

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

# 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。

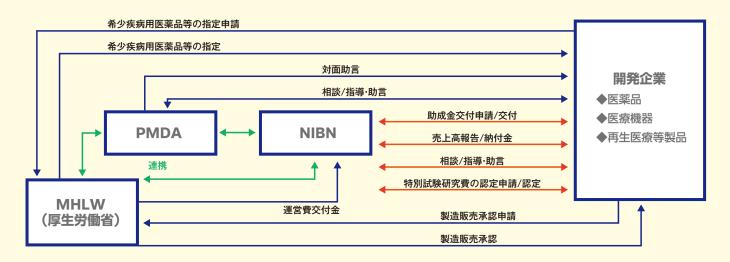
### 指定要件

- 1.日本での対象患者数が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。

# 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(NIBN)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(NIBN)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

- ●交付対象は、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。
- ●助成額は、予算の範囲内で、試験研究費の1/2相当額まで。
- ●助成期間は、原則最大3年間。

#### 2.試験研究に対する指導・助言

- ●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WEB相談。
- ●厚生労働省および医薬品医療機器総合機構と連携した指導・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

- ●租税特別措置法に基づいた試験研究に要した費用の認定。
- ●税額控除額は、「試験研究費総額一助成金交付額」の一定割合相当額。

詳細は

nibn



をご参照ください。

医薬健栄研トップページ 戦略研究支援部 

希少疾病用医薬品等開発振興事業

https://www.nibn.go.jp/activities/promote/orphan\_support.html ※希少疾病用医薬品等の【指定リスト】、【交付実績】等も掲載しています。



詳しくはこちらから

### 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、毎年度の申請が必要です。

#### 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: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から年度末(3月31日)まで、 もしくは製造販売承認申請に至った日の前日までに発生した経費が助成金の対象となります。

#### 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。

#### 納付金=(1事業年度の売上高-1億円)×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O円です。

#### 難病治験ウェブ 難病の治験情報をわかりやすく提供

厚生労働省の研究事業の一環とし て、医薬基盤・健康・栄養研究所が 中心となり、患者会、製薬企業の皆 さまにご意見をいただいて、2025 年7月に公開しました。

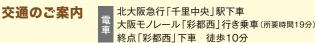
詳しくはこちらから

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 ご案内図





現地ルート図 (国際文化公園等 国立研究開発法人 医療基盤·健康·栄養研究所 彩都西駅 ● 彩都友紘会病院 箕面市 大阪生 国道171号 箕面萱野駅 豊川駅 茨木I.C 大阪大学 (吹田キャンパス) 箕面船場 阪大前駅 茨木市 北千里駅 大阪大学医学部 付属病院 阪大病院前駅 茨木駅 豊中市 千里中央駅 万博記念公園 吹田I.C 中央環状線 大阪モノレール 吹田市

「箕面萱野」駅から約15分 「千里中央」駅から約20分 「北千里」駅から約15分

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

#### 国立研究開発法人 問い合わせ先

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

〒567-0085 大阪府茨木市彩都あさぎ7丁目6番8号 電話:072-641-9804 E-mail:kisho-ph@nibn.go.jp