく、交付金額は国からの予算の範囲内で各申請者からの計上経費の合計金額に応じて傾斜配分している。なお、ウルトラオーファン（対象者数が１千人未満）及びベンチャーを含む中小企業からの申請品目に対する交付金額については、他の申請品目よりも配慮している。

Q 8: 年度途中にオーファン指定を受けた場合、指定を受けた年度の助成金交付対象経費は、指定日から翌年の３月末日までに実施した試験研究に係る費用と理解して差し支えないか。

A 8: 差し支えない。大臣指定日以降に発行された申請者への請求書の試験研究費が助成対象となる。

Q 9: 計上経費の請求書は３月 31 日までに発行されるものの、支払いは翌月以降になる場合、助成対象経費として認められるか。

A 9: ４月第１週目に実績報告書の提出が必要であるため、速やかに支払いを行なっていただきたいが、NIBN に相談されたい。

Q10: 助成対象経費として計上したものの、申請年度内に支払われなかった経費が生じた場合、翌年度に繰り延べることが可能か。

A10: 単年度毎に計上された助成対象経費に基づき、助成金が支払われるため、計上したものの支払いが行われなかった場合、同じ経費を来年度に再度計上することはできない。なお、計上したものの支払いが行われなかった場合は、返還金が発生する可能性があるため、速やかにNIBNに連絡されたい。

Q11: 助成金の一部返還に関して、当該返還金を次年度の助成金と相殺することは可能か。

A11: 助成対象事業は単年度ごとに完了するため、次年度の助成金と相殺することはできない。

Q12: 開発の遅れ等によって助成対象経費の支出額が予定より大幅に減少する場合、どのような手続きが必要か。

A12: 大幅な開発の遅延（変更）が生じることが判明した時点で、速やかにNIBNに相談し、10月から11月頃に実施される進捗調査で説明の上、試験計画の変更を試験研究計画変更等承認申請書（様式３）に反映していただきたい。

Q13: 助成対象事業の帳簿とは具体的にはどのようなものか。

A13: 希少疾病用医薬品等の研究開発に係る経費と他の事業に係る経費を明確に区分したもので、助成対象経費の費目ごとに記載したものをいう(Q14参照)。

Q14: 助成対象事業について、収支状況をどのように記録すればよいか。

A14: 助成対象事業に係る経費を他の経費と明確に区分して収入・支出の状況を記録した帳簿を備え、当該証拠書類を整備し、これらを事業完了後５年間保存すること（Q13参照)。

Q15: 助成金について、受入・支払専用の預金口座を設ける必要はあるか。

A15: 専用口座まで設ける必要はない。

Q16: 領収書等を社内の規定により一括して保管している場合、助成対象事業に係る証憑書類は、どのように保管・管理すればよいか。

A16: 個々の計上経費については、経理調査でその妥当性と適切性を確認することになる。証憑書類（見積書、請求書、支払伝票等）の写しを支出簿（帳簿）の項目別に整理し、また契約書がある場合は、その写しと共に、支出簿の内容と照

合できるよう保管・管理していただきたい。

Q17: 助成金に係る消費税仕入控除税額が確定し、助成金対象経費に消費税額が含まれていることが判明した場合、NIBN に返還しなければならないか。

A17: 実績報告書を NIBN に提出後、当該実績報告書に記載された助成対象経費支出実績額に消費税相当額が含まれていることが判明した場合には、NIBN に報告されたい。必要があると認められるときは、当該消費税相当額の全額又は一部を返還しなければならない。

Q18: 何らかの理由により開発を中断せざる得なくなった場合、その時点までに交付された助成金は返還しなければならないか。

A18: 助成対象事業が、交付決定時に通知した交付の条件に従い、適正に実施されていた場合に限り、開発を中断した時点までに交付された助成金について返還する必要はない（Q19 参照)。

Q19: 助成金を受けた品目がオーファン指定を取り消された場合、助成金を返還する必要はあるか。

A19: 当該助成金交付品目が不正の行為等の理由により医薬品医療機器等法第 77 条の６に基づき指定の取消し処分を受けた場合を除き、交付決定時に通知した「交付の条件」等に従い、助成対象事業が適正に実施されている限りにおいては、指定を取り消されても助成金の返還を求めることはない（Q18 参照)。

Q20: 助成金を受けている品目について、現行の指定を受けた効能・効果を含む、より広い効能・効果で、新たに指定を取得することになった（現行の指定は取り消し)。この場合、交付申請においてどのように対応するべきか、確認したい。

A20: 過去に交付申請を受けている、もしくは現在交付申請を受けているのであれば、原契約に対する覚書の締結・交付申請書の変更等の対応を行う必要があるため、NIBN に報告・相談すること。

Q21: 交付申請を受けている指定品目に関し、Q20 のような従来の指定を取り消し、新たに指定を取得するような指定の付替えが行われた場合、付替えを行った日を起点として 3 年間、新たに助成を受けることは可能であるのか。

A21: すでに助成をしていることを踏まえ、付替えを行った日を起点として助成を受けることはできず、初回の交付申請年度を起点として 3 事業年度の助成となる。

Q22: 助成対象経費として計上可能な経費の対象期間について教えてほしい。
例えば、11 月 14 日付で希少疾病用医薬品の指定を受けた場合、11 月 1 日付で請求書が発行され、11 月 30 日に支払をした経費は助成の対象として認められるか。

A22: 原則、請求書の日付が希少疾病用医薬品等として指定を受けた日以降、助成対象事業が完了した日（助成金交付申請年度の３月末日又は承認申請日）までのものである。例示の場合は、請求書の発行日が指定日前であることから、助成対象経費とは認められない。

Q23: 助成金申請金額は消費税込みかそれとも税抜きとなるのか。

A23: 旅費のうち交通費を除き、消費税抜きである。

Q24: 医師主導治験は助成対象経費として認められるか。

A24: 当該治験の結果を承認申請資料とし、申請者が負担することが契約書等で確認できる場合は助成対象経費として認められる。ただし、当該治験に対して他の公的な助成を受けている場合は、会計上の明確な区分が必要となるため、適宜相談されたい（Q2 参照）。

Q25: 海外で非臨床試験や臨床試験を実施した場合、その費用は助成対象経費として認められるか。

A25: 日本での承認申請時の添付資料として使用する場合等、助成金交付事業の目的に沿うものであれば助成対象経費として認められる場合がある。

Q26: 海外に委託する非臨床試験や臨床試験の費用について、整備・保管すべき経理関係書類は、どのようなものか。

A26: 委託先との契約書・請求書、委託料の領収書、送金の記録等の証拠書類を整備・保管する必要がある。

Q27: 海外企業と共同して日本企業が希少疾病用医薬品等の開発をしており、希少疾病医薬品等の指定を受けた企業は日本企業となっている場合において、試験研究費の請求先・支払元が海外企業である場合、交付申請を行うことは認められるか。

A27: 認められる場合があるが、支払い状況の詳細等を確認する必要があるため、交付申請をする前に NIBN に相談すること。

Q28　助成金交付申請年度内に製造販売承認申請を予定している場合、承認申請後の経費について助成対象として認められるか。

A28: 原則、承認申請後の経費は助成対象とはならない。ただし、次の経費は助成対象として認められる場合がある。

① HIV 治療薬等において承認条件として課せられた製造販売後臨床試験。

② 厚生労働省から医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬として開発要請又は開発企業の募集がされた医薬品であって、製造承認申請後も継続して投与が必要と判断される医薬品の費用。ただし、承認申請した年度の年度末までの費用となる。

③ 承認申請後に追加資料として提出することを PMDA と合意している長期安定性試験の費用。ただし、承認申請した年度の年度末までの費用となる。

Q29: 借料及び損料について、懇親会等の会議は対象外とされているが、この場合の諸謝金は助成対象経費として認められるか。

A29: 助成対象事業以外の目的の会議については、謝金・会議費ともに認められない。また、午後５時以降開催する会議は、特別な理由がない限り懇親会とみなされ、助成対象として認められない。

Q30: 諸謝金・旅費について、計上金額の基準はあるか。

A30: 会社の規定に従って支払われた金額を申請することで問題ない。ただし、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所の規定に準じた額にて査定されることになる。

Q31: タクシーを使用した料金は、計上経費として認められるか。

A31: 旅費としての計上は、認められない。ただし、特別な事情がある場合は NIBN へ相談されたい。

Q32: 旅費を計上した場合、どのような証拠書類が必要か。

A32: 助成金交付対象品目の開発に関する旅費支給であることが客観的に確認できる書類（出張報告書、モニタリング報告書等）を証拠書類として保管しておく必要がある。

Q33: 委託先から請求される交通費、消耗品等の実費請求は委託費として計上して差し支えないか。

A33: 委託先との契約書に基づくものであれば、委託料に含めて差し支えない。

Q34: 進捗調査の具体的な実施方法を知りたい。

A34: 進捗調査では、申請（ヒアリング）時からの試験研究計画の実施状況や更新・変更について、資料（パワーポイント）を用いて説明を求める。試験研究計画の更新・変更については、試験研究計画変更等承認申請書（様式３）による届けを求め、これに基づき助成金の概算払いの金額を決定する。調査では、質疑応答に加え、治験薬概要書や試験実施計画書等を確認する場合もある。進捗調査は原則として実地又は Web を用いて行うが、概ね順調な進捗が見込まれる場合は書面で実施する場合もある。

Q35: 経理調査の具体的な実施方法を知りたい。

A35: 本助成金交付事業は「補助金等に係る予算の執行の適正化に関する法律」の適用を受けるため、計上経費における妥当性と適切性を確認する必要がある。そのため、経理調査では計上経費に関する契約書や証憑類（見積書、請求書、支払伝票や納品書等）の確認を行う。また、調査時において予定で計上された経費（未払いの経費）については、計上金額の妥当性について説明を求める。調査にあたっては、支出簿（総括表、費目別）（様式５－１～５－11）を準備していただきたい。経理調査は原則として実地で行う。

Q36: 実績報告書（様式５）及び支出簿（様式５－１～５－11）には、実際に会社が支払った経費処理額を記載するのか。

A36: そのとおりである。助成対象として計上した経費（第 1 号様式（申請書）又は第３号様式（試験計画変更等承認申請書）にて申請した経費）について、実際に支払った経費の金額を消費税抜きで記載する。なお、旅費のうち交通費については税込み金額で差し支えない。また、助成の対象となった全ての経費について、実績報告書に記載する必要がある。

Q37: 実績報告書（様式５）に添付すべき証憑書類について教えてほしい。

A37: 経理調査時にて未確認の契約書の写しや、助成対象経費における証憑書類（請求書の写し等）の添付が必要である。

Q38: 助成を受けた品目が承認された場合、納付金の納付期間と納付額を教えてほしい。

A38: NIBN から助成金を交付された品目が承認された場合、売上の一部を納付金として NIBN に納入することになっている。納付期間は製造販売承認から 10 年間で、納付金の合計額は交付された助成金の合計額を限度としている。納付金

の計算式は次のとおりである（Q36 参照）。
年間の納付金＝（年間売上高－１億円）×１／100
なお、前年度の売上高が１億円未満の場合、年間の納付額は０円である。

Q39:　納付金の売上高とは何を指すのか。

A39:　工場出荷額又は輸入額をいう（Q35 参照）。ただし工場出荷額で算出が困難な、薬価×販売数量で差し支えない。

Q40:　売上高報告では、日本国内の売上だけではなく、海外での売上高も含む必要があるのか。

A40:　原則、日本国内の売上高のみで差し支えない。

Q:　納付手続のスケジュール及び提出書類について教えてほしい。

41

A:　各企業の事業年度が終了した日以降に、助成を受けた品目の年間の売上高の報

41　告を求め、納付金が発生する場合は、納付金徴収通知書（様式 11）に示す期限までに納付することとなる。
希少疾病用医薬品等売上高報告書（様式 10）及び、薬事工業生産動態統計調査の報告書などの売上高の根拠となる資料（証憑書類）を提出すること。

Q:　次の場合における売上高の報告対象について教えてほしい。

42　**① 助成金交付を受けて開発されたオーファン効能により初めて製造販売承認を受けた医薬品等に、助成金交付を受けずに開発された効能が追加された場合**
② 既に製造販売承認を与えられている医薬品等に、助成金交付を受けて開発されたオーファン効能が追加された場合
③ 助成金交付を受けて開発されたオーファン効能とそれ以外の効能について、効能別の売上高を明確に分離できない場合等

A:　次のとおりであるが、個別に NIBN に確認されたい。

42　① 最初に承認されたオーファン効能に係る売上高に加え、追加された助成金交付を受けずに開発された効能に係る売上高も対象となる。
② 助成金交付を受けて開発されたオーファン効能に係る売上高のみが対象となる。この場合であって、さらに助成金交付を受けずに開発された効能が追加された場合、追加された効能に係る売上高は対象とはならない。
③ 投与対象者数等により按分して算出する。

Q: 助成金交付品目を他社に承継する場合、どのような手続きが必要であるか。
43

A: 助成金交付を受けた企業は、事前に NIBN に連絡されたい。NIBN と承継先企業
43 との間で新たに契約を締結する必要がある。また、製造販売承認された品目を承継する場合にも、納付金の納付について、承継先企業と NIBN との間で新たな契約の締結が必要であり、事前に NIBN に連絡されたい。

Q: 売上高報告の期間内において、助成金交付を受けた品目をやむを得ず承認整
44 理することになった場合には、どのような対応が必要か。

A: NIBN に事前に相談いただきたい。
44

４．税額控除に係る特別試験研究費の額の認定について

Q 1: 助成金が交付されなくても認定申請をすることは可能か。

A 1: 認定申請は、NIBN の助成金交付を受けることが前提となる。

Q 2: なぜ、特別試験研究費の認定は、NIBN の助成金交付を受けた試験研究に限定されるのか。

A 2: NIBN の助成金交付対象となった試験研究については、助成金交付事業を通じて、試験研究の内容やその費用に関する情報を把握しており、これらの情報に基づいて、助成金交付に係る特別試験研究費の額について適正な認定が可能であると期待されているからである。具体的には、毎年度提出される実績報告書から認定の対象期間における試験研究費の総額が把握できることから、認定申請に係る特別試験研究費の額についても正確、かつ迅速に調査し得るからである。

Q 3: 認定申請書の提出時期について教えてほしい。また、申請から認定書の交付までに要する期間を教えてほしい。

A 3: 認定申請書の提出期限は、試験研究実施者における事業年度終了日の翌日から１か月以内である。認定書は通常１か月程度で交付される。

Q 4: 認定申請にはどのような証拠書類（領収書等）を添付すれば良いか。

A 4: 助成金交付品目の試験研究に係る費用として支出したことを証する伝票の添付が必要である。

Q 5:　助成金対象経費と認定申請対象経費は同一の基準で算定するのか。

A 5:　同じ費目に該当するものは同一の基準で算定すること。

Q 6:　希少疾病用医薬品等以外の効能・効果を予定している場合、ある試験のデータの一部を希少疾病用医薬品等の申請に使用するとその費用の取扱いはどうなるか。

A 6:　認定申請書の様式２に共通費用として、希少疾病用医薬品等に関する試験研究への按分方法を記入するものとする。

Q 7:　海外出張旅費について、認定申請に含めて差し支えないか。

A 7:　助成金交付品目の試験研究に必要な用務であることが NIBN で確認できた場合に限り差し支えない。

Q 8:　特別試験研究費の認定に関して、企業担当者の人件費は認められるのか。また、認められる場合、添付すべき資料について教えてほしい。

A 8:　認められる。必要な資料は、特別試験研究従事月報（様式２－1）及び特別試験研究従事日誌を(様式２－２)を添付のこと。

Q 9:　人件費には、賞与、退職金等の引当金や法定福利費も含まれるのか。

A 9:　損金算入される、該当試験研究に携わる者の賞与、退職金等の引当金及び法定福利費は人件費に含まれる。

Q10:　認定申請をするにあたり、様式 2 の税理士等による申請内容の確認欄における「税理士等」はどのような職種・職位の方が該当するのか、確認したい。

A10:　第三者的な立場からの確認、専門的な知識及び経験を有する方からの確認を受ける必要があり、税理士、公認会計士、監査法人、監査役又は監査委員などが該当する。

参考資料

1. 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案要綱
（平成 5 年）

2. 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案に対する附帯決議
（平成 5 年 4 月 2 日衆議院厚生委員会）
（平成 5 年 4 月 20 日参議院厚生委員会）

3. 希少疾病用医薬品等にかかる薬事法条文
（昭和 35 年 8 月 10 日　法律第 145 号　平成 18 年法律第 69 号による改正まで）

4. 希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器関連通知等
薬事法改正関連

4-1 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（依命通達）
（平成 5 年 8 月 25 日　発薬第 213 号）

4-2 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　薬発第 725 号
平成 6 年 3 月 31 日　薬発第 333 号　一部改正
平成 7 年 6 月 26 日　薬発第 600 号　一部改正
平成 12 年 12 月 27 日　医薬発第 1324 号　一部改正
平成 18 年 3 月 31 日　薬食発第 0331004 号　一部改正

4-3 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(通知)
平成 5 年 10 月 1 日　薬新薬第 92 号
平成 12 年 12 月 27 日　医薬審第 1813 号　一部改正
平成 16 年 2 月 27 日　薬食審査発第 0227016 号　一部改正

4-4 薬事法施行規則の一部を改正する省令の施行について
（平成 18 年 3 月 31 日　薬食発第 0331004 号）

4-5 希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて
令和 2 年 8 月 31 日　薬生薬審発 0831 第 7 号、薬生機審発 0831 第 7 号
令和 6 年 1 月 16 日　医薬薬審発 0116 第 1 号、医薬機審発 0116 第 1 号　一部

改正

4-6　希少疾病用医薬品の指定に関する取扱いについての質疑応答集（Ｑ＆Ａ）について

令和 6 年 1 月 16 日　事務連絡

4-7　優先審査等の取扱いについて

令和 2 年 8 月 31 日　薬生薬審発 0831 第 1 号、薬生機審発 0831 第 1 号

令和 6 年 1 月 16 日　医薬薬審発 0116 第 2 号、医薬機審発 0116 第 2 号　一部改正

4-8　再審査期間の取扱いについて

令和 2 年 8 月 31 日　薬生薬審発 0831 第 16 号

令和 6 年 1 月 16 日　医薬薬審発 0116 第３号　一部改正