

薬機発第52号
令和7年4月1日

[別記] 殿

独立行政法人医薬品医療機器総合機構
理事長 藤原 康弘
(公 印 省 略)

令和7年度「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」に係る
相談手数料の助成について(周知)

平素より、独立行政法人医薬品医療機器総合機構の審査等業務に対し、ご理解、ご協力をいただき、ありがとうございます。

令和6年度においては、厚生労働省における医薬品等審査迅速化事業費補助金(国内未承認薬・適応外薬審査迅速化事業等)に基づき、当機構として、「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」を実施し、その一環として、当該事業に係る相談手数料について国庫補助による助成を実施したところです。

令和7年度においても、別添のとおり、当該事業に係る相談手数料を国庫補助により助成することとしますので、貴会会員への周知方よろしく願いいたします。

[別 記]

日本製薬団体連合会会長

日本製薬工業協会会長

米国研究製薬工業協会技術委員会委員長

一般社団法人欧州製薬団体連合会会長

一般社団法人日本衛生材料工業連合会会長

一般社団法人日本QA研究会会長

一般社団法人日本安全性試験受託研究機関協議会会長

一般社団法人日本血液製剤協会理事長

一般社団法人日本ワクチン産業協会理事長

公益社団法人日本医師会会長

公益社団法人東京医薬品工業協会会長

関西医薬品協会会長

一般社団法人日本バイオテック協議会会長

(別添)

**令和7年度「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」
に係る相談手数料の助成に関する実施手順書**

近年、欧米で承認されているが日本では開発が行われていない医薬品に関する課題、いわゆる「ドラッグ・ロスの拡大」が指摘されている。この背景には、日本の創薬力や市場性の低下に加え、国際的に小規模な患者群を対象とした医薬品開発の割合が増加していること等の環境変化も一因であるが、特に、市場性の小さい小児・希少疾病用等の医薬品ではその影響を受けやすい傾向にある。

このような環境変化に対応し、我が国にとって医療上必要な医薬品の開発・導入を促進する観点から、薬事開発上必要な相談環境の整備と相談者の財政負担の軽減を図ることを目的に、令和6年度から開始した「小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業」を令和7年度においても実施することとし、その一環として、下記1. ～ 3. に示す相談に係る相談手数料を国庫補助により助成する。当該助成に係る実施手順等については下記のとおり定める。

なお、この実施手順書において、次に掲げる用語の定義は、それぞれ次のとおりとする。

用語	用語の定義
機構	独立行政法人医薬品医療機器総合機構
対面助言実施要綱通知	機構理事長通知「独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う対面助言、証明確認調査等の実施要綱等について」(平成 24 年3月2日付け薬機発第0302070号)
規定額	独立行政法人医薬品医療機器総合機構審査等業務関係業務方法書実施細則(平成 16 年細則第4号)別表により規定する額
相談者	医薬品製造販売業者等の企業による申込みの場合はその企業を指す。大学・研究機関等の研究者等による申込みの場合はその研究者等を指す。
先駆け審査指定医薬品	先駆け審査指定制度又は先駆的医薬品指定制度で指定された医薬品

記

1. 「希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談」、「希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談(医薬品申請前相談あり)」

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長、医療機器審査管理課長連名通知「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 日付け薬生薬審発 0831 第7号、薬生機審発 0831 第7号。令和6年1月 16 日一部改正)により、希少疾病用医薬品の指定段階で優先審査及び優先相談には該当しないとされたものの、開発の進展とともに優先審査及び優先相談に該当すると考えられる品目については、機構の「希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談」又は「希少疾病用医薬品優先審査品目該当性相談(医薬品申請前相談あり)」を活用することにより、該当性を明らかにすることで、優先審査及び優先相談の適用を受けることができるとされたところ。

当該相談の実施要綱は、対面助言実施要綱通知の別添4にて別途示すとともに、補助の対象等は次のとおりとする。

(1) 補助の対象期間

令和7年4月1日から令和8年1月7日(必着)までに実施依頼書を受け付けたものの*を対象とする。

※令和7年度内に評価報告書を確定するものに限る。

(2) 補助の範囲

規定額の5割の納付を免除する。

ただし、補助の範囲は、1. ～3. に示す本事業の対象相談において、適正な日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順に令和7年度の予算額に達するまでとし、それ以降の相談については、相談者は規定額の納付を行う。

なお、令和7年度の予算額の上限に達する最後の1件を受け付ける日に複数の日程調整依頼書又は実施依頼書が提出された場合に限り、日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順ではなく、本年度の本事業全体で補助適用の合計額が少ない相談者の順に補助適用する。複数の相談が同列に並ぶ場合は、別紙に示す方法により補助適用となる相談を選定する。

(3) 取下げの場合

規定額の5割を納付して相談を申し込んだ後、相談者の都合により相談を取り下げる場合は、納付額の還付は行わない※(機構に対する国庫補助の充当はない。)。

ただし、機構がやむを得ないものとして認めた場合には、納付額の全額を還付する。

※補助の対象となった場合、対面助言実施要綱通知の別添4における取下げ時の半額還付の取扱いの適用は行わない。

なお、取り下げた相談申込は、(2)における当該相談者の補助適用額として数えないこととする。

2. 「小児用医薬品開発計画確認相談」

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長通知「成人を対象とした医薬品の開発期間中に行う小児用医薬品の開発計画の策定について」(令和6年1月 12 日付け医薬審発 0112 第3号。令和6年3月 29 日一部改正)により、小児用医薬品に対する早期のアクセスを確保する観点から、成人を対象とした医薬品の開発を行う場合は、当該開発の対象となる効能・効果に係る小児用医薬品の開発計画を策定し、成人を対象とした医薬品の承認申請を行うまでに、当機構の確認を受けるとともに、当該開発計画に基づいて遅滞なく開発を進めることが望ましいとされ、当機構の確認を受けるに当たっては「小児用医薬品開発計画確認相談」を活用することとされたところ。

当該相談の実施要綱は、対面助言実施要綱通知の別添 35 にて別途示すとともに、補助の対象等は次のとおりとする。

(1) 補助の対象期間

令和7年4月1日から令和8年1月7日(必着)までに実施依頼書を受け付けたものの*を対象とする。

※令和7年度内に相談記録を確定するものに限る。

(2) 補助の範囲

規定額の納付を全額免除する。

ただし、補助の範囲は、1. ～3. に示す本事業の対象相談において、適正な日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順に令和7年度の予算額に達するまでとし、それ以降の相談については、相談者は規定額の納付を行う。

なお、令和7年度の予算額の上限に達する最後の1件を受け付ける日に複数の日程調整依頼書又は実施依頼書が提出された場合に限り、日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順ではなく、本年度の本事業全体で補助適用の合計額が少ない相談者の順に補助適用する。複数の相談が同列に並ぶ場合は、別紙に示す方法により補助適用となる相談を選定する。

(3) 取下げの場合

規定額全額免除で相談を申し込んだ後、相談者の都合により取り下げた相談申込は、(2)における当該相談者からの補助適用額として数えることとする*(機構に対し規定額の5割が国庫補助により充当される。)。

ただし、取下げについて機構がやむを得ないものとして認めた場合はこの限りではない。

※補助の対象となった場合、対面助言実施要綱通知の別添 35 における取下げ時の半額還付の取扱いの適用は行わない。

3.「医薬品申請データパッケージ相談(医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発公募品)」、「医薬品申請データパッケージ相談(医師主導治験による開発品)」

当該相談の実施要綱は、対面助言実施要綱通知の別添1にて別途示すとともに、補助の対象等は次のとおりとする。

(1) 補助の対象期間

令和7年4月1日から令和8年1月7日(必着)までに日程調整依頼書を受け付けたもの※を対象とする。

※令和7年度内に相談を実施するものに限る。

(2) 補助の範囲

規定額の5割の納付を免除する。

ただし、補助の範囲は、1. ～3. に示す本事業の対象相談において、適正な日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順に令和7年度の予算額に達するまでとし、それ以降の相談については、相談者は規定額の納付を行う。

また、令和7年度の予算額に達するまでの間で5割の納付を適用するのは、1相談者当たり3件まで((1)の対象期間における提出順)とする。

なお、令和7年度の予算額の上限に達する最後の1件を受け付ける日に複数の日程調整依頼書又は実施依頼書が提出された場合に限り、日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順ではなく、本年度の本事業全体で補助適用の合計額が少ない相談者の順に補助適用する。複数の相談が同列に並ぶ場合は、別紙に示す方法により補助適用となる相談を選定する。

(3) 取下げの場合

規定額の5割を納付して相談を申し込んだ後、相談者の都合により相談申込を取り下げる場合は、納付額の還付は行わない※(対面助言実施要綱通知の別添1に示される先駆け審査指定医薬品の優先対面助言を除く相談について、相談実施日より前の取下げは、機構に対する国庫補助の充当はない。)。

ただし、機構がやむを得ないものとして認めた場合には、納付額の全額を還付する。

※補助の対象となった場合、対面助言実施要綱通知の別添1における取下げ時の半額還付の取扱いの適用は行わない。

なお、相談実施日より前に取り下げた相談申込(先駆け審査指定医薬品の優先対面助言を除く。)は、(2)における当該相談者の補助適用件数として数えないこととし、相談申込を取り下げたことで発生した(2)における当該相談者の残数は、取下げ以降に新たに提出する日程調整依頼書のみ充当することができる(取下げ以前に補助の対象外として受け付けた日程調整依頼書について、遡及して補助

の対象とすることはできない。)。

相談実施日以降(先駆け審査指定医薬品の優先対面助言にあつては日程調整依頼書の提出以降)に取り下げた相談申込は、(2)における当該相談者からの補助適用申込件数(1件分)として数え、また、当該相談者の補助適用額としても数えることとする(機構に対し規定額の5割が国庫補助により充当される。)。

(別紙)

くじ引きによる抽選の方法

- 1) 補助適用となる相談の選定に当たって、くじ引きを行うことがあるので、相談者は、日程調整依頼書又は実施依頼書の備考欄にくじの数として任意の4桁の数字を記入すること。(記入例: 補助適用希望。くじの数: 1234)。

機構は、記載されたくじの数をもとに抽選を進める。

くじの数が記載されていないもの又はくじの数が不明瞭な場合は、くじの数を日程調整依頼書又は実施依頼書の受付日(4月1日の場合は「0401」)とする。また、複数のくじの数が記載されている場合は、大きい方を採用する。

- 2) くじの対象となる日程調整依頼書又は実施依頼書について、審査マネジメント部で受領した順番*に「0」から順番に「くじ番号」を付与する。

※審査マネジメント部におけるメール受信順。メール以外の手段で提出された場合は、当該受付日の最後に受信したものとして取り扱う。

- 3) くじの対象となる日程調整依頼書又は実施依頼書に記載されたくじの数を合計し、これをくじの対象となる日程調整依頼書又は実施依頼書の数で除し、余りを計算する。

この計算で求められた余りと一致したくじ番号の日程調整依頼書又は実施依頼書について、補助の適用を行う。

- 4) 選定結果が令和7年度の予算額の上限に達しない場合は、既に選定された日程調整依頼書又は実施依頼書を除いた日程調整依頼書又は実施依頼書に対し新たに「くじ番号」を付与し、選定結果が予算額の上限に達するまで1)～3)を繰り返す。

(例)

	くじの数	受領した順番	くじ番号
申込書 A	3506	2	1
申込書 B	0401	1	0
申込書 C	9473	3	2

(計算式) $(3506 + 0401 + 9473) / 3 = 4460$ 余り 0

↑ ↑
くじの数の合計 くじの対象となる申込書の数

この場合は余りが0であるため、くじ番号が0の申込書 B について補助の適用を行う。