

薬生薬審発 0831 第 5 号
令和 2 年 8 月 31 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

特定用途医薬品の指定に関する取扱いについて

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の一部を改正する法律（令和元年法律第 63 号。以下「改正法」という。）が令和元年 12 月 4 日に公布され、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の研究開発の促進に寄与することを目的として、特定用途医薬品の指定制度が創設されました。改正法による改正後の医薬品、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（昭和 35 年法律第 145 号。以下「法」という。）第 77 条の 2 第 3 項に規定する特定用途医薬品の指定について下記のとおり取り扱うこととしましたので、御了知の上、貴管内関係団体、関係機関等に周知いただきますよう御配慮願います。

記

1. 指定の要件

以下の（1）又は（2）のいずれかに該当するもの。

（1）小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするものであって、以下のアからウの要件をすべて満たすもの

ア 対象とする用途に関して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

イ 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

以下のいずれかに該当するものであること

- ① 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）
- ② 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

ウ 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

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

(2) 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であって、1) 又は2) の場合に、それぞれアからウの要件をすべて満たすもの

1) 薬剤耐性を有する病原体を対象とする薬剤の場合

ア 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

イ 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

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

ウ 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

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

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の場合

ア 以下のいずれかの開発を行うものであること

- ① 用法及び用量の変更
- ② 効能又は効果の変更

イ 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

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
- 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して特に優れた使用価値を有すること

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. 指定申請までの手順

- (1) 厚生労働省は、上記1に該当する医薬品の候補について、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」という。）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」という。）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、検討会議の該当性評価の結果を、要望された医薬品の製造販売業者に通知する。
- (5) 厚生労働省から上記（4）の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。

3. 指定の手続

(1) 指定申請

特定用途医薬品の指定を受けようとするものは、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等の一部を改正する法律の施行に伴う関係省令の整備等に関する省令（令和2年厚生労働省令第155号。以下「改正省令」という。）による改正後の医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する施行規則（昭和36年厚生省令第1号。以下「規則」という。）に規定する様式第107の3に、（2）の添付資料を付し厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課（以下「医薬品審査管理課」という。）に提出すること。なお、資料は、紙媒体（正本1部、副本2部）及び電子媒体で郵送又は持参により提出すること。

郵送の場合

〒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

(2) 申請書の添付資料

改正省令による改正後の規則第251条の2第2項の規定により申請書に添付すべき資料が定められているが、その具体的な内容は次のとおりであること。なお、このほか、必要に応じて資料の提出を求めることがあること。

ア 対象とする用途に対する需要の充足状況に関する資料

上記2における開発要望及び該当性評価の概要、

イ 当該医薬品を使用する理論的根拠となる資料

改正省令による改正後の規則第40条第1項第1号掲げる資料のうち申請時において入手可能な資料の概要

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又は別紙様式

2に従って作成した概要（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）

4. 指定の方法

特定用途医薬品の指定については、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。

5. 指定された医薬品の優先的な取扱い

（1）優先相談

独立行政法人医薬品医療機器総合機構で実施されている対面助言等で、他の医薬品に優先した取扱いを受けることができる。

（2）優先審査

法第 14 条第 8 項の規定に基づき、対象品目への指定をもって優先審査の取扱いを行うこととする。

6. 試験研究等の中止

法第 77 条の 2 第 3 項の規定による指定を受けた者（以下「指定者」という。）は、当該指定に係る特定用途医薬品の試験研究、製造販売又は製造を中止しようとするときは、法第 77 条の 5 の規定に基づき、速やかに厚生労働大臣に届け出ること。

なお、中止の届出は、規則様式第 108 による届書を提出することにより行うこと。

7. 指定の取消

法第 77 条の 5 の規定による中止の届出があったときは、法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき、厚生労働大臣は、指定の取消しを行う。また、同条第 2 項の規定に基づき、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。

なお、指定の取消しの公表は、上記 4 に準じて行う。

ア 他の医薬品等が承認されたことなどにより、上記 1 のイ又はウの要件

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 正当な理由なく特定用途医薬品の試験研究又は製造販売が行われないとき。
- エ 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。

8. 承継の取扱い

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、指定者は、上記6に従って、試験研究等の中止の届出を行い、承継者は、上記3（1）の申請書及び（2）オ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。なお、承継は別途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へ相談すること。その際、承継に係る契約書の写しや承継の経緯等が把握できる資料等も提出すること。

9. 施行日

本通知は令和2年9月1日から施行する。

10. その他

特定用途医薬品の対象となる区分については、今後、必要に応じ見直しを検討するものであること。

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腰部する場合には、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	<input type="checkbox"/> 薬剤耐性を有する病原体を対象とする薬剤 <input type="checkbox"/> 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	<input type="checkbox"/> 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)) <input type="checkbox"/> 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腰部する場合には、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。