

# オーファン開発支援

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

患者さんのために、一日でも早く医療の場へ！



国立研究開発法人  
医薬基盤・健康・栄養研究所

*National Institutes of  
Biomedical Innovation, Health and Nutrition*



## 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

# とは？

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第77条の2第1項の規定に基づき、厚生労働大臣から以下の要件を満たすものとして指定を受けたもの。

### 指定要件

- ① 日本での対象患者さんが5万人未満であること。  
または、その用途が難病の患者に対する医療等に関する法律第5条第1項に規定する指定難病であること。
- ② 医療上、特にその必要性が高いこと。
- ③ 開発の可能性が高いこと。

### 指定リスト

[https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/orphan\\_support/index.html#hyodata001](https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/orphan_support/index.html#hyodata001)



## 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

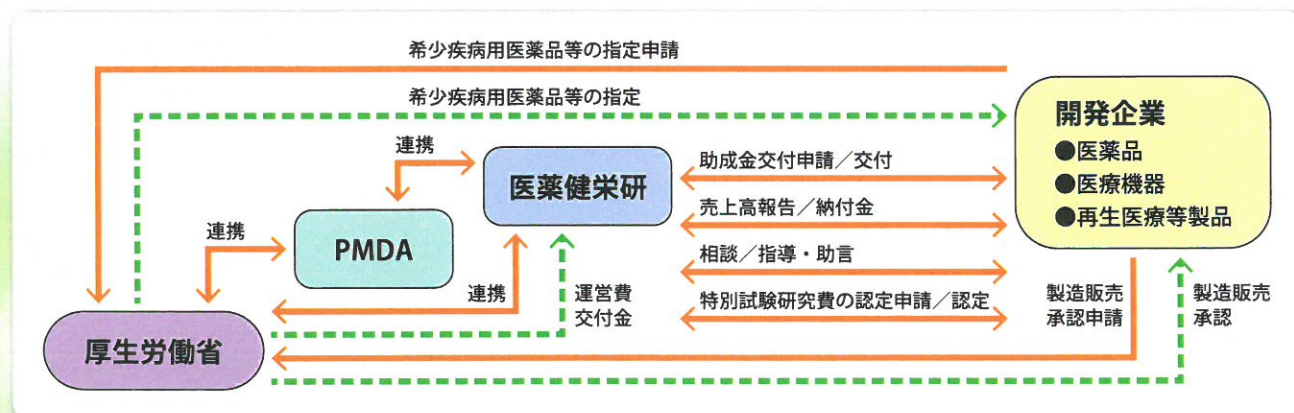
### の指定を受けるメリットは？

### 医薬基盤・健康・栄養研究所によるもの

- ① 開発に必要な試験研究費への助成金の交付
- ② 試験研究に対する指導・助言
- ③ 試験研究費に対する税制措置上の申請額の認定事務

### 厚生労働省、医薬品医療機器総合機構 (PMDA) によるもの

- ① 優先的な治験相談、優先審査の実施
- ② 再審査期間の延長





# 医薬基盤・健康・栄養研究所による支援

## ① 開発に必要な試験研究費への助成金の交付

希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器または希少疾病用再生医療等製品を開発する企業に対し、その開発に必要な経費に充てるための助成金を交付します。助成金の交付対象となるのは、厚生労働大臣指定を受けてから製造販売承認申請を行うまでに必要な試験研究に要する直接経費で、助成額はこの経費の2分の1に相当する額が限度となります。

### 交付実績

<https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/files/orphangrant.pdf>



## ② 試験研究に対する指導・助言

希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器または希少疾病用再生医療等製品の開発支援のため、厚生労働省および医薬品医療機器総合機構と連携して、指導・助言を行っています。また、医薬品等の開発に関する専門的な知見を有するプログラムオフィサーによる製造販売承認取得を目指した指導・助言や出張相談を行っています。

## ③ 試験研究費に対する税制措置上の申請額の認定事務

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、希少疾病用医療機器または希少疾病用再生医療等製品の試験研究に要した費用について、開発企業からの申請に基づき額の認定を行います。この認定により、助成金交付を受けた希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器または希少疾病用再生医療等製品の試験研究費総額(医薬基盤・健康・栄養研究所の助成金を除く)の一定割合が控除額の対象となります。

## 助成金に関するFAQ

**Q1** 助成金交付申請の時期はいつですか？

**A1** 年2回申請を受け付けており、例年1回目は5月初旬から5月末まで、2回目は11月から翌年1月初旬までです。助成対象期間は原則3事業年度ですが、毎年度での申請が必要です。

**Q2** 助成金交付申請の対象経費はいつからいつまでに発生した費用ですか？

**A2** 申請初年度においては、希少疾病用医薬品等として厚生労働大臣の指定を受けた日以降に発生した経費が助成金の対象となります。また、年度途中で製造販売承認申請に至った場合を除いて、3月31日までに発生した経費が対象となります。

**Q3** 助成金額はどのように各申請品目に配分されるのですか？

**A3** 助成金の交付額は、各開発企業からの助成金交付申請を受けて、試験研究の内容、目的、経費、試験計画等を調査した上で決定し、助成対象費用の2分の1を限度として予算の範囲内で配分されます。

**Q4** 助成金の交付を受けた希少疾病用医薬品等が製造販売承認を受けたら、納付金を納めないといけないのですか？

**A4** 納付金額は次の計算式で算出され、限度額は交付された助成金の総額で、売上高の報告期間は製造販売承認を受けた日から10年間です。

$$\text{納付金} = (1 \text{ 事業年度の売上高} - 1 \text{ 億円}) \times 1/100$$

なお、1事業年度の売上高が1億円以下の場合の納付金は0円です。



詳細は

nibiohn

検索

→ 「医薬健康研トップページ」

→ 「研究支援部」 → 「希少疾病用医薬品等開発振興事業」  
をご参照ください。



[https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/orphan\\_support/index.html](https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/orphan_support/index.html)

問い合わせ先

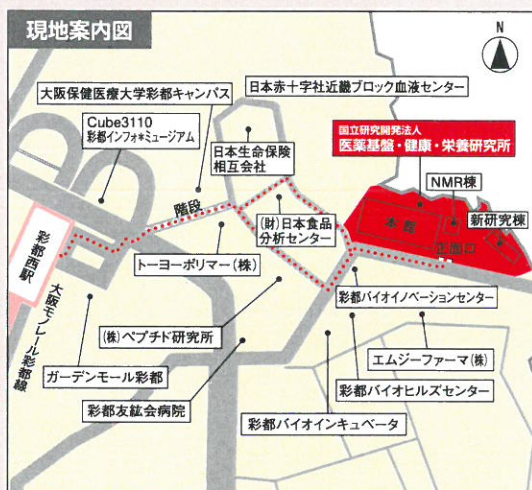
国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所

研究支援部開発振興・調整課

〒567-0085 大阪府茨木市彩都あさぎ 7-6-8

電話：072-641-9804 E-mail：kisho-ph@nibiohn.go.jp

### 国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所 案内図 & ルート図



### 交通のご案内

【電車】 北大阪急行「千里中央」駅下車  
大阪モノレール『彩都西』行き乗車  
(所要時間19分)  
終点『彩都西』下車 徒歩10分

【タクシー】 「千里中央」駅から約20分、  
「北千里」駅から約15分

【自家用車】 名神高速道路 茨木インターから約15分  
吹田インターから約15分

## 希少疾病治験ウェブ(患者さま向け情報) への登録にご協力を!

患者さん及びその家族の皆さま、診療されている医療機関の皆さまに役立つよう、希少疾病を治療するための医薬品、医療機器又は再生医療等製品の治験実施状況を公開しています。

<https://www.nibiohn.go.jp/activities/center-rare-disease-research/chiken.html>



【問い合わせ先】

国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所

難病・免疫ゲノム研究センター 難病情報資源研究室

E-mail：raredis-office@nibiohn.go.jp

電話：072-641-9016