



特定用途医薬品、特定用途医療機器及び 特定用途再生医療等製品ガイド

- 特定用途医薬品等開発振興事業の概要 -

～医療上のニーズが著しく充足されていない

医薬品等の研究開発を推進するために～

初版：令和 3 年 10 月

目 次

I 特定用途医薬品等の指定制度概要	3
1. 制度の概要	
2. 指定制度に係る組織	
3. 指定の基準について	
4. 指定までの手順について	
5. 指定の手続について	
6. 指定の取消しとその手続について	
7. 承継の取扱いについて	
II 特定用途医薬品等の開発振興	15
1. 優先審査について	
2. 機構における対面助言の優先制度	
3. 再審査期間	
4. 助成金交付事業	
5. 税制措置	
6. 指導及び助言	
III Q & A	19
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. 税額控除に係る試験研究費の額の認定について	
IV 要望・提案書様式	40
特定用途医薬品（別添様式 1－3、1－4、1－5、総括表）	
特定用途医療機器（様式 1、総括表）	
特定用途体外診断用医薬品（様式 2～4、総括表）	
特定用途再生医療医薬品等製品（様式 8～10、総括表）	
V 指定申請書関連様式	111

＜本ガイドについて＞

特定用途医薬品等の指定は、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（医薬品医療機器等法）第 77 条の 2 第 3 項を根拠としています。また、指定の要件の詳細は、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施行規則第 251 条の 3 に規定されています。

特定用途医薬品等の開発振興は、医薬品医療機器等法第 77 条の 3 及び国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所法第 15 条第 1 項第 2 号に規定されています。

これらの法令に加え、厚生労働省より以下をはじめとする、運用に係る通知が発出されています。

○「特定用途医薬品の指定に関する取扱いについて」（令和 2 年 8 月 31 日付け薬生薬審発 0831 第 5 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）

○「特定用途医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定に関する取扱いについて」（令和 2 年 8 月 31 日付け薬生機審発 0831 第 5 号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）

本ガイドは、特定用途医薬品等の開発を行う企業、アカデミア等に向けて、これらの法令、通知の内容等を統合して示すものです。

なお、関連の法令、通知、提案書様式等は、以下の web サイトで閲覧できますので、適宜ご参照ください。

○厚生労働省ホームページ

- ・ 特定用途医薬品の指定制度について

(https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_12717.html)

- ・ 特定用途医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定制度について

(https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/newpage_13382.html)

- ・ 法令等データベースサービス (<https://www.mhlw.go.jp/hourei/index.html>)

○国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所ホームページ

- ・ 開発振興部 (<https://www.nibiohn.go.jp/nibio/part/promote/index.html>)

I 特定用途医薬品等の指定制度概要

1. 制度の概要

特定用途医薬品、特定用途医療機器及び特定用途再生医療等製品（以下「特定用途医薬品等」という。）は、対象とする用途の需要が著しく充足されていないこと、対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有することの条件に合致するものとして、薬事・食品衛生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。

制度の趣旨・概要を以下に示す。

（１）制度の趣旨

小児に対する用法又は用量が設定されていないなど、医療上のニーズが著しく充足されていない医薬品等の研究開発を促進するため、特定用途医薬品等の制度を創設し、特別の支援措置を講ずることとしたものである。

（２）制度の概要

厚生労働大臣は、企業からの申請に基づき、次の指定基準に合致するもの（詳細は３．を参照）を特定用途医薬品等として指定することができる。

【指定基準】 次のいずれにも該当するもの。

- ・ その用途が厚生労働大臣が疾病の特性その他を勘案して定める区分（※）に属する疾病の診断、治療又は予防であって、当該用途に係る医薬品、医療機器又は再生医療等製品に対する需要が著しく充足されていないと認められる物であること。
- ・ 申請に係る医薬品、医療機器又は再生医療等製品につき、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こととなる物であること。

※ 医薬品（体外診断用医薬品を除く）の場合

次のイ又はロのいずれかに該当するもの。

イ 既承認の医薬品のうち、次のいずれかに該当するもの

- ・ その用法又は用量を変更して、小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるもの
- ・ その効能、効果、用法又は用量を変更して、薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるもの

- ロ 既承認の医薬品と有効成分、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のうち、その剤形を当該既承認の医薬品と異ならせることにより、小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるもの

※ 医療機器の場合

次のいずれかに該当するもの。

- ・ 新規に承認を受けようとする医療機器のうち、小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるもの
- ・ 既承認の医療機器のうち、その形状、構造及び原理又は使用方法を変更して、小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるもの

※ 体外診断用医薬品の場合

既承認の体外診断用医薬品のうち、次のイ又はロのいずれかに該当するもの。

- イ その使用目的又は使用方法を変更して、小児の疾病の診断の用途に用いることとなるもの
- ロ その使用目的又は使用方法を変更して、薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断の用途に用いることとなるもの

※ 再生医療等製品の場合

次のイ又はロのいずれかに該当するもの。

- イ 新規に承認を受けようとする再生医療等製品のうち、次のいずれかの用途に用いることとなるもの
 - ・ 小児の疾病の治療又は予防
 - ・ 薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防
- ロ 既承認の再生医療等製品のうち、次のいずれかに該当するもの
 - ・ その用法又は用量を変更して、小児の疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるもの
 - ・ その効能、効果、用法又は用量を変更して、薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるもの

特定用途医薬品等の指定が、直ちに医薬品、医療機器又は再生医療等製品の製造販売承認（一部変更の承認を含む）に結びつくものではないが、指導・助言、優先審査、再審査期間の付与等の支援措置が講じられる（「Ⅱ 特定用途医薬品等の開発振興」の項参照）。

2. 指定制度に係る組織

特定用途医薬品等制度において、厚生労働省、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「総合機構」）及び国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所（以下「医薬健栄研」）の役割は以下のとおりである。

（１）厚生労働省

- ① 特定用途医薬品等の該当性評価
- ② 特定用途医薬品等の指定
- ③ 医薬健栄研に対する運営費交付金の交付

（２）総合機構

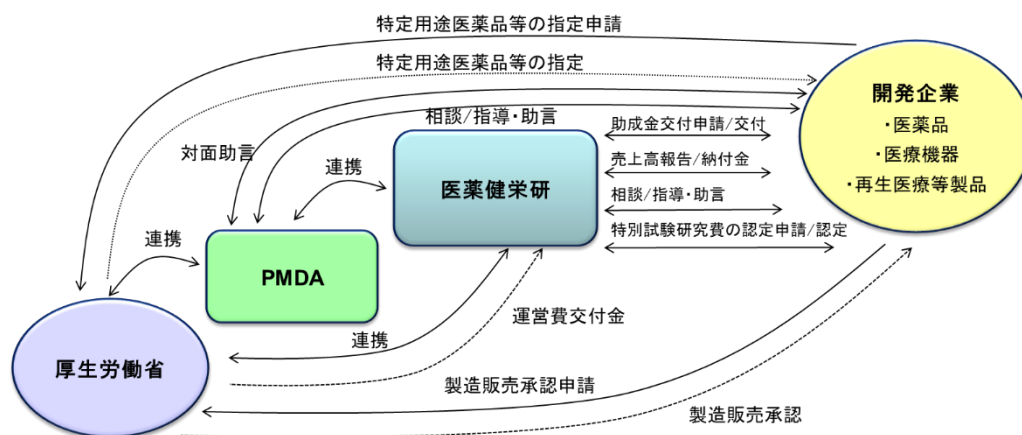
- ① 特定用途医薬品等に係る承認申請前の試験研究の実施及び承認申請資料に関する相談（優先対面助言）
- ② 特定用途医薬品等の承認申請後の承認審査（優先審査）

（３）医薬健栄研

- ① 製薬企業等、指定を受けた品目の開発者に対する助成金の交付（注１）
- ② ①の交付を受けた者に対する試験研究費の額の認定（注２）
- ③ ①の交付を受けた者に対する指導・助言の実施

（注１）対象患者数が５万人未満の品目に限る。

（注２）常時使用従業員数が１千人以下の企業等に限る。



注１：助成金交付申請は、対象患者数が５万人未満の品目に限る。

注２：特別試験研究費の認定申請は、常時使用従業員数が１千人以下の企業に限る。

図 特定用途医薬品等に係る組織

３．指定の基準について

指定を受ける特定用途医薬品等は、それぞれ、次の表の指定要件を満たすこと。

(1) 医薬品（体外診断用医薬品を除く）の場合（以下のアからウの要件をすべて満たすもの）

	小児の疾病に対する用途とするもの	薬剤耐性を有する病原体に対する用途とするもの	
		i) 薬剤耐性を有する病原体を対象とする薬剤の場合	ii) 薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤の場合
ア 対象とする用途	以下のいずれかの開発を行うものであること ① 用法又は用量の変更 ② 剤形の追加	以下のいずれかの開発を行うものであること ① 効能又は効果の変更 ② 用法又は用量の変更	以下のいずれかの開発を行うものであること ① 用法又は用量の変更 ② 効能又は効果の変更
イ 対象とする用途への 需要の充足性	以下のいずれかに該当するものであること ① 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの（既存の治療法、予防法又は診断法が医薬品を用いるもののみの場合であって、治療法、予防法又は診断法に用いる医薬品として対象とする小児に対する用法及び用量が設定された医薬品がない場合を含む） ② 小児にとっての有効性、安全性若しくは肉体的・精神的な患者又は介護者負担の観点から、既存の治療法等より医療上の有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの	以下の①及び②の両方を満たすものであること ① 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する（又は有することとなる可能性がある）病原体を対象とするものであること ② 当該主として用いられている薬剤以外に対象とする病原体による疾患に対して承認された医薬品がないこと	以下①又は②のいずれかに該当するものであること ① 既承認の用法及び用量で使用する、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあること ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと
ウ 対象とする用途に対する特に優れた使用価値	以下の①及び②の両方を満たすものであること ① 適応疾患が重篤である、又は重篤な疾患に対して支持的に用いるもの ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの	以下の①及び②の両方を満たすものであること ① 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの	以下の①及び②の両方を満たすものであること ① 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

(2) 医療機器の場合(以下の指定要件をすべて満たすもの)

	小児の疾病に対する用途とするもの
指定要件1:対象疾患	以下のいずれかに該当するもの ア 小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるものとして、新規に承認を受けようとするもの イ 既に承認を受けているものであって、形状、構造及び原理又は使用方法を変更することにより、小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるもの
指定要件2:対象とする用途への需要の充足性	下のいずれかに該当するものであること。 ア 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの イ 有効性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の治療法等より有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの
指定要件3:対象とする用途に対する特に優れた使用価値	以下の2つの両方を満たすものであること ア 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

(3) 体外診断用医薬品の場合（以下の指定要件をすべて満たすもの）

	小児の疾病に対する用途とするもの	薬剤耐性を有する病原体に対する用途とするもの	
		薬剤耐性を有する病原体を対象とする体外診断用医薬品の場合	薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための体外診断用医薬品の場合
指定要件1:対象疾患	既に承認を受けているものであって、その使用目的又は使用方法を変更して、小児の疾病の診断の用途に用いることとなるものであること	その使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行い、薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断の用途に用いることとなるものであること	その使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行い、薬剤耐性を有する病原体の発生を防ぐために行う診断の用途に用いることとなるものであること
指定要件2:対象とする用途への需要の充足性	以下のいずれかに該当するものであること ア 対象とする疾病に対して診断を行うための方法が確立されていないもの イ 有用性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の診断法等よりも有効性の高い診断法が必要とされているもの	以下の2つの両方を満たすものであること ア 薬剤に耐性を有する病原体又は有することとなる可能性がある病原体を対象とするものであること イ 当該薬剤以外に必要な性能を有す体外診断用医薬品が我が国において製造販売されていないこと	以下の2つのいずれかに該当するものであること ア 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせるおそれがあること イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと
指定要件3:対象とする用途に対する特に優れた使用価値	以下の2つの両方を満たすものであること ア 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの イ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの	以下の2つの両方を満たすものであること ア 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の観点から、必要性が高いこと。 イ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの	以下の2つの両方を満たすものであること ア 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の総合的な観点から、必要性が高いこと。 イ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの

(4) 再生医療等製品の場合（以下の指定要件をすべて満たすもの）

	小児の疾病に対する用途とするもの	薬剤耐性を有する病原体に対する用途とするもの	
		薬剤耐性を有する病原体を対象とする再生医療等製品の場合	薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための再生医療等製品の場合
指定要件1:対象疾患	以下のいずれかに該当するもの ア 小児の疾病の治療又は予防に用途に用いることとなるものとして、新規に承認を受けようとするもの イ 既に承認を受けているものであって、その用法、用量又は使用方法を変更することにより、小児の疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるもの	以下のいずれかの開発を行うものであること ア 薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療の用途に用いることとなるものとして、新規に承認を受けようとするもの イ 既に承認を受けているものであって、その効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法を変更することにより、薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるものであること	以下のいずれかの開発を行うものであること ア 薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制の用途に用いることとなるものとして、新規に承認を受けようとするもの イ 既に承認を受けているものであって、効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法を変更することにより薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制の用途に用いることとなるもの
指定要件2:対象とする用途への需要の充足性	以下のいずれかに該当するものであること ア 既存の治療法又は予防法がないもの イ 有効性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の治療法等よりも有用性の高い治療法又は予防法が必要とされているもの	以下の2つの両方を満たすものであること ア 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する病原体又は薬剤に耐性を有することとなる可能性がある病原体を対象とするものであること イ 当該主として用いられている薬剤以外に有効性を持つ医薬品又は再生医療等製品が我が国において製造販売されていないこと	以下のいずれかに該当するものであること ア 既承認の用法及び用量又は使用方法で使用する、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあること イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと
指定要件3:対象とする用途に対する特に優れた使用価値	以下の2つの両方を満たすものであること ア 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの	以下の2つの両方を満たすものであること ア 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の観点から、必要性が高いこと。 イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの	以下の2つの両方を満たすものであること ア 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の総合的な観点から、必要性が高いこと。 イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

4. 指定までの手順について

特定用途医薬品等の開発の要望・提案から指定までの手順は次表のとおりである。

特定用途医薬品(体外診断用医薬品を除く)の場合	特定用途医療機器等(医療機器、体外診断用医薬品、再生医療等製品)の場合
(1) 要望・提案書の提出から指定申請までの手順について(要望・提案書の作成及び提出については5.(1)(p11、12)を参照のこと。)	
① 厚生労働省は、特定用途医薬品に該当する医薬品の候補について、学会、患者団体、個人、製造販売業者等から開発要望又は開発提案を募集する。 ② 厚生労働省は、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議(以下「検討会議」)に、応募された開発要望の特定用途医薬品への該当性評価(以下「該当性評価」)の依頼を行う。 ③ 検討会議は、厚生労働省に対して該当性評価の結果を回答する。 ④ 厚生労働省は、検討会議等の該当性評価の結果を、要望された医薬品を製造販売している製造販売業者に通知する。 ⑤ 厚生労働省から通知を受けた製造販売業者が、該当する医薬品の特定用途医薬品への指定を希望する場合、厚生労働省に特定用途医薬品への指定を申請する。	・学会等による要望の場合 ① 厚生労働省は、指定要件に該当する医療機器等の候補について、関係学会等(患者団体を含む。)から要望に関する意見を募集する。 ② 厚生労働省は、医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会(以下「ニーズ検討会」)に、応募された開発要望の特定用途医療機器等への該当性評価(以下「該当性評価」)の依頼を行う。 ③ ニーズ検討会は、厚生労働省に対して該当性評価の結果を回答する。 ④ 厚生労働省は、ニーズ検討会の該当性評価の結果を、要望された医療機器等を取り扱う企業に通知する。 ⑤ 厚生労働省から上記④の通知を受けた企業が、該当する医療機器等について、特定用途医療機器等への指定を希望する場合、厚生労働省に特定用途医療機器等への指定を申請する。 ・企業による要望の場合 ① 特定用途医療機器等への指定の申請にあたっては、事前に、厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課(以下「医療機器審査管理課」)に相談すること。医療機器又は体外診断用医薬品について、指定の申請を予定する者は、医療機器審査管理課の指示に従い、別紙様式に示す、特定用途医療機器等の指定要件該当性に関する概要を作成の上、総合機構に相談を申し込むこと。再生医療等製品については別途指示することとする。この相談の中で、相談者と厚生労働省、総合機構が、相談品目が本制度の対象となるかどうかについて意見交換を行う。 ② 相談者との意見交換を踏まえ、厚生労働省及び総合機構は、相談品目について、指定の要件に該当するかどうか総合的に勘案し、相談品目が本制度の対象になるかどうかを検討する。この際、判断に必要な情報、資料の提出を追加で求めることができる。また、必要に応じ、厚生労働省は、相談品目の用途が指定要件に定めるものに用いられるものであって、当該用途に係る医療機器等に対する需要が著しく充足されていないことに対する該当性について、ニーズ検討会に評価を依頼し、その結果を踏まえて検討を行う。 本制度の対象となり得ると判断される場合は、相談記録において、指定申請の手続を行うことについて差支えない旨を記載する。相談記録の作成まで(対面助言よりおよそ30日勤務日以内)に、本制度の対象とすることの適否の判断がつかない場合は、別途厚生労働省及び総合機構から相談者に連絡する。

(2) 指定申請から指定までの手順について(指定申請については5.(2)(p13)を参照のこと。)	
① 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課(以下「医薬品審査管理課」)で指定申請書を受理した後、事前に行われた、検討会議等における該当性評価の結果も踏まえ、薬事・食品衛生審議会に諮問を行う。 ② 薬事・食品衛生審議会(医薬品第一部会又は医薬品第二部会)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。 ③ 諸手続が終了後、指定書は申請者に郵送される。また、指定した医薬品については、指定年月日、医薬品の名称、対象となる用途及び疾病並びに申請者の氏名及び住所を厚生労働省のホームページに掲載する。	特定用途医療機器等の指定については、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて行う。 なお、指定した特定用途医療機器等については、指定年月日、医療機器等の名称、対象となる用途疾病及び指定者の氏名を厚生労働省のホームページに公表する

5. 指定の手続について

(1) 特定用途医薬品等の開発を要望・提案する場合の手続については次表のとおりである。

特定用途医薬品(体外診断用医薬品を除く)の場合	特定用途医療機器等(医療機器、体外診断用医薬品、再生医療等製品)の場合
① 要望・提案の作成について	
開発を要望・提案する場合、「特定用途医薬品の要望・提案書作成の留意事項(別添)」(p30～39)に従って、要望・提案対象の区分に応じた様式を用い、要望・提案書を作成のこと。また、総括表を作成のこと。 ・要望・提案書様式 ア 小児の疾病の診断、治療又は予防(別添様式1-3)(p40～46) イ 薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防 (ア) 薬剤耐性を有する病原体を対象とする薬剤の場合(別添様式1-4)(p47～53) (イ) 薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤の場合(別添様式1-5)(p54～60) ・総括表(別紙様式2-3)(p61)	要望・提案については、次の留意事項を参照し、別添様式(特定用途医療機器等の開発要望又は開発提案)及び総括表を作成のこと(※)。 ・要望・提案書様式 ア 医療機器(様式1)(p62～67) イ 体外診断用医薬品(様式2～4)(p69～86) ウ 再生医療等製品(様式8～10)(p88～109) ・総括表(p68、87、110) (※) 企業による医療機器・体外診断用医薬品の要望の場合は、指定要件該当性に関する概要を作成してください。(指定要件該当性に関する概要(別紙様式1～7)(p115～123)) 留意事項 ア 要望内容が募集対象の範囲内であることを示す根拠となる文献その他の参考文献については、文献番号を付与した写しを併せて提出のこと。

	イ 要望内容の評価時には、当該要望内容の妥当性を示唆する文献だけでなく、要望内容に反する内容の文献についても検討が必要である。適切な評価を行うため、要望内容に関する文献は網羅的に調査し、要望書に盛り込むこと。 ウ 患者団体、個人が要望する場合は、要望・提案書中、「1. 要望内容に関連する事項」のうち「要望する用途に係る対象者数」、また「3. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について」以降は可能な範囲で記載すること。患者団体、個人が要望する場合は、関連する学会を指定することとし、当該学会には医療上の必要性に関する意見を聴くこととするともに、エビデンスについても可能な限り収集すること。患者団体、個人が要望する場合であっても、海外における承認状況の調査は実施し、また、要望の対象内であることの根拠となる海外添付文書又はガイドラインは提出のこと。 エ 要望は提出後に事務局において内容の確認を行い、添付資料及びその説明等が十分であると判断された時点で要望を受け付けたものとして取り扱う。要望内容が募集対象であることを示す文献等が不足している場合には、円滑かつ迅速な事務処理のために、要望の再検討を依頼する場合がある。 オ また、検討会議において、特定用途医療機器等に該当すると判断されなかった品目について、再度要望を提出する場合には、前回の評価時点から新たなエビデンスが追加される等、改めて評価結果が変更されうる根拠となる具体的な資料やデータを添えた上で、変更部分を明記すること。 カ なお、提出された要望及び要望の再検討の依頼内容については、個人名や連絡先等を除き厚生労働省のHPにて公表する。
② 要望・提案書の提出について	
特定用途医薬品の開発を要望・提案する場合、医薬品審査管理課宛に以下の資料を、電子メール又は郵送にて提出のこと。 提出資料 ・ 要望・提案書 ・ 要望・提案が募集対象の範囲内である根拠となる文献及びその他の参考文献 ・ 総括表 提出先 〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2 厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課 特定用途医薬品指定制度担当宛て アドレス：kaihatsuyoubou@mhlw.go.jp	特定用途医療機器等の開発を要望・提案する場合、医療機器審査管理課宛に以下の資料を、電子メール又は郵送にて提出のこと。 提出資料 ・ 要望・提案書 ・ 要望・提案が募集対象の範囲内である根拠となる文献及びその他の参考文献 ・ 総括表 (※) 企業による医療機器・体外診断用医薬品の要望の場合は、指定要件該当性に関する概要を提出のこと。 提出先 〒100-8916 東京都千代田区霞が関1-2-2 厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課 特定用途医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品指定制度担当宛て アドレス：kikikashinsa@mhlw.go.jp

（２）指定申請について

特定用途医薬品等の指定を希望する企業等は、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に提出すること。書類が整っていれば受け付けるが、不備があれば受け付けできないこともある。また、指定基準に合致しないことが明らかな場合は、受け付けしないことになる。

なお、資料は、紙媒体（正本１通、副本２通）及び電子媒体で郵送又は持参により提出のこと。

- ・ 指定申請書（p111～114）

- ・ 指定申請書の添付資料

- ア 対象とする用途に対する需要の充足状況に関する資料

- 開発要望・提案及び該当性評価の概要

- イ 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）のうち申請時において入手可能な資料の概要

- ウ 開発計画

- 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

- エ 特定用途医薬品等の概要

- 部会説明用資料及び公表用資料として、別紙様式１～７（p115～123）に従って作成した概要。なお、申請者名、名称及び対象となる効能・効果（又は予定される効能・効果）については英名又は英語表記を併記すること。

６．指定の取消しとその手続について

（１）試験研究等の中止の届出

- ① 特定用途医薬品等の指定を受けた者（以下「指定者」という。）が、当該指定に係る特定用途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。中止の届出は、次の資料の正本１通を医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課宛てに提出すること。

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医薬健栄研（助成金交付実績がある場合に限る）に連絡をとること。

届出資料

- ・ 試験研究・製造販売・製造中止届書（規則様式第108）（p124）
- ・ 指定申請書の写し

- 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・

食品衛生審議会に報告のうえ、特定用途医薬品等の指定の取消しが通知されることとなる。また、指定が取消された旨を厚生労働省のホームページに掲載する。

（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。

- ① 他の医薬品等が承認されたことなどにより、以下の要件を欠くと認められるとき。
 - ・対象とする用途の需要が著しく充足されていないこと
 - ・対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること
- ② 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。
- ③ 正当な理由なく特定用途医薬品等の試験研究又は製造販売が行われな
- とき。
- ④ 指定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。

７．承継の取扱いについて

指定者から、他の者（以下「承継者」という。）に本邦での開発権を譲渡する場合、指定者及び承継者は、以下の資料を提出すること。ただし、指定者が当該指定を受けた時点から変更が生じている場合には、変更部分について、承継時点でも指定要件を充足することを示す資料も併せて提出すること。また、承継は指定者宛に発出する取消通知書及び承継者宛に発出する指定書を以て認めるものとする。

なお、承継を検討している指定者は事前に医薬品審査管理課又は医療機器審査管理課へ相談すること。

指定者及び承継者の連名で提出する資料

- ・承継の経緯等が把握できる資料

指定者が提出する資料

- ・試験研究・製造販売・製造中止届書（規則様式第108）（p124）
- ・指定書の写し

承継者が提出する資料

- ・指定申請書（p111～114）
- ・指定申請書の添付資料

- ア 対象とする用途に対する需要の充足状況に関する資料
- 開発要望・提案及び該当性評価の概要

- イ 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）のうち申請時において入手可能な資料の概要
- ウ 開発計画
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
- エ 特定用途医薬品等の概要（別紙様式 1 ～ 7）（p115～123）
部会説明用資料及び公表用資料として、様式に従って作成した概要

Ⅱ 特定用途医薬品等の開発振興

1. 優先審査について

特定用途医薬品及び特定用途医療機器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、他の医薬品及び医療機器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 3 年度は、医薬品は 80%マイル値で 9 ヶ月、医療機器は 80%マイル値で 10 ヶ月を目標としている。

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

(80%マイル値)

2. 機構における対面助言の優先制度

特定用途医薬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」の受付は原則毎月第一勤務日のみであるが、特定用途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。

3. 再審査期間

特定用途医薬品及び特定用途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 4 年以上 6 年未満の間で付与される。

4. 助成金交付事業

医薬健栄研では、特定用途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つて、指定品目の対象患者数が5万人未満の場合に限られる。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。原則として特定用途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を対象とする。

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。ただし、引き続き助成金を交付することが必要であると認められる場合には、助成期間を延長する。

本助成事業は科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律において、毎年、「特定新技術補助金等」の指定対象となっており、指定された補助金等の交付を受けた中小企業は、その成果を利用した事業活動を行う際に各種の支援措置の特例を受けることができる。

詳細についてはSBIR ホームページ (<https://sbir.smrj.go.jp/index.html>) を参照のこと。

また、本助成事業は法務省出入国在留管理庁の「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、高度人材ポイント制の申請を行う外国人が本助成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、ポイントが特別加算される。詳細については出入国在留管理庁ホームページ (http://www.moj.go.jp/isa/publications/materials/newimmiact_3_system_index.html) を参照のこと。

(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

医薬健栄研は、①の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

医薬健栄研は、助成対象事業の遂行状況の確認のため、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。

医薬健栄研は、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承認を通知する。

⑤ 実績報告

申請者は、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

医薬健栄研は、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。その場合において、既にその額を超える助成金が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に基づくものであるため、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」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。
- ② 医薬健栄研は、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、特定用途医薬品等から得られた収益の一部を、納付金として医薬健栄研に納めることとなっている。医薬健栄研は、企業からの納付金を特定用途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。特定用途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 年間で納付対象となる。ただし納付金の合計額は、当該特定用途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。

5. 税制措置

医薬健栄研では、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特定用途医薬品等の試験研究費の認定を開発企業（常時使用従業員数が 1 千人以下の企業等に限る）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特定用途医薬品等の試験研究費（医薬健栄研からの助成金を除く）の 20%が控除額の対象となる。

6. 指導及び助言

特定用途医薬品等の指定及び指定された特定用途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、総合機構及び医薬健栄研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・生活衛生局 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 開発振興部 開発振興課
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

具体的な事項については、本ガイドのほか、以下の厚生労働省HPを参照してください。本Q&Aについては、お問い合わせ事項などを参考に順次拡充します。

< 特定用途医薬品（体外診断用医薬品を除く） >

- ・ 特定用途医薬品の指定制度について
https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_12717.html
- ・ 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/other-iyaku_128701.html
- ・ 薬事・食品衛生審議会 医薬品第一部会
https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-yakuji_127851.html
- ・ 薬事・食品衛生審議会 医薬品第二部会
https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-yakuji_127852.html

< 特定用途医療機器、特定用途医薬品（体外診断用医薬品に限る）、特定用途再生医療等製品 >

- ・ 特定用途医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の指定制度について
https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/newpage_13382.html
- ・ 医療ニーズの高い医療機器等の早期導入に関する検討会
https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/other-iyaku_128705.html
- ・ 薬事・食品衛生審議会 医療機器・体外診断薬部会
https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_03635.html
- ・ 薬事・食品衛生審議会 再生医療等製品・生物由来技術部会
https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/shingi-yakuji_127863.html

Q 1: 特定用途医療機器等の大臣指定を「企業による要望の場合」に従い申請したい場合、医療機器審査管理課の指示に従い総合機構に相談を申し込むとされているが、この場合の相談カテゴリーは何か。また、手数料は発生するか。

A 1: 相談のカテゴリーは医療機器開発前相談となる。相談手数料については、総合機構の対面助言等の手数料のページを確認すること。

2. 指導・助言について

- Q 1: 特定用途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: 特定用途医薬品の指定効能に限っては、総合機構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、指定前にあつ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。
- 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: 医薬健栄研で実施している相談は無料である。総合機構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総合機構のウェブサイト（<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: 医薬健栄研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: 特定用途医薬品等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医薬健栄研に所属する P0（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: 助成金申請の対象は、大臣指定を受けた品目であつて、その品目の対象患者数が 5 万人未満とされているが、人数の根拠としてはどのような資料を添付すればよいのか。
- A 1: 学術論文、学会報告、研究報告書など、収集可能な根拠を基に説明資料（様式自由）を作成し添付されたい。
- Q 2: 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 2: 5 月頃に医薬健栄研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 3: 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 3: 可能である。申請書（様式 T 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に、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 4: 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 4: 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に、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。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 5: 助成対象期間（3 事業年度）とは、医薬健栄研の事業年度か。もしくは試験研究実施者の事業年度か。
- A 5: 医薬健栄研の事業年度（4 月 1 日～翌年 3 月 31 日）である。
- Q 6: 年度途中に大臣指定を受けた場合、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 6: 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 7: 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 7: 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、医薬健栄研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 8: 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 8: 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することとなる。なお、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することとしている。

Q 9: 年度途中で大臣指定を受けた場合、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 9: 差し支えない。具体的には、大臣指定日以降に発行された領収書が起点となる。なお、例えば、治験実施医療機関からCROへ領収書（A）が発行され、CROから助成金申請企業へAを含む領収書（B）が発行される場合、Aの発行日が大臣指定日以降のものから助成対象となる。

Q10: 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。

A10: 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いただきたいが、医薬健栄研に相談されたい。

Q11: 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。

A11: 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、同じ経費を来年度再度計上することはできない。なお、計上したものの支払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、速やかに医薬健栄研に連絡されたい。

Q12: 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。

A12: 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。

- Q13:** 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。
- A13:** 大幅な開発の遅延（変更）が生じることが判明した時点で、速やかに医薬健栄研に相談し、10月から11月頃に実施される進捗調査で説明の上、試験計画の変更を計画変更等承認申請（様式T3）に反映していただきたい。
- Q14:** 助成対象事業の帳簿とは具体的にはどのようなものか。
- A14:** 特定用途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（Q15参照）。
- Q15:** 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。
- A15:** 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（Q14参照）。
- Q16:** 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。
- A16:** 専用口座まで設ける必要はない。
- Q17:** 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。
- A17:** 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。
- Q18:** 助成金に係る消費税仕入控除税額が確定した場合、医薬健栄研に返還しなければならないか。
- A18:** 実績報告書を医薬健栄研に提出後、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、医薬健栄研に報告されたい。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。
- Q19:** 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。
- A19:** 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（Q20 参照）。

Q20: 助成金を受けた品目がオープ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。

A20: 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（Q19 参照）。

Q21: 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 日付で特定用途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。

A21: 原則、請求書の日付が特定用途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。

Q22: 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。

A22: 旅費のうち交通費を除き、消費税抜きである。

Q23: 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。

A23: 申請者が日本国内の企業であって、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。

Q24: 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。

A24: 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。

Q25: 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。

A25: 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 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のなされた医薬品であって、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。
- ② 承認申請後に追加資料として提出することを総合機構と合意している長期安定性試験等の費用。ただし、承認申請した年度の年度末までの費用となる。

Q26: 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。

A26: 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。

Q27: 謝金・旅費について、計上金額の基準はあるか。

A27: 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、謝金は「医薬研栄研謝金支給基準」に準じて、旅費は「国家公務員の旅費に関する法律」に準じた額にて査定されることになる。

Q28: 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。

A28: 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医薬健栄研へ相談されたい。

Q29: 旅費を計上した場合、どのような証拠書類が必要か。

A29: 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。

Q30: 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。

A30: 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。

Q31: 進捗調査の具体的な実施方法を知りたい。

A31: 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、試験計画等承認申請（様式 T 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。

Q32: 経理調査の具体的な実施方法を知りたい。

A32: 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 T 5 - 1 ～ T 5 - 1 1）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。

Q33: 実績報告書（様式 T 5）及び支出簿（様式 T 5 - 1 ～ T 5 - 1 1）には、実際に会社が支払った経費処理額を記載するのか。

A33: そのとおりである。助成対象として計上した経費（様式 T 1（申請書）又は様式 T 3（試験計画変更承認等申請）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。

Q34: 実績報告書（様式 T 5）に添付すべき証憑書類について教えてほしい。

A34: 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。

Q35: 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。

A35: 医薬健栄研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医薬健栄研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。

Q36: 納付金の売上高とは何を指すのか。

A36: 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場合、薬価×販売数量で差し支えない。

Q37: 納付手続のスケジュールについて教えてほしい。

A37: 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 T 1 1）に示す期限までに納付することとなる。

Q38: 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。

- ① 助成金交付を受けて開発された特定用途に該当する効能により初めて製造販売承認を受けた医療機器等に、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特定用途に該当する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特定用途に該当する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

A38: 次のとおりであるが、個別に医薬健栄研に確認されたい。

- ① 最初に承認された特定用途に該当する効能等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等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特定用途に該当する効能等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等が追加された場合、追加された効能等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。

Q39: 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。

A39: 助成金交付を受けた企業は、事前に医薬健栄研に連絡されたい。医薬健栄研と承継先企業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、承継先企業と医薬健栄研との間で新たな契約の締結が必要であり、事前に医薬健栄研に連絡されたい。

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、医薬健栄研の助成金交付を受けることが前提となる。

Q 2: 認定申請の対象は、常時使用従業員数が 1,000 人以下とされているが、人数の根拠としてはどのような資料を添付すればよいのか。

A 2: 「常時使用従業員」とは、正社員、パート、アルバイトなどの名称にかかわらず以下のいずれかに該当する者を指す。

① 期間の定めなく雇用されている者

② 過去 1 年以上の期間について引き続き雇用されている者または雇い入れ時から 1 年以上引き続き雇用されると見込まれる者（一定の期間を定めて雇用されている者または日々雇用される者であってその雇用契約期間が反復更新されて、事実上①と同等と認められる者）

本社、支社、事業所等の全てを含むものとして、都道府県労働局等の公的機関に報告・提出した直近の資料について添付されたい。なお、添付可能な適切な資料がない場合には、事前に医薬健栄研に相談されたい。

Q 3: なぜ、特別試験研究費の認定は、医薬健栄研の助成金交付を受けた試験研究に限定されるのか。

A 3: 医薬健栄研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 4: 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 4: 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 ヶ月以内である。認定書は通常 1 ヶ月程度で交付される。

Q 5: 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 5: 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 6: 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 6: 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 7: 特定用途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特定用途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 7: 認定申請書の様式T 3に共通費用として、特定用途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 8: 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 8: 助成金交付品目の試験研究に必要な用務であることが医薬健栄研で確認できた場合に限り差し支えない。
- Q 9: 設備費は「購入費」、「建築費」等を記入するようになっているが、所得の計算上損金の額に算入されるのは「減価償却費」である。この差はどうなるのか。
- A 9: 当期支出額には当期における支出総額を記入、当期費用額には当期における減価償却費を記入すること。
- Q10: 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。
- A10: 認められる。必要な資料は、専任の場合は専任証明書（様式T 3－1）を、兼任の場合は特別試験研究従事月報（様式T 3－2）及び特別試験研究従事日誌を（様式T 3－3）を添付のこと。
- Q11: 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。
- A11: 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。

(別添)

**医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
特定用途医薬品の要望書作成の留意事項**

要望書（別添様式）を作成いただくに当たって、留意すべき事項を以下にまとめますので、要望書を作成する前にご参照ください。この留意事項に沿って作成されていない場合には、要望書を再提出いただくことになりますのでご注意ください。また、要望内容について不明な点はお問い合わせをさせていただく場合や、関係企業に確認を求めるために提示する場合もございますので、予めご承知置きください。

また、提出された要望書については、要望書そのものを医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（以下「検討会議」という。）で検討することなどにより、特定用途医薬品への該当性を評価することを予定しています。

1 全般的事項

1. 1 要望書の作成単位

- ・ 要望書は、一つの要望（用法・用量、効能・効果、剤形）ごとに作成すること。
- ・ 複数の要望者が共同で要望を提出する場合^{註1}、要望者名を連名とし、連絡先は要望者間をとりまとめる一名を選定して、一つの要望書として提出すること。
- ・ 複数の要望者から、同主旨だが要望範囲等が異なる要望が提出された際には、要望内容の統一のために調整を依頼するので、留意すること。

1. 2 要望対象

- ・ 要望対象は、既承認医薬品の用法・用量の変更、効能・効果の変更又は剤形の追加とする。
- ・ 添付文書における使用上の注意の改訂に係る要望は対象とはしない。

1. 3 要望書の様式

- ・ 要望書作成には事務局が提供する Microsoft Office ファイルを用いること。
- ・ 提出時には、Microsoft Office ファイル形式で提出すること。（PDF ファイル等、他の形式に変換して提出しないこと）

1. 4 海外における承認状況の調査

- ・ 要望にあたっては、欧米等6か国（米・英・独・仏・加・豪）の承認状況及びその内容を調査すること。
- ・ 調査内容は「1. 要望内容に関連する事項」及び「2. 要望内容に係る欧米での承認等の状況」等に記載すること。

¹ 内容に差異がない要望書が複数提出された場合、複数の要望者が共同で要望を提出したものとみなし、一つの要望書としての再提出を依頼することがある。

- ・ 承認がない場合、販売名の欄に「承認なし」と記載すること。

1. 5 患者団体、個人の要望で記載すべき範囲

- ・ 患者団体、個人が要望する場合は、「1. 要望内容に関連する事項」のうち「要望する用途に係る対象者数」、また「3. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について」以降は可能な範囲で記載すること。
- ・ 患者団体、個人が要望する場合は、関連する学会を指定することとし、当該学会には医療上の必要性に関する意見を聴くこととするとともに、エビデンスの収集についても可能な限り協力いただくこととする。
- ・ 患者団体、個人が要望する場合であっても、海外における承認状況の調査は実施し、また、要望の対象内であることの根拠となる海外添付文書又はガイドラインは提出すること。

1. 6 実施すべき試験の考察

- ・ 「4. 実施すべき試験の種類とその方法案」については、収集したエビデンスを基に承認取得に必要な試験を検討し、可能な限り詳細に記載すること。（我が国において使用経験やエビデンスが不足している場合、検討会議における検討の結果、治験や使用実態調査等の実施が必要と判断される場合がある）

1. 7 要望書の公開

- ・ 作成された要望書（別添様式）については、公開可能な情報として取り扱うものとする。ただし、「1. 要望内容に関連する事項」の個人の「氏名」および「5. 備考」の「担当者氏名及び連絡先」については、非公開とする。
- ・ 上記以外に非公開にしなければならない情報については赤字で記載し、その注釈を付すなど該当箇所が明瞭に判別できるように記載すること。

1. 8 要望対象内である根拠資料の提出

- ・ 欧米等6か国での承認を理由に要望する場合、その事実を確認するため、承認されている国における添付文書の写し等の提出を義務とする。
- ・ 欧米等6か国のいずれかの国で、一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量及び剤形で広く使用されていることを理由に要望する場合、その事実を確認するため、当該国で広く医師が参照する学会又は組織のガイドライン及びその根拠となる文献の提出を義務とする。
- ・ 上記資料の提出がない場合には要望対象外として取り扱う。
- ・ 提出されたエビデンスの内容によっては、新たなエビデンスの追加を依頼することがあるので、留意すること。

1. 9 重複要望の提出

- ・ 特定用途医薬品に該当すると判断されなかった品目については、前回の評価時点では報告されていなかった新たなエビデンスを追加できない場合には、要望対象外として取り扱う。
- ・ 要望内容が公表されている検討中の品目については、先に提出された要望に含まれていない新たなエビデンスを追加できない場合には、要望対象外として取り扱う。また、新たなエビデンスが追加されていても、先に提出された要望が検討中である場合には、提出時期が早い要望から検討を行う。
- ・ 過去に提出されている要望と同一内容の要望については、新たなエビデンスが追加される等、状況の変化が認められた場合には再提出ができるが、その際には、変化が生じた部分を明確にすること。

1. 10 使用言語

- ・ 要望書は、原則として日本語で記載すること。
- ・ 海外添付文書の記載等、原文での記載が必要な場合も和訳を併記すること。

1. 11 要望の受付

- ・ 要望は提出後に事務局において内容の確認を行い、添付資料及びその説明等が十分であると判断された時点で要望を受け付けたものとして取り扱う。
- ・ 要望に主要な資料が不足している場合や募集要件の該当性に関する説明が不十分な場合等には、要望の再検討を依頼する。なお、提出された要望及び要望の再検討の依頼内容については、受付の如何に関わらず、厚生労働省の HP にて公表する。

1. 12 既に関係に着手している要望

- ・ 要望の検討段階で要望内容に関する企業治験等が実施中である場合には、当該要望は検討の対象外として取り扱う。ただし、製造販売業者が開発提案をする場合を除く。先発医薬品に限らず、後発医薬品で治験が実施されている場合や、新規に当該有効成分と同一の薬剤を導入開発する第三者（当該要望の対象となる有効成分の医薬品を国内で上市していない製薬企業）等が治験を実施する場合にも検討対象外とする。

1. 13 既に再審査期間を延長し、開発に着手している要望

- ・ 開発提案の内容に関して、既に再審査期間を延長し、開発に着手している場合、原則として、当該提案は検討の対象外として取り扱う。

2 記入欄に関する個別事項

2. 1 「1. 要望内容に関連する事項」

2. 2. 1 要望者

- ・ 「学会」、「患者団体」、「製造販売業者」、「個人」のうち、該当するものにチェックすること。
- ・ 名称又は氏名を括弧内に記載すること。

2. 2. 2 成分名

- ・ 塩についても省略せず、正式名称で記載すること。
- ・ 医薬品一般的名称（JAN）を記載すること。
- ・ 特殊な剤形等、成分名以外の特徴を記載する必要がある場合には、括弧書き等で成分名と区別ができるように記載すること。

2. 2. 3 販売名

- ・ 要望内容の対象を明確化するために、要望する製剤の国内の販売名のみを記載することとし、国内の販売名が複数存在する場合は、「他」と記載せず、要望するすべての販売名について剤形等を含め、省略せずに記載すること。
(例；△△錠、△△カプセル、△△細粒)。

2. 2. 4 会社名

- ・ 既に国内で製造販売している企業名を記載すること。

2. 2. 5 国内関連学会

- ・ 患者団体又は個人が要望する場合は、可能な範囲で、要望内容に関連する国内の学会名を記載すること。
- ・ 学会又は製造販売業者が要望する場合は、開発に当たって協力が不可欠な国内の学会があれば、当該学会名を記載すること。

2. 2. 6 要望内容

- ・ 「効能・効果」、「用法・用量」、「剤形」欄には、要望者が要望する「効能・効果」、「用法・用量」、「剤形」について記載すること。
- ・ 補足説明等が必要な場合には、「備考」欄（特記事項等）に記載すること。
- ・ 要望内容が前回募集した要望内容と同一であり、かつ、新たなエビデンスを追加して要望書を提出する場合には、「備考」欄（特記事項等）に、「第○ 回受付時の要望番号○○○と同一要望内容であり、今回、新たなエビデンスを追加して提出した」等のように記載すること。

2. 2. 7 要望する用途に係る対象者数

- ・ 要望の疾患について、日本国内での推定患者数を示すとともに、その推定方法を記載する。なお、推定に用いた根拠も記載すること。

2. 2. 8 国内の承認内容について

- ・ 国内添付文書に記載されている効能・効果、用法・用量及び剤形を記載すること。

2. 2. 9 「特定用途医薬品」への該当性

- ・ 対象とする用途に用いるために必要な開発」について、要望書中の判断基準の「ア、イ」のどの項目に該当するかチェックし、その根拠を記載すること。
- ・ 「2. 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと」について、要望が小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの又は薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤の場合、要望書中の判断基準の「ア、イ」のどの項目に該当するかチェックし、その根拠を記載すること。要望が薬剤耐性を有する病原体を対象とする薬剤の場合、それぞれの項目について、基準に該当すると考えた根拠を記載すること。
- ・ 「3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること」のそれぞれの項目について、基準に該当すると考えた根拠を記載すること。
- ・ 「1. 対象とする用途に用いるために必要な開発」及び「2. 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと」において、複数の基準に該当すると考えられる場合、該当性の根拠はそれぞれ区別して記載するが、チェック欄では最も適当と考えられるものを一つ選択すること。

2. 2. 10 追加のエビデンス（使用実態調査を含む）収集への協力

- ・ 使用実態調査を含む新たに追加のエビデンスが必要となった場合、当該エビデンスの収集への協力の可否について、チェックボックスにチェックすること。なお、追加のエビデンスの収集にご協力いただけない場合は、当該要望を検討対象外として取り扱う場合があるので留意すること。

2. 3 「2. 要望内容に係る欧米での承認等の状況」

2. 3. 1 欧米等6か国での承認状況

- ・ 欧米等6か国で要望内容が承認されている販売名及び海外販売企業名を記載すること。例；▲▲Tablet（△△社）
- ・ 欧米等6か国で要望内容が承認されている国における効能・効果、用法・用量、剤形については、その内容を省略せず記載し、要望内容に関連する箇所に下線を

付けること。

- ・ 欧米等6か国のうち、2か国以上で要望内容が承認されている場合、各国のそれぞれの欄に承認内容を記載すること。なお、EU で承認されている場合、英国の欄に承認内容を記載し、独国及び仏国は備考欄に「英国と同じ」と記載することで差し支えない。
- ・ 要望内容が承認されていない国は、当該国の欄に「承認なし」と記載すること。
- ・ 要望内容について、1か国で複数の医薬品（後発医薬品を除く）が承認されている場合は、以下の例のように記載すること。

<記載例>

欧米各国での承認内容（要望内容に関連する箇所の下線）		
米国	販売名（企業名）	① ▲▲Tablet（△△社） ② ▽▽Tablet（▼▼社）
	効能・効果	① ◆◆症 ② ◆◆症
	用法・用量	① 通常、成人には◇◇・・・。 ② 通常、成人には■●・・・。また、・・・。
	備考	① 本剤投与開始1年間は3か月毎に・・・に係る検査を実施すること。 ② 本剤投与開始1年間は定期的（3か月毎）に・・・に係る検査を実施すること。

- ・ 要望内容が承認されていることの根拠資料として、承認されている国における当該医薬品の添付文書等を提出すること。また、欧米等6か国で要望内容が承認されている場合で添付文書等の写し等の提出がないものについては、検討対象外として取り扱うので留意すること。
- ・ 要望医薬品を使用する際に、検査（血中濃度測定、遺伝子検査等）や医療機器（投与ポンプ等）が必要とされている場合には、検査や医療機器に関連する欧米等6か国の添付文書上の該当箇所を「備考」欄に記載すること（検査の内容及び目的が明瞭になるように記載すること）。

2. 3. 2 欧米等6か国での標準的使用状況

- ・ 欧米等6か国において、一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量、剤形で広く使用されていることが確認できるガイドライン等の情報を記載すること。
- ・ 欧米等6か国において、広く医師が参照する学会又は組織の最新のガイドラインに記載された効能・効果、用法・用量、剤形について、要望内容に関連する記載

を含む箇所を記載すること（要望内容に関連する箇所に下線を付けること）。

- ・ ガイドラインの記載の根拠となっている文献の情報を記載すること。
- ・ 欧米等6か国のうち、2か国以上で要望内容について、一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量、剤形で広く使用されている場合は、各国のそれぞれの欄に記載すること。
- ・ 要望内容について、特定の用法・用量、剤形で広く使用されていない国又はその状況が不明な国については、当該国の欄に、それぞれ、「標準的使用なし」又は「不明」と記載すること。
- ・ 要望内容が一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量、剤形で広く使用されていることの根拠資料として、ガイドライン及びガイドラインに記載された内容の根拠となる文献を提出すること。また、ガイドライン及びガイドラインに記載された内容の根拠となる文献について、後述の「3.（1）無作為化比較試験、薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況」及び「3.（2）Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況」項に概要を記載すること。なお、文献の提出や当該文献の概要の記載がないものについては、要望対象外として取り扱うので留意すること。
- ・ 要望医薬品を使用する際に、検査（血中濃度測定、遺伝子検査等）や医療機器（投与ポンプ等）が必要とされている場合には、検査や医療機器に関連する欧米等6か国のガイドライン等の該当箇所を「備考」欄に記載すること。また、記載にあたっては、検査の内容及び目的が明瞭になるように留意すること。
- ・ 欧米等6か国において公的医療保険が適用されている場合は、「備考」欄に当該保険の種類並びに認められている効能・効果、用法・用量及び剤形を記載すること。また、その根拠となる資料を提出すること。

2. 4 「3. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について」

- ・ 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」においてとりまとめられた「公知申請への該当性に係る報告書」（下記リンク先参照）を参考にしつつ作成すること。

(URL:<http://www.mhlw.go.jp/shingi/2010/05/s0521-5.html>)

2. 4. 1 「（1）無作為化比較試験・薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況」

- ・ 文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果を提示した上で、その検索結果から選定した文献の選定理由及びその文献の概要を記載すること。
- ・ 科学性について十分に配慮した上で文献を引用すること。
- ・ 無効とする文献や、安全性に懸念を示す文献があれば、これも理由とともに記載

すること。

- ・ 要望者が提示したガイドライン上に記載されている内容の根拠文献については、当該根拠文献の記載に下線を付すこと。また、当該文献が記載されているガイドライン名等についても併記すること。（例；〇〇ガイドラインの引用文献番号▲▲）

公表文献による臨床試験の概要説明には、どのような臨床試験であるか（プラセボ対照二重盲検比較試験など）、対象（疾患名、重篤度、症例数、年齢など）、具体的な有効性評価（主要評価項目、例数や統計的評価など）、及び安全性評価（有害事象の頻度、程度、主な有害事象名など）はエビデンスの評価を行う際に重要な情報であることから最低限記載し、その他医薬品の評価に必要な情報を含めること。なお、これらの項目のうち文献に記載のないものについては、「記載なし」と明示すること。

- ・ 公表文献による臨床試験の概要説明には、可能な限り、使用剤形、投与経路、用法・用量についての情報を網羅するように記載すること（要望内容に合致した臨床試験か否か明確になるように記載すること）。なお、これらの項目のうち文献に記載がないものについては、「記載なし」と明示すること。
- ・ 小児の用量（年齢（または体重、体表面積等）ごとの用量等）の設定の根拠になり得る薬物動態試験の内容については、その試験内容の概略（試験目的、試験デザイン、試験結果等）を説明すること。
- ・ 臨床使用実態について、臨床試験以外の公表文献がある場合には、その情報の内容について、記載を引用しながら説明すること。
- ・ 本邦での臨床使用実態が、国内ガイドラインの記載または成書の記載のみで、実際に日本人患者に投与した際の有効性及び安全性に関する情報が確認できなかった（公表文献等から裏付けられなかった）場合は、その旨を記載すること。
- ・ 要望内容に係る国内外のエビデンスについて、要望医薬品のエビデンスだけでは十分ではなく、要望医薬品の塩違い製剤のエビデンスを引用する必要がある場合は、塩違い製剤のエビデンスである旨を明記すること。
- ・ ICH-GCP 準拠の臨床試験の結果をまとめたものについては、その旨がわかるように記載すること。

2. 4. 2 「(2) Peer-review journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況」

- ・ 都合のよい総説のみを引用せず、公平に評価すること。
- ・ メタ・アナリシスについては結論だけでなく、評価内容等についても必要に応じて記載すること。
- ・ 要望内容に係る国内外のエビデンスについて、要望医薬品のエビデンスだけでは十分ではなく、要望医薬品の塩違い製剤のエビデンスを参考資料として引用する

必要がある場合、塩違い製剤のエビデンスである旨を明記すること。

2. 4. 3 「(3) 教科書等への標準的療法としての記載状況」

- ・ 国内外の代表的教科書、薬用量ハンドブックなどの記載状況を列挙すること。
- ・ 要望医薬品の塩違い製剤の記載を参考情報として引用する必要がある場合、必ず塩違い製剤のエビデンスである旨を明記すること。

2. 4. 4 「(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況」

- ・ ガイドライン名の他、学会名や組織名等を含む出典も記載すること。海外のガイドラインについては、国名も記載すること。
- ・ 要望内容（効能・効果、用法・用量等）に関連する記載を含む項目を記載し、要望内容に関連する箇所に下線を付けること。
- ・ 要望医薬品についての記載ではなく、要望医薬品の塩違い製剤の記載を引用する必要がある場合、必ず塩違い製剤のエビデンスである旨を明記すること。

2. 4. 5 「(5) 要望内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態(上記(1)以外)について」

- ・ 本邦での臨床試験成績について、公表文献以外の情報（例えば、公表承認申請資料、厚生労働科学研究費補助金研究事業の報告書など）がある場合、その情報の内容について、記載を引用しながら説明すること。
- ・ その他、上記(1)の留意事項に沿って記載すること。

2. 4. 6 「(6) 上記の(1)から(5)を踏まえた要望の妥当性について」

- ・ 欧米等6か国の状況や公表文献等を精査し、要望した内容が、日本の医療環境等に照らしても外挿できるということについて評価を行った上で、その評価結果を詳細に記載すること。

○＜要望効能・効果について＞

- ・ 本邦において要望する「効能・効果」の妥当性について説明すること。
- ・ 記載にあたっては、国内外で承認されている同種同効薬等の「効能・効果」の記載も参考とすること。
- ・ 上記の(1)から(5)項に記載した内容を引用する場合には、該当する引用文献が明確になるように記載すること。

○＜要望用法・用量について＞

- ・ 本邦において要望する「用法・用量」の記載の妥当性について説明すること。
- ・ 上記の(1)から(5)項に記載した内容を引用する場合には、該当する引用文献が明確になるように記載すること。

- ・ 要望内容に複数の剤形が含まれ、それぞれ用法・用量が異なる場合は、剤形ごとに「用法・用量」を記載すること。

○＜臨床的位置づけについて＞

- ・ 要望医薬品の欧米での臨床的位置付け、要望医薬品の本邦で承認された場合に想定される臨床的位置付け（例えば、既存療法よりも位置付けが高いのか否か）について、根拠となる文献等を提示しながら、記載すること。

2. 5 「4. 実施すべき試験の種類とその方法案」

- ・ 本邦で薬事承認を取得するため、どのような臨床試験が必要か（プラセボ対照二重盲検比較試験による用量設定試験（第Ⅱ相試験）、検証試験（第Ⅲ相試験）等）、可能な限り詳細に記載すること。また、公知申請が妥当と考える場合、その根拠について詳細に記載すること。

2. 6 「5. 備考」

- ・ 関係企業から要望内容について照会等を受けても差し支えない場合は、対応できる担当者の氏名及び連絡先（電話番号、FAX 番号及び E-mail アドレス）を記載すること。
- ・ そのほか、上記の要望書の記載項目に該当しない内容があれば、当該項目に記載すること。

2. 7 「6. 参考文献一覧」

- ・ 引用文献等の資料は、可能な限り要望書に添付すること。
- ・ 欧米等 6 か国で要望内容が承認されている医薬品である場合に上記「2. 3. 1 欧米等 6 か国での承認状況」項で必要とされる海外添付文書、また、上記「2. 3. 2 欧米等 6 か国での標準的使用状況」項で必要とされるガイドライン等の文献については、必ず提出すること。

(別添様式 1 - 3)

特定用途医薬品の開発要望又は開発提案
(小児の疾病の診断、治療又は予防)

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名 ;) ☐ 患者団体 (患者団体名 ;) ☐ 製造販売業者 (製造販売業者名 :) ☐ 個人 (氏名 ;)	
要望・提案する医薬品	成分名 (一般名)	
	販売名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案内容	効能・効果 (要望・提案する効能・効果について記載する。)	
	用法・用量 (要望・提案する用法・用量について記載する。)	
	剤形 (要望・提案する剤形について記載する。)	
	備考	(特記事項等)

要望・提案する用途に係る対象者数 (推定方法についても記載する。)	約 _____ 人 ＜推定方法＞
国内の承認内容	(効能・効果、用法・用量及び剤形を記載する)
特定用途医薬品への該当性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。)	1. 対象とする用途に用いるために必要な開発 ☐ア 用法又は用量の変更 ☐イ 剤形の追加 (上記の基準に該当すると考えた根拠) 2. 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと ☐ア 既存の治療法、予防法又は診断法（以下「治療法等」という。）がないもの（医薬品を用いるもの以外に標準的な治療法等がない場合であって、小児に対する用法及び用量が設定された医薬品がない場合を含む） ☐イ 小児にとっての有効性、安全性又は肉体的・精神的な患者若しくは介護者負担の観点から、既存の治療法等より医療上の有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること ① 適応疾患が重篤である、又は重篤な疾患に対して支持的に用いるもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)

追加のエビデンス (使用実態調査を含む) 収集への協力	☐ 可 ☐ 不可 (必ずいずれかをチェックする。)
備 考	

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での承認内容〕		
		欧米各国での承認内容 (要望・提案内容に関連する箇所を下線)	
	米国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	英国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	独国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	仏国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	加国	販売名 (企業名)	
効能・効果			

		用法・用量	
		備考	
	豪州	販売名（企業名）	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	

欧米等 6 か国での標準的使用状況 （欧米等 6 か国で要望・提案内容に関する承認がない適応外薬についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕		
		欧米各国での標準的使用内容（要望・提案内容に関連する箇所に下線）	
	米国	ガイドライン名	
		効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	
		用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライン名	
		効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	
		用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン名	
		効能・効果	

		(または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン 名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン 名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライン 名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量	

		(または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験、薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況

<文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等> 1) <海外における臨床試験等> 1) <日本における臨床試験等※> 1)
--

※ICH-GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

<海外における教科書等> 1) <日本における教科書等> 1)
--

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

<海外におけるガイドライン等> 1) <日本におけるガイドライン等> 1)
--

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の (1) から (5) を踏まえた要望・提案の妥当性について

＜要望・提案の効能・効果について＞

1)

＜要望・提案の用法・用量について＞

1)

＜要望・提案の剤形について＞

1)

＜臨床的位置づけについて＞

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

＜担当者氏名及び連絡先＞

＜その他＞

1)

6. 参考文献一覧

1)

(別添様式 1 - 4)

特定用途医薬品の開発要望又は開発提案
(薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防)
～薬剤耐性を有する病原体を対象とした薬剤の場合～

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名；) ☐ 患者団体 (患者団体名；) ☐ 製造販売業者 (製造販売業者名：) ☐ 個人 (氏名；)	
要望・提案する医薬品	成分名 (一般名)	
	販売名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案内容	効能・効果 (要望・提案する効能・効果について記載する。)	
	用法・用量 (要望・提案する用法・用量について記載する。)	
	備考	(特記事項等)
要望・提案する用途に係る対象者数	約 人 <推定方法>	

(推定方法 についても 記載する。)	
国内の承認内容	(効能・効果及び用法・用量を記載する)
特定用途 医薬品への 該当性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。)	1. 対象とする用途に用いるために必要な開発 ☐ア 効能又は効果の変更 ☐イ 用法又は用量の変更 (上記の基準に該当すると考えた根拠) 2. 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと ① 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する(又は有することとなる可能性がある)病原体を対象とするものであること (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 当該主として用いられている薬剤以外に対象とする病原体による疾患に対して承認された医薬品がないこと (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること ① 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)
追加のエビデンス (使用実態調査を	☐可 ☐不可 (必ずいずれかをチェックする。)

含む) 収集への協力	
備考	

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での承認内容〕		
		欧米各国での承認内容 (要望・提案内容に関連する箇所に下線)	
	米国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	英国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	独国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	仏国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	加国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	豪州	販売名 (企業名)	

		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
欧米等 6 か国での標準的使用状況 (欧米等 6 か国で要望・提案内容に関する承認がない適応外薬についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。)	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕		
		欧米各国での標準的使用内容 (要望・提案内容に関連する箇所に下線)	
	米国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量	

		(または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン 名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン 名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライン 名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン	

	の根拠論文	
	備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験、薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床試験等＞

1)

＜日本における臨床試験等※＞

1)

※ICH-GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1)

＜日本における教科書等＞

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1)

＜日本におけるガイドライン等＞

1)

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の（1）から（5）を踏まえた要望・提案の妥当性について

＜要望・提案効能・効果について＞

1)

＜要望・提案用法・用量について＞

1)

＜臨床的位置づけについて＞

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

＜担当者氏名及び連絡先＞

＜その他＞

1)

6. 参考文献一覧

1)

(別添様式 1 - 5)

特定用途医薬品の開発要望又は開発提案

(薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防)

～薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤の場合～

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名；) ☐ 患者団体 (患者団体名；) ☐ 製造販売業者 (製造販売業者名；) ☐ 個人 (氏名；)	
要望・提案する医薬品	成分名 (一般名)	
	販売名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案内容	効能・効果 (要望・提案する効能・効果について記載する。)	
	用法・用量 (要望・提案する用法・用量について記載する。)	
	備考	(特記事項等)
要望・提案する用途に係る対象者数	約 人 <推定方法>	

(推定方法 についても 記載する。)	
国内の承認内容	(効能・効果及び用法・用量を記載する)
特定用途 医薬品への 該当性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。)	1. 対象とする用途に用いるために必要な開発 ☐ア 効能又は効果の変更 ☐イ 用法及び用量の変更 (上記の基準に該当すると考えた根拠) 2. 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと ☐ア 既承認の用法及び用量で使用する、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあること ☐イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する使用価値を有すること ① 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)
追加のエビデンス (使用実態調査を	☐可 ☐不可 (必ずいずれかをチェックする。)

含む) 収集への協力	
備考	

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	[欧米等 6 か国での承認内容]		
		欧米各国での承認内容 (要望・提案内容に関連する箇所に下線)	
	米国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	英国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	独国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	仏国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	加国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	豪州	販売名 (企業名)	

		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
欧米等 6 か国での標準的使用状況 (欧米等 6 か国で要望・提案内容に関する承認がない適応外薬についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。)	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕		
		欧米各国での標準的使用内容 (要望・提案内容に関連する箇所の下線)	
	米国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量	

		(または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン 名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン 名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライン 名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン	

	の根拠論文	
	備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験、薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床試験等＞

1)

＜日本における臨床試験等※＞

1)

※ICH-GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1)

＜日本における教科書等＞

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1)

＜日本におけるガイドライン等＞

1)

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の（1）から（5）を踏まえた要望・提案の妥当性について

＜要望・提案効能・効果について＞

1)

＜要望・提案用法・用量について＞

1)

＜臨床的位置づけについて＞

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

＜担当者氏名及び連絡先＞

＜その他＞

1)

6. 参考文献一覧

1)

総括表（特定用途医薬品）

別紙様式2-3

提出者名		
ご担当者名		
ご連絡先	住所	〒
	TEL	
	E-mail	

成分名	販売名	会社名	関連学会	要望の分類※	効能・効果	用法・用量	剤形

(例) ○○	○○	○○株式会社	○○学会	○○	○○	○○	○○
--------	----	--------	------	----	----	----	----

- ※ 1:小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの
 2-1:薬剤耐性を有する病原体を対象とした薬剤
 2-2:薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤

(様式1)

特定用途医療機器の開発要望又は開発提案
(小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いる医療機器)

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名 ;) ☐ 患者団体 (患者団体名 ;) ☐ 個人 (氏名 ;)	
要望・提案する医療機器	一般的名称	
	製品名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案適応疾患	(未承認機器の場合に記載する。)	
	備考	(特記事項等)
要望・提案内容	形状、構造及び原理 (要望・提案する形状、構造及び原理について記載する。)	(適応外機器の場合に記載する。)

	使用方法 (要望・提案する使用方法について記載する。)	(適応外機器の場合に記載する。)										
	備 考	(特記事項等)										
要望・提案する用途に係る対象者数 (推定方法についても記載する。)	約 _____ 人 <推定方法>											
国内の承認の有無	・該当するものにチェックし、必要事項を記載すること。 ☐ 有 <table border="1" data-bbox="368 1180 1297 1476"> <tr> <td>販売名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>承認番号</td> <td></td> </tr> <tr> <td>企業名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>形状、構造及び原理</td> <td></td> </tr> <tr> <td>使用方法</td> <td></td> </tr> </table> ☐ 無		販売名		承認番号		企業名		形状、構造及び原理		使用方法	
販売名												
承認番号												
企業名												
形状、構造及び原理												
使用方法												
特定用途医療機器への該当性 (該当するものにチェックし、該当すると考	1. 対象疾患 ☐ ア 小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 2 の 5 又は法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けようとするもの ☐ イ 既に法第 23 条の 2 の 5 又は法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けているものであって、形状、構造及び原理又は使用方法を変更す											

えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。	ることにより、小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) 2. 対象とする用途への需要の充足性 ☐ア 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの ☐イ 有効性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の治療法等より有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること ① 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)
追加のエビデンス（使用実態調査を含む）収集への協力	☐可 ☐不可 (必ずいずれかをチェックする。)
備 考	

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米での承認状況	☐ 米国
----------	-----------------------------

(該当するものにチェックし、必要事項を記載してください。製品が複数ある場合はそれぞれ記載してください。) ☐ 欧州 ☐ 欧米未承認 ☐ ① 優れた試験成績が論文等で公表されているもの ☐ ② 医師主導治験を実施中または終了したもの ☐ ③ 先進医療Bで一定の実績があるもの (上記に該当すると考えた根拠を記載してください。①又は③に該当する場合は、根拠となる公表論文等を必ず記載してください。) (論文●※) ※要望書において根拠として引用する公表論文の通し番号を●に記載してください。	承認年月日	
	PMA / 510K / De Novo/ HDE Number	
	承認されている 適応の内容	(対象疾患、対象部位、使用目的等について記載してください。)
	☐ 欧州	
	CE マーク年月 日	
	承認されている 適応の内容	(対象疾患、対象部位、使用目的等について記載してください。)
	☐ 欧米未承認	
	☐ ① 優れた試験成績が論文等で公表されているもの ☐ ② 医師主導治験を実施中または終了したもの ☐ ③ 先進医療Bで一定の実績があるもの (上記に該当すると考えた根拠を記載してください。①又は③に該当する場合は、根拠となる公表論文等を必ず記載してください。) (論文●※) ※要望書において根拠として引用する公表論文の通し番号を●に記載してください。	
	書誌事項	
	試験・研究デザイン	(システマティック・レビュー、ランダム化比較試験のメタアナリシス、ランダム化比較試験、非ランダム化比較試験、単腕試験等、エビデンスレベルが分かるように記載してください。)
対象	(対象症例について、症例数を含めて記載してください。)	
目的	(試験・研究の目的について、評価項目、達成基準等を含めて記載してください。)	
結果		

欧米での標準的使用状況 (欧米で要望・提案内容に関する承認がない機器についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。)	☐ 米国 ☐ 欧州		
	欧米での標準的使用内容（要望・提案内容に関連する箇所を下線）		
	米国	ガイドライン名	
		使用内容 (対象疾患、対象部位、使用目的等について記載する。)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	欧州	ガイドライン名	
		使用内容 (対象疾患、対象部位、使用目的等について記載する。)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験等に係る公表文献としての報告状況

<文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等>

1)

<海外における臨床試験等※>

1)

<日本における臨床試験等※>

1)

※GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

<海外における教科書等>

1)

<日本における教科書等>

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

<海外におけるガイドライン等>

1)

<日本におけるガイドライン等>

1)

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態(上記(1)以外)について

1)

(6) 上記の(1)から(5)を踏まえた要望・提案の妥当性について

<要望・提案の使用方法について>

1)

<臨床的位置づけについて>

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

<担当者氏名及び連絡先>

<その他>

1)

6. 参考文献一覧

1)

総括表（特定用途医療機器）

提出者名						
ご担当者名						
ご連絡先	住所	〒				
	TEL					
	E-mail					
販売名	会社名	関連学会	要望の分類 未承認機器:1 適応外機器:2	適応疾患 （未承認機器の場合に記載する。）	形状、構造及び原理 （適応外機器の場合に記載する。）	使用方法 （適応外機器の場合に記載する。）
(例)〇〇	〇〇株式会社	〇〇学会	〇〇		〇〇	〇〇

(様式2)

特定用途体外診断用医薬品の開発要望又は開発提案
(小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いる体外診断用医薬品)

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名 ;) ☐ 患者団体 (患者団体名 ;) ☐ 製造販売業者 (製造販売業者名 :) ☐ 個人 (氏名 ;)	
要望・提案する体外診断用医薬品	一般的名称	
	製品名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案内容	使用目的 (要望・提案する使用目的について記載する。)	
	使用方法 (要望・提案する使用方法について記載する。)	
	備考	(特記事項等)
要望・提案する用途に係る対象者数 (推定方法	約 _____ 人 <推定方法>	

についても記載する。)											
国内の承認の有無	・該当するものにチェックし、必要事項を記載すること。 ☐ 有 <table border="1"> <tr> <td>販売名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>承認番号</td> <td></td> </tr> <tr> <td>企業名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>使用目的</td> <td></td> </tr> <tr> <td>使用方法</td> <td></td> </tr> </table> ☐ 無	販売名		承認番号		企業名		使用目的		使用方法	
販売名											
承認番号											
企業名											
使用目的											
使用方法											
特定用途 体外診断 用医薬品 への該当 性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。)	1. 対象疾患 ☐ 法第23条の2の5又は法第23条の2の17の承認を受けているものであって、その使用目的又は使用方法を変更して、小児の疾病の診断の用途に用いることとなるものであること (上記の基準に該当すると考えた根拠) 2. 対象とする用途への需要の充足性 ☐ ア 対象とする疾病に対して診断を行うための方法が確立されていないもの ☐ イ 有用性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の診断法等よりも有効性の高い診断法が必要とされているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること ① 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)										
追加のエビデンス (使用実態調査を含む) 収集への協力	☐ 可 ☐ 不可 (必ずいずれかをチェックする。)										

備 考	
-----	--

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 （該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での承認内容〕		
		欧米各国での承認内容（要望・提案内容に関連する箇所に下線）	
	米国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	英国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	独国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	仏国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	加国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	豪州	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	欧米等 6 か国での標準的使用状況 （欧米等 6 か国で要望・提案内容に関する承認がない品についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州	
〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕			
		欧米各国での標準的使用内容（要望・提案内容に関連する箇所に下線）	
米国		ガイドライン名	
		使用目的 （または使用目的に関連のある記載箇所）	
		使用方法 （または使用方法に関連のある	

		記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目的 に関連のある 記載箇所)	
		使用方法 (または使用方法 に関連のある 記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目的 に関連のある 記載箇所)	
		使用方法 (または使用方法 に関連のある 記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目的 に関連のある 記載箇所)	
		使用方法 (または使用方法 に関連のある 記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン 名	
		使用目的 (ま たは使用目的 に関連のある記載 箇所)	
		使用方法 (または使用方 法に関連のある 記載箇所)	

		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目 的に関連のある 記載箇所)	
		使用方法 (または使用方 法に関連のある 記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 臨床性能試験等に係る公表文献としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床性能試験等＞

1)

＜日本における臨床性能試験等＞

1)

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1)

＜日本における教科書等＞

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1)

＜日本におけるガイドライン等＞

1)

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床性能試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の(1)から(5)を踏まえた要望・提案の妥当性について

<要望・提案の使用方法について>

1)

<臨床的位置づけについて>

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

<担当者氏名及び連絡先>

<その他>

1)

6. 参考文献一覧

1)

(様式3)

特定用途体外診断用医薬品の開発要望又は開発提案
(薬剤耐性を有する病原体を対象とする体外診断用医薬品)

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名 ;) ☐ 患者団体 (患者団体名 ;) ☐ 製造販売業者 (製造販売業者名 ;) ☐ 個人 (氏名 ;)	
要望・提案する体外診断用医薬品	一般的名称	
	製品名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案内容	使用目的 (要望・提案する使用目的について記載する。)	
	使用方法 (要望・提案する使用方法について記載する。)	
	備考	(特記事項等)
要望・提案する用途に係る対象者数 (推定方法)	約 人 <推定方法>	

についても記載する。)											
国内の承認の有無	・該当するものにチェックし、必要事項を記載すること。 ☐ 有 <table border="1"> <tr> <td>販売名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>承認番号</td> <td></td> </tr> <tr> <td>企業名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>使用目的</td> <td></td> </tr> <tr> <td>使用方法</td> <td></td> </tr> </table> ☐ 無	販売名		承認番号		企業名		使用目的		使用方法	
販売名											
承認番号											
企業名											
使用目的											
使用方法											
特定用途 体外診断 用医薬品 への該当 性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。)	1. 対象疾患 ☐ その使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行い、薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断の用途に用いることとなるものであること (上記の基準に該当すると考えた根拠) 2. 対象とする用途への需要の充足性 ☐ ア 薬剤に耐性を有する病原体又は有することとなる可能性がある病原体を対象とするものであること ☐ イ 当該薬剤以外に必要な性能を有す体外診断用医薬品が我が国において製造販売されていないこと (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること ① 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の観点から、必要性が高いこと。 (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)										
追加のエビデンス (使用実態調査を含む) 収集への協力	☐ 可 ☐ 不可 (必ずいずれかをチェックする。)										

備 考	
-----	--

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 （該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での承認内容〕		
		欧米各国での承認内容（要望・提案内容に関連する箇所に下線）	
	米国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	英国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	独国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	仏国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	加国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	豪州	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	欧米等 6 か国での標準的使用状況 （欧米等 6 か国で要望・提案内容に関する承認がない品についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州	
〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕			
		欧米各国での標準的使用内容（要望・提案内容に関連する箇所に下線）	
米国		ガイドライン名	
		使用目的 （または使用目的に関連のある記載箇所）	
		使用方法 （または使用方法に関連のある	

		記載箇所)	
		ガイドラインの 根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目的に 関連のある記載箇所)	
		使用方法 (または使用方法に 関連のある記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目的に 関連のある記載箇所)	
		使用方法 (または使用方法に 関連のある記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目的に 関連のある記載箇所)	
		使用方法 (または使用方法に 関連のある記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン 名	
		使用目的 (ま たは使用目的に 関連のある記載 箇所)	
		使用方法 (または使用方 法に関連のある 記載箇所)	

		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目 的に関連のある 記載箇所)	
		使用方法 (または使用方 法に関連のある 記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 臨床性能試験等に係る公表文献としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床性能試験等＞

1)

＜日本における臨床性能試験等＞

1)

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1)

＜日本における教科書等＞

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1)

＜日本におけるガイドライン等＞

1)

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床性能試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の(1)から(5)を踏まえた要望・提案の妥当性について

<要望・提案の使用方法について>

1)

<臨床的位置づけについて>

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

<担当者氏名及び連絡先>

<その他>

1)

6. 参考文献一覧

1)

(様式4)

特定用途体外診断用医薬品の開発要望又は開発提案
(薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための体外診断用医薬品)

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名 ;) ☐ 患者団体 (患者団体名 ;) ☐ 製造販売業者 (製造販売業者名 :) ☐ 個人 (氏名 ;)	
要望・提案する体外診断用医薬品	一般的名称	
	製品名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案内容	使用目的 (要望・提案する使用目的について記載する。)	
	使用方法 (要望・提案する使用方法について記載する。)	
	備考	(特記事項等)
要望・提案する用途に係る対象者数 (推定方法	約 _____ 人 <推定方法>	

についても記載する。)											
国内の承認の有無	・該当するものにチェックし、必要事項を記載すること。 ☐ 有 <table border="1"> <tr> <td>販売名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>承認番号</td> <td></td> </tr> <tr> <td>企業名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>使用目的</td> <td></td> </tr> <tr> <td>使用方法</td> <td></td> </tr> </table> ☐ 無	販売名		承認番号		企業名		使用目的		使用方法	
販売名											
承認番号											
企業名											
使用目的											
使用方法											
特定用途 体外診断 用医薬品 への該当 性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。)	1. 対象疾患 ☐ その使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行い、薬剤耐性を有する病原体の発生を防ぐために行う診断の用途に用いることとなるものであること (上記の基準に該当すると考えた根拠) 2. 対象とする用途への需要の充足性 ☐ ア 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせるおそれがあること ☐ イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること ① 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の総合的な観点から、必要性が高いこと。 (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)										
追加のエビデンス (使用実態調査を含む) 収集への協力	☐ 可 ☐ 不可 (必ずいずれかをチェックする。)										

備 考	
-----	--

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 （該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での承認内容〕		
		欧米各国での承認内容（要望・提案内容に関連する箇所の下線）	
	米国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	英国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	独国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	仏国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	加国	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	豪州	販売名（企業名）	
		使用目的	
		使用方法	
		備考	
	欧米等 6 か国での標準的使用状況 （欧米等 6 か国で要望・提案内容に関する承認がない品についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州	
〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕			
		欧米各国での標準的使用内容（要望・提案内容に関連する箇所の下線）	
米国		ガイドライン名	
		使用目的 （または使用目的に関連のある記載箇所）	
		使用方法 （または使用方法に関連のある	

		記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目的 に関連のある 記載箇所)	
		使用方法 (または使用方法 に関連のある 記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目的 に関連のある 記載箇所)	
		使用方法 (または使用方法 に関連のある 記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目的 に関連のある 記載箇所)	
		使用方法 (または使用方法 に関連のある 記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン 名	
		使用目的 (ま たは使用目的に 関連のある記載 箇所)	
		使用方法 (または使用方 法に関連のある 記載箇所)	

		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライン 名	
		使用目的 (または使用目 的に関連のある 記載箇所)	
		使用方法 (または使用方 法に関連のある 記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 臨床性能試験等に係る公表文献としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床性能試験等＞

1)

＜日本における臨床性能試験等＞

1)

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1)

＜日本における教科書等＞

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1)

＜日本におけるガイドライン等＞

1)

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床性能試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の(1)から(5)を踏まえた要望・提案の妥当性について

<要望・提案の使用方法について>

1)

<臨床的位置づけについて>

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

<担当者氏名及び連絡先>

<その他>

1)

6. 参考文献一覧

1)

総括表（特定用途体外診断用医薬品）

提出者名					
ご担当者名					
ご連絡先	住所	〒			
	TEL				
	E-mail				
販売名	会社名	関連学会	要望の種類※	使用目的	使用方法
(例)〇〇	〇〇株式会社	〇〇学会	〇〇	〇〇	〇〇
※	1:小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの				
	2-1:薬剤耐性を有する病原体を対象としたもの				
	2-2:薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するためのもの				

(様式8)

特定用途再生医療等製品の開発要望又は開発提案
(小児の疾病の治療又は予防を用途とする再生医療等製品)

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名 ;) ☐ 患者団体 (患者団体名 ;) ☐ 製造販売業者 (製造販売業者名 :) ☐ 個人 (氏名 ;)	
要望・提案する再生医療等製品	一般的名称	
	製品名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案適応疾患	(未承認製品の場合に記載する。)	
	備考	(特記事項等)
要望・提案内容	用法、用量又は使用方法 (要望・提案する用法、用量又は使用方法について記載する。)	(適応外製品の場合に記載する。)
	備考	(特記事項等)
要望・提案する用途に係る対象者数	約 _____ 人 <推定方法>	

(推定方法についても記載する。)											
国内の承認の有無	・該当するものにチェックし、必要事項を記載すること。 ☐ 有 <table border="1" data-bbox="368 423 1297 674"> <tr><td>販売名</td><td></td></tr> <tr><td>承認番号</td><td></td></tr> <tr><td>企業名</td><td></td></tr> <tr><td>効能、効果又は性能</td><td></td></tr> <tr><td>用法、用量又は使用方法</td><td></td></tr> </table> ☐ 無	販売名		承認番号		企業名		効能、効果又は性能		用法、用量又は使用方法	
販売名											
承認番号											
企業名											
効能、効果又は性能											
用法、用量又は使用方法											
特定用途再生医療等製品への該当性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。)	1. 対象疾患 ☐ ア 小児の疾病の治療又は予防に用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けようとするもの ☐ イ 既に法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けているものであって、その用法、用量又は使用方法又は使用方法を変更することにより、小児の疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) 2. 対象とする用途への需要の充足性 ☐ ア 既存の治療法又は予防法がないもの ☐ イ 有効性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の治療法等よりも有用性の高い治療法又は予防法が必要とされているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること ① 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)										

追加のエビデンス (使用実態調査を含む) 収集への協力	☐ 可 ☐ 不可 (必ずいずれかをチェックする。)
備 考	

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での承認内容〕		
		欧米各国での承認内容 (要望・提案内容に関連する箇所の下線)	
	米国	販売名 (企業名)	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
	英国	販売名 (企業名)	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
	独国	販売名 (企業名)	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
	仏国	販売名 (企業名)	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
	加国	販売名 (企業名)	
効能、効果又は性能			
用法、用量又は使用方法			
備考			

	豪州	販売名（企業名）	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
欧米等 6 か国での標準的使用状況 （欧米等 6 か国で要望・提案内容に関する承認がない製品についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州 〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕		
		欧米各国での標準的使用内容（要望・提案内容に関連する箇所に下線）	
	米国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 （または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所）	
		用法、用量又は使用方法 （または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所）	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 （または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所）	
		用法、用量又は使用方法 （または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所）	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 （または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所）	

		箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	

		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験等に係る公表文献としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床試験等※＞

1)

＜日本における臨床試験等※＞

1)

※GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1)

＜日本における教科書等＞

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1)

＜日本におけるガイドライン等＞

1)

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の（1）から（5）を踏まえた要望・提案の妥当性について

＜要望・提案の用法、用量又は使用方法について＞

1)

＜臨床的位置づけについて＞

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

<担当者氏名及び連絡先>

<その他>

1)

6. 参考文献一覧

1)

(様式9)

特定用途再生医療等製品の開発要望又は開発提案
(薬剤耐性を有する病原体を対象とする再生医療等製品)

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名 ;) ☐ 患者団体 (患者団体名 ;) ☐ 製造販売業者 (製造販売業者名 :) ☐ 個人 (氏名 ;)	
要望・提案する再生医療等製品	一般的名称	
	製品名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案適応疾患	(未承認製品の場合に記載する。)	
	備考	(特記事項等)
要望・提案内容	用法、用量又は使用方法 (要望・提案する用法、用量又は使用方法について記載する。)	(適用外製品の場合に記載する。)
	備考	(特記事項等)
要望・提案する用途に係る	約 人 <推定方法>	

対象者数 (推定方法 についても 記載する。)											
国内の承認の有無	・該当するものにチェックし、必要事項を記載すること。 ☐ 有 <table border="1"> <tr> <td>販売名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>承認番号</td> <td></td> </tr> <tr> <td>企業名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>効能、効果又は性能</td> <td></td> </tr> <tr> <td>用法、用量又は使用方法</td> <td></td> </tr> </table> ☐ 無	販売名		承認番号		企業名		効能、効果又は性能		用法、用量又は使用方法	
販売名											
承認番号											
企業名											
効能、効果又は性能											
用法、用量又は使用方法											
特定用途 再生医療 等製品への 該当性 (該当する ものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。)	1. 対象疾患 ☐ ア 薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療の用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けようとするもの ☐ イ 既に法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けているものであって、その効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法を変更することにより、薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるものであること (上記の基準に該当すると考えた根拠) 2. 対象とする用途への需要の充足性 ☐ ア 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する病原体又は薬剤に耐性を有することとなる可能性がある病原体を対象とするものであること ☐ イ 当該主として用いられている薬剤以外に有効性を持つ医薬品又は再生医療等製品が我が国において製造販売されていないこと (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること ① 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の観点から、必要性が高いこと。 (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)										

追加のエビデンス (使用実態調査を含む) 収集への協力	☐ 可 ☐ 不可 (必ずいずれかをチェックする。)
備 考	

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での承認内容〕		
		欧米各国での承認内容 (要望・提案内容に関連する箇所の下線)	
	米国	販売名 (企業名)	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
	英国	販売名 (企業名)	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
	独国	販売名 (企業名)	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
	仏国	販売名 (企業名)	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
	加国	販売名 (企業名)	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	

	豪州	販売名（企業名）	
		効能、効果又は性能	
		用法、用量又は使用方法	
		備考	
欧米等 6 か国での標準的使用状況 （欧米等 6 か国で要望・提案内容に関する承認がない製品についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州 〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕		
		欧米各国での標準的使用内容（要望・提案内容に関連する箇所に下線）	
	米国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 （または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所）	
		用法、用量又は使用方法 （または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所）	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 （または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所）	
		用法、用量又は使用方法 （または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所）	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能（または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所）	

		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、	

		用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験等に係る公表文献としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床試験等※＞

1)

＜日本における臨床試験等※＞

1)

※GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1)

＜日本における教科書等＞

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1)

＜日本におけるガイドライン等＞

1)

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の（1）から（5）を踏まえた要望・提案の妥当性について

＜要望・提案の用法、用量又は使用方法について＞

1)

＜臨床的位置づけについて＞

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

<担当者氏名及び連絡先>

<その他>

1)

6. 参考文献一覧

1)

(様式 10)

特定用途再生医療等製品の開発要望又は開発提案
(薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための再生医療等製品)

1. 要望・提案内容に関連する事項

要望・提案者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名 ;) ☐ 患者団体 (患者団体名 ;) ☐ 製造販売業者 (製造販売業者名 :) ☐ 個人 (氏名 ;)	
要望・提案する再生医療等製品	一般的名称	
	製品名	
	会社名	
	国内関連学会	(選定理由)
要望・提案適応疾患	(未承認製品の場合に記載する。)	
	備考	(特記事項等)
要望・提案内容	用法、用量又は使用方法 (要望・提案する用法、用量又は使用方法について記載する。)	(適応外製品の場合に記載する。)
	備考	(特記事項等)

要望・提案する用途に係る対象者数 （推定方法についても記載する。）	約 _____ 人 <推定方法>										
国内の承認の有無	・該当するものにチェックし、必要事項を記載すること。 ☐ 有 <table border="1" data-bbox="368 745 1297 1090"> <tr> <td>販売名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>承認番号</td> <td></td> </tr> <tr> <td>企業名</td> <td></td> </tr> <tr> <td>効能、効果又は性能</td> <td></td> </tr> <tr> <td>用法、用量又は使用方法</td> <td></td> </tr> </table> ☐ 無	販売名		承認番号		企業名		効能、効果又は性能		用法、用量又は使用方法	
販売名											
承認番号											
企業名											
効能、効果又は性能											
用法、用量又は使用方法											
特定用途再生医療等製品への該当性 （該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。）	1. 対象疾患 ☐ ア 薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制の用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けようとするもの ☐ イ 既に法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けているものであって、効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法を変更することにより薬剤耐性を有する病原体の発生の抑制の用途に用いることとなるもの （上記の基準に該当すると考えた根拠） 2. 対象とする用途への需要の充足性 ☐ ア 既承認の用法及び用量又は使用方法で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあること										

	☐イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと (上記の基準に該当すると考えた根拠) 3. 対象とする用途に対する特に優れた使用価値を有すること ① 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾病の重篤性等の総合的な観点から、必要性が高いこと。 (上記の基準に該当すると考えた根拠) ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの (上記の基準に該当すると考えた根拠)
追加のエビデンス (使用実態調査を含む) 収集への協力	☐可 ☐不可 (必ずいずれかをチェックする。)
備 考	

2. 要望・提案内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		
	〔欧米等 6 か国での承認内容〕		
		欧米各国での承認内容 (要望・提案内容に関連する箇所に下線)	
	米国	販売名 (企業名)	
	効能、効果又は性能		

		用法、用量又は使用 方法	
		備考	
	英国	販売名（企業名）	
		効能、効果又は性 能	
		用法、用量又は使 用方法	
		備考	
	独国	販売名（企業名）	
		効能、効果又は性 能	
		用法、用量又は使 用方法	
		備考	
	仏国	販売名（企業名）	
		効能、効果又は性 能	
		用法、用量又は使 用方法	
		備考	
	加国	販売名（企業名）	
		効能、効果又は性 能	
		用法、用量又は使 用方法	
		備考	
	豪州	販売名（企業名）	
		効能、効果又は性 能	
用法、用量又は使 用方法			
備考			
欧米等 6 か 国での標準	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 豪州		

的使用状況 (欧米等 6 か国で要望・提案内容に関する承認がない製品についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。)	〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕		
		欧米各国での標準的使用内容（要望・提案内容に関連する箇所に下線）	
	米国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、	

		効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドライン	

		の根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライン 名	
		効能、効果又は性能 (または効能、効果又は性能に関連のある記載箇所)	
		用法、用量又は使用方法 (または用法、用量又は使用方法に関連のある記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	

3. 要望・提案内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験等に係る公表文献としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床試験等※＞

1)

＜日本における臨床試験等※＞

1)

※GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1)

＜日本における教科書等＞

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1)

＜日本におけるガイドライン等＞

1)

(5) 要望・提案内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態(上記(1)以外)について

1)

(6) 上記の(1)から(5)を踏まえた要望・提案の妥当性について

＜要望・提案の用法、用量又は使用方法について＞

1)

＜臨床的位置づけについて＞

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

＜担当者氏名及び連絡先＞

＜その他＞

1)

6. 参考文献一覧

1)

総括表（特定用途再生医療等製品）

提出者名							
ご担当者名							
ご連絡先	住所	〒					
	TEL						
	E-mail						
販売名	会社名	関連学会	要望の分類 未承認製品:1 適応外製品:2	要望の種類※	適応疾患 (未承認製品の場合に記載する。)	効能、効果又は性能 (適応外製品の場合に記載する。)	用法、用量又は使用方法 (適応外製品の場合に記載する。)
(例)〇〇	〇〇株式会社	〇〇学会	〇〇	〇〇	〇〇	〇〇	〇〇
※ 1:小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの							
2-1:薬剤耐性を有する病原体を対象としたもの							
2-2:薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するためのもの							

特定用途医薬品指定申請書

名	称	
成分及び分量又は本質		
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、特定用途医薬品の指定を申請します。

年 月 日

（法人にあつては、主
たる事務所の所在地）

（法人にあつては、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、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、楷書ではっきりと書くこと。

特定用途医療機器指定申請書

類	別	
名	称	
形 状、 構 造 及 び 原 理		
原	材	料
予 定 さ れ る 使 用 目 的 又 は		
予 定 さ れ る 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、特定用途医療機器の指定を申請します。

年 月 日

（ 法人にあっては、主
たる事務所の所在地 ）

（ 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、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、楷書ではっきりと書くこと。
- 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。

特定用途医薬品（体外診断用医薬品）指定申請書

名	称	
形	状、構造及び原理	
反	応系に關与する成分	
予	定される使用目的	
予	定される使用方法	
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、特定用途医薬品（体外診断用医薬品）の指定を申請します。

年 月 日

（法人にあっては、主
たる事務所の所在地）

（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、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、楷書ではっきりと書くこと。

特定用途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		
予定される用法及び用量又は使用方		
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、特定用途再生医療等製品の指定を申請します。

年 月 日

（法人にあつては、主
たる事務所の所在地）

（法人にあつては、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、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、楷書ではっきりと書くこと。

特定用途医薬品概要

(小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの)

申請者名	英語表記を併記すること	
名称	一般的名称	INN 等の英名を併記すること
	販売名	英語表記を併記すること
対象となる効能・効果	英語表記を併記すること	
予定される用法・用量		
対象疾患について	対象疾患の概略、対象とする用途の需要の状況等を記載	
特に優れた使用価値について	特に優れた使用価値の概略説明を記載	

(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 公表資料として用いることを前提に作成すること。

特定用途医薬品概要

(薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの)

申請者名		英語表記を併記すること
名称	一般的名称	INN 等の英名を併記すること
	販売名	英語表記を併記すること
開発対象		☐ 薬剤耐性を有する病原体を対象とする薬剤 ☐ 薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤
効能・効果		☐ 効能・効果の変更なし (対象となる効能・効果: (英語表記を併記すること)) ☐ 効能・効果の変更あり (予定される効能・効果: (英語表記を併記すること))
予定される用法・用量		
対象疾患について		対象疾患の概略、対象とする用途の需要の状況等を記載
特に優れた使用価値について		特に優れた使用価値の概略説明を記載

(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 公表資料として用いることを前提に作成すること。

別紙様式 1

特定用途医療機器の指定要件該当性に関する概要
(小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの)

申請者名		
名称	一般的名称※ ¹	
	販売名※ ²	
指定要件 1	対象疾患	☐ 小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 2 の 5 又は法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けようとするもの ☐ 既に法第 23 条の 2 の 5 又は法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けているものであって、形状、構造及び原理又は使用方法を変更することにより、小児の疾病の診断、治療又は予防の用途に用いることとなるもの
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象とする用途への需要の充足性	☐ 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの ☐ 有効性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の治療法等より有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 3	対象とする用途に対する特に優れた使用価値	☐ 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの ☐ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	

※ 1 : 一般的名称が決まっていなかった場合には「新設」と記載。

※ 2 : 既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていなかった場合には仮称を記載すること。

(その他留意事項)

- 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 公表資料として用いることを前提に作成すること。

別紙様式 2

特定用途体外診断用医薬品の指定要件該当性に関する概要
(小児の疾病の診断を用途とするもの)

申請者名		
名称	一般的名称※ ¹	
	販売名※ ²	
指定要件 1	対象疾患	☐ 法第 23 条の 2 の 5 又は法第 23 条の 2 の 17 の承認を受けているものであって、その使用目的又は使用方法を変更して、小児の疾病の診断の用途に用いることとなるものであること
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象とする用途への需要の充足性	☐ 対象とする疾病に対して診断を行うための方法が確立されていないもの ☐ 有用性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の診断法等よりも有効性の高い診断法が必要とされているもの
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 3	対象とする用途に対する特に優れた使用価値	☐ 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの ☐ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	

※¹：一般的名称が決まっていなかった場合には「新設」と記載。

※²：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていなかった場合には仮称を記載すること。

(その他留意事項)

- 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 公表資料として用いることを前提に作成すること。

別紙様式 3

特定用途体外診断用医薬品の指定要件該当性に関する概要
(薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断を用途とするもの)

申請者名		
名称	一般的名称※ ¹	
	販売名※ ²	
指定要件 1	対象疾患	☐ (薬剤耐性を有する病原体を対象とする体外診断用医薬品の場合) その使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行い、薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断の用途に用いることとなるものであること
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象とする用途への需要の充足性	☐ 薬剤に耐性を有する病原体又は有することとなる可能性がある病原体を対象とするものであること ☐ 当該薬剤以外に有効性を持つ体外診断用医薬品が我が国において製造販売されていないこと
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 3	対象とする用途に対する特に優れた使用価値	☐ 対象とする薬剤耐性を有する病原体による疾患の重篤性が高い、又は感染性が高いこと ☐ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	

※ 1 : 一般的名称が決まっていなかった場合には「新設」と記載。

※ 2 : 既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていなかった場合には仮称を記載すること。

(その他留意事項)

- 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 公表資料として用いることを前提に作成すること。

別紙様式 4

特定用途体外診断用医薬品の指定要件該当性に関する概要
(薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断を用途とするもの)

申請者名		
名称	一般的名称※ ¹	
	販売名※ ²	
指定要件 1	対象疾患	☐ (薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための体外診断用医薬品の場合) その使用目的又は使用方法の変更に係る開発を行い、薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断の用途に用いることとなるものであること
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象とする用途への需要の充足性	☐ 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせるおそれがあること ☐ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 3	対象とする用途に対する特に優れた使用価値	☐ 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に、当該病原体による疾患の重篤性が高い、又は感染性が高いこと ☐ 国際的なガイドライン等で標準的な検査法として確立しているもの
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	

※¹：一般的名称が決まっていなかった場合には「新設」と記載。

※²：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていなかった場合には仮称を記載すること。

(その他留意事項)

- 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 公表資料として用いることを前提に作成すること。

特定用途再生医療等製品の指定要件該当性に関する概要
(小児の疾病の治療又は予防を用途とするもの)

申請者名		
名称	一般的名称※ ¹	
	販売名※ ²	
指定要件 1	対象疾患	☐ 小児の疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けようとするもの ☐ 既に法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けているものであって、その用法、用量又は使用方法を変更することにより、小児の疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるもの
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象とする用途への需要の充足性	☐ 既存の治療法又は予防法がないもの ☐ 有効性、安全性又は肉体的若しくは精神的な患者負担の観点から、既存の治療法等よりも有用性の高い治療法又は予防法が必要とされているもの
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 3	対象とする用途に対する特に優れた使用価値	☐ 適応疾患の重篤性が高い、又は重篤性の高い疾患に対して支持的に用いるもの ☐ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	

※ 1：一般的名称が決まっていなかった場合には「治験識別記号等」を記載。

※ 2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていなかった場合には仮称を記載すること。

(その他留意事項)

- 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 公表資料として用いることを前提に作成すること。

別紙様式 6

特定用途再生医療等製品の指定要件該当性に関する概要
(薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防を用途とするもの)

申請者名		
名称	一般的名称※ ¹	
	販売名※ ²	
指定要件 1	対象疾患	(薬剤耐性を有する病原体を対象とする再生医療等製品の場合) ☐ 薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けようとするもの ☐ 既に法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けているものであって、その効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法を変更することにより、薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるものであること
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象とする用途への需要の充足性	☐ 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する病原体又は薬剤に耐性を有することとなる可能性がある病原体を対象とするものであること ☐ 当該主として用いられている薬剤以外に有効性を持つ医薬品又は再生医療等製品が我が国において製造販売されていないこと
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 3	対象とする用途に対する特に優れた使用価値	☐ 対象とする薬剤耐性を有する病原体による疾患の重篤性が高い、又は感染性が高いこと ☐ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	

※ 1 : 一般的名称が決まっていなかった場合には「治験識別記号等」を記載。

※ 2 : 既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていなかった場合には仮称を記載すること。

(その他留意事項)

- 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 公表資料として用いることを前提に作成すること。

特定用途再生医療等製品の指定要件該当性に関する概要
(薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防を用途とするもの)

申請者名		
名称	一般的名称※ ¹	
	販売名※ ²	
指定要件 1	対象疾患	(薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための再生医療等製品の場合) ☐ 薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるものとして、法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けようとするもの ☐ 既に法第 23 条の 25 又は法第 23 条の 37 の承認を受けているものであって、その効能、効果、性能、用法、用量又は使用方法を変更することにより、薬剤耐性を有する病原体による疾病の治療又は予防の用途に用いることとなるものであること
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象とする用途への需要の充足性	☐ 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせるおそれがあること ☐ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 3	対象とする用途に対する特に優れた使用価値	☐ 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に、当該病原体による疾患の重篤性が高い、又は感染性が高いこと ☐ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する試験成績等の要旨)	

※ 1：一般的名称が決まっていなかった場合には「治験識別記号等」を記載。

※ 2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。名称が決まっていなかった場合には仮称を記載すること。

(その他留意事項)

- 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 公表資料として用いることを前提に作成すること。

様式第百八(第二百五十二条関係)

特 定 用 途 医 薬 品	試験研究	
特 定 用 途 医 療 機 器	製造販売	中止届書
特定用途体外診断用医薬品	製 造	
特定用途再生医療等製品		

指定年月日	
名 称	
中止の理由	
備 考	

特 定 用 途 医 薬 品	試験研究	
特 定 用 途 医 療 機 器	製造販売	中止の届出をします。
特定用途体外診断用医薬品	製 造	
特定用途再生医療等製品		

上記により、 の

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。