

薬機発第7号
令和8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8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年度から、厚生労働省によ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、本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ているところです。

令和8年度においても、別添のとおり、本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お願いいたします。

なお、本事業における相談手数料の助成については、国会における令和8年度予算の成立が前提となります。国会における予算案の審議によっては、今後、内容等を変更することもありますので、ご了承ください。

[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在日執行委員会委員長

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8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8年度においても実施する。その一環として、下記1.～4.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こととし、実施手順等について下記のとおり定める。

なお、この実施手順書における用語の定義は、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をいう。
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)をいう。
対象相談	本事業の対象となる下記1.～4.に示す相談をいう。
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をいう。
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、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いう。
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をいう。

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、補助の適用対象等は次のとおりとする。

(1) 補助の期間及び方法

- ① 令和8年4月1日から令和9年1月6日(必着)までに実施依頼書を受け付けたもの※について、規定額の5割を納付免除として適用する。

※令和8年度内に評価報告書を確定するものに限る。

- ② 令和8年1月8日から令和8年3月31日までに実施依頼書を受け付けたもの※について、規定額の5割を還付として適用する。

※令和8年6月30日までに評価報告書を確定するものに限る。

(2) 補助の範囲

- ① 令和8年度に受け付けたもの(1.(1)①に限る。)について
規定額の5割の納付を免除する。

ただし、補助の範囲は、対象相談において日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順に令和8年度の予算額に達するまでとし、それ以降に日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた相談については、相談者は規定額の納付を行う。

なお、令和8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2に示す方法により補助適用となる相談を選定する。

- ② 令和7年度に受け付けたもの(1.(1)②に限る。)について
規定額の5割を還付する。

なお、補助の手続き等については、別紙2を参照すること。

(3) 取下げの場合

- ① 令和8年度に受け付けたもの(1.(1)①に限る。)について

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の場合は、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。

② 令和7年度に受け付けたもの(1.(1)②に限る。)について

規定額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の場合は、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とおりとする(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。

③ 取り下げた相談申込みは、1.(2)①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、補助の適用対象等は次のとおりとする。

(1) 補助の期間及び方法

① 令和8年4月1日から令和9年1月6日(必着)までに実施依頼書を受け付けたもの※について、規定額の全額を納付免除として適用する。

※令和8年度内に相談記録を確定するものに限る。

② 令和8年1月8日から令和8年3月31日までに実施依頼書を受け付けたもの※について、規定額の全額を還付として適用する。

※令和8年6月30日までに相談記録を確定するものに限る。

(2) 補助の範囲

① 令和8年度に受け付けたもの(2. (1)①に限る。)について

規定額の納付を全額免除する。

ただし、補助の範囲は、対象相談において日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順に令和8年度の予算額に達するまでとし、それ以降に日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた相談については、相談者は規定額の納付を行う。

なお、令和8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。

② 令和7年度に受け付けたもの(2. (1)②に限る。)について

規定額の全額を還付する。

なお、補助の手続き等については別紙2を参照すること。

(3) 取下げの場合

① 令和8年度に受け付けたもの(2. (1)①に限る。)について

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みは、2. (2)①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。

② 令和7年度に受け付けたもの(2. (1)②に限る。)について

規定額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、納付額の全額を還付し、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。また、取り下げた相談申込みは、2. (2)①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)。

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、補助の適用対象等は次のとおりとする。

(1) 補助の期間及び方法

- ① 令和8年4月1日から令和9年1月6日(必着)までに日程調整依頼書を受け付けたもの※について、規定額の5割を納付免除として適用する。

※令和8年度内に相談を実施するものに限る。

- ② 令和8年1月8日から令和8年3月31日までに日程調整依頼書を受け付けたもの※について、規定額の5割を還付として適用する。

※令和8年6月30日までに相談記録を確定するものに限る。

(2) 補助の範囲

- ① 令和8年度に受け付けたもの(3.(1)①に限る。)について
規定額の5割の納付を免除する。

ただし、補助の範囲は、対象相談において、日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順に令和8年度の予算額に達するまでとし、それ以降に日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた相談については、相談者は規定額の納付を行う。

また、令和8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(3.(1)①及び②の期間における提出順)とする。

なお、令和8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。

- ② 令和7年度に受け付けたもの(3.(1)②に限る。)について
規定額の5割を還付する。

また、令和8年度の予算額に達するまでの間で5割の補助を適用するのは、1相談者当たり3件まで(3.(1)①及び②の期間における提出順)とする。

なお、補助の手続き等については別紙2を参照すること。

(3) 取下げの場合

- ① 令和8年度に受け付けたもの(3.(1)①に限る。)について

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※(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、3.（2）における当該相談者の補助適用件数及び補助適用額として数えないこととする。

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、3.（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、3.（2）①における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。）。

② 令和7年度に受け付けたもの（3.（1）②に限る。）について

規定額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、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とおりとする（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。

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、3.（2）における当該相談者の補助適用件数及び補助適用額として数えないこととする。

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、対面助言実施要綱通知の別添1における取下げ時の規定によらず、半額還付の取扱いを行う。取下げ時は、対面助言実施要綱通知の別添1の手続きを行うこと。

なお、取り下げた相談申込は3.（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、3.（2）①における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）。

4. 「医薬品公知申請品目該当性相談」

厚生労働省医政局研究開発政策課長、医薬局医薬品審査管理課長連名通知「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の開発要請に対する企業見解の提出に伴う手続の迅速化について」(令和6年11月8日付け医政研発 1108 第1号、医薬薬審発 1108 第1号)により、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開発要請を受けた品目について、公知申請の該当性に係る情報の整理を行うこととなった場合は「医薬品公知申請品目該当性相談」を申し込む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 36 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) 補助の期間及び方法

- ① 令和8年4月1日から令和9年1月6日(必着)までに実施依頼書を受け付けたもの※について、規定額の5割を納付免除として適用する。

※令和8年度内に相談記録を確定するものに限る。

- ② 令和8年1月8日から令和8年3月31日までに実施依頼書を受け付けたもの※について、規定額の5割を還付として適用する。

※令和8年6月30日までに相談記録を確定するものに限る。

(2) 補助の範囲

- ① 令和8年度に受け付けたもの(4.(1)①に限る。)について
規定額の5割の納付を免除する。

ただし、補助の範囲は、対象相談において、日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた順に令和8年度の予算額に達するまでとし、それ以降に日程調整依頼書又は実施依頼書を受け付けた相談については、相談者は規定額の納付を行う。

なお、令和8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。

- ② 令和7年度に受け付けたもの(4.(1)②に限る。)について
規定額の5割を還付する。

なお、補助の手続き等については別紙2を参照すること。

(3) 取下げの場合

- ① 令和8年度に受け付けたもの(4.(1)①に限る。)について

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 36 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。

② 令和7年度に受け付けたもの(4. (1)②に限る。)について

規定額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、対面助言実施要綱通知の別添 36 における取下げ時の半額還付の取扱いのとおりとする(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。

③ 取り下げた相談申込みは、4. (2)①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。

(別紙1)

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8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) $(3506 + 0401 + 9473) / \underline{3} = 4460 \text{ 余り } 0$

↑ ↑
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。

(別紙2)

還付の手続き等

補助の対象となる相談の申込者が、機構に既定額の手数料を納付した後、当該申込者からの請求に基づき、機構が補助金を交付するまでの手続きは次のとおりとする。

1) 補助金の申請

相談者は、相談に係る手数料の既定額を機構へ全額納付し、相談申込みを行う。その後、補助金の交付を希望する相談者は、令和8年4月1日から令和8年6月30日までに、本実施手順書の別紙様式1により補助金申請を審査マネジメント部 審査マネジメント課宛に行う。補助金申請に当たっては、相談申込書の写し及び機構に既定額を納付したことが証明できる書類の写しを添付すること。

2) 補助金の交付・不交付の決定

機構は、補助金の申請を受けた後、補助対象となるか否かを審査し、補助金の交付又は不交付を決定した上で、補助金申請を行った相談者に対し、本実施手順書の別紙様式2により交付又は不交付の決定を通知する。

なお、機構の決定は令和8年7月1日から令和8年7月31日までの間に行う。

3) 補助金の請求

交付の決定を受けた相談者は、令和8年8月31日までに、本実施手順書の別紙様式3により審査マネジメント部 審査マネジメント課宛てに補助金の請求を行う。

4) 補助金の交付

機構は、3)の請求を行った相談者に対し、本通知に定める補助の範囲に基づき補助額を交付する。

5) 補助金の交付時期

令和8年度末までに補助金を交付する。

6) 提出先

本実施手順書の別紙様式1及び別紙様式3の書類等は、審査マネジメント部 審査マネジメント課宛に電子メールで提出すること。

メールアドレス:shinyaku-uketsuke[at]pmda.go.jp

※迷惑メール防止対策をしているため、[at]を半角のアットマークに置き換えてください。添付ファイルは10MBまでとしてください。

別紙様式1（補助金申請書）

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業に係る補助金申請書

独立行政法人医薬品医療機器総合機構理事長 殿

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業について、必要書類を添付の上、補助金を申請いたします。

1. 添付資料

次のとおりである（□に「レ」を記入）

- ☐ 相談申込書（写し）
- ☐ 機構に規定額の手数料を納付したことが証明できる書類（写し）
- ☐ その他（_____）

2. 対象相談

次のとおりである（□に「レ」を記入）

- ☐ 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）
- ☐ 小児用医薬品開発計画確認相談
- ☐ 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）
- ☐ 医薬品公知申請品目該当性相談

相談対象の被験薬の名称、治験成分記号等：_____

3. 手数料の納付額合計：_____円

振込年月日：令和____年____月____日

振込名義：_____（フリガナ）

令和____年____月____日

住所（主たる事務所の所在地）_____

大学・研究機関の名称、企業名_____

申請者（代表者）の氏名_____

担当者連絡先（電話、メールアドレス）_____

担当者氏名_____

別紙様式2（補助金交付（不交付）決定書）

薬機発第 号
令和 年 月 日

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業に係る補助金交付（不交付）決定書

大学・研究機関の名称、企業名
（申請者） 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

令和 年 月 日に申請のあった小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業について、以下のとおり補助金の交付（不交付）を決定しましたので通知します。

1. 補助対象となる相談

2. 補助金額

（交付が決定された場合）

この通知を受け取られましたら令和 年 月 日までに別紙様式3（補助金交付請求書）のご提出をお願いいたします。

（提出先、お問い合わせ先）

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 審査マネジメント部 審査マネジメント課

〒100-0013 東京都千代田区霞が関3-3-2 新霞が関ビル

電話（ダイヤルイン）03-3506-9556

メールアドレス：shinyaku-uketsuke[at]pmda.go.jp

※迷惑メール防止対策をしているため、[at]を半角のアットマークに置き換えてください。添付ファイルは10MBまでとしてください。

別紙様式3（補助金交付請求書）

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業に係る補助金交付請求書

独立行政法人医薬品医療機器総合機構支払命令役 殿

令和____年____月____日付薬機発第_____号で交付決定した小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業に係る補助金について、以下のとおり請求いたします。

1. 請求額 _____円

2. 振込先

銀行	支店
預金種別 普通・当座	口座番号
口座名義	(フリガナ)

令和____年____月____日
住所（主たる事務所の所在地） _____

大学・研究機関の名称、企業名 _____

申請者（代表者）の氏名 _____
担当者連絡先（電話、メールアドレス） _____

担当者氏名 _____