

3.2. 優遇措置(希少疾病または希少医薬品の

試験費用に対する税額控除⁵⁾について⁶⁾

➤ はじめに

1954年内国歳入法第45C節は、指定希少医薬品指定後の希少疾病または希少疾患用医薬品の使用に関連する特定の臨床試験費用について、最大50%の税額控除を認めている。

Public Law 104-188条は、税額控除の再交付に加えて、一定の期間の前期繰戻し次期繰越しを認めている。

1997年のPublic Law 105-34条により、前期繰戻し次期繰越し制度とともに税額控除条項が1997年5月31日から恒久化された。それ以前には、この条項の通用には連邦議会から毎年の再承認が必要であった。税額控除条項は米国内国歳入庁の統轄であり、適用可能性や技術的事項についての具体的な質問は、同庁に問い合わせされたい。

税額条項の文言は以下のとおり。

第45C節 特定の医薬品に対する臨床試験費用

希少疾病または希少疾患対象⁷⁾

(a) 一般規則 - 第38節の趣旨に鑑み、本節適用による課税年度あたりの控除額は、その課税年度において承認された臨床試験費用の50%に相当する金額とする。

(b) 承認された臨床試験の費用 - 本節の趣旨に則り

⁵⁾税制条項は内国歳入庁が統轄しており、発効規則も公布されている:連邦規則タイトル21第1節28-1。税額控除情報の追加または更新に関する問い合わせ先:Christine Ellison, Pass Throughs and Special Industries Division, Office of Chief Counsel, Internal Revenue Service, 1111 Constitution Avenue, NW; Washington, DC 20224; (202)622-3120

⁶⁾ 出典: 米国食品医薬品局

<http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/Incentives/default.htm> (2010年2月25日アクセス)

⁷⁾本条項の根拠法は合衆国法典タイトル26第45c節。ここでは基本的な税額控除条項のみを取り上げているため、付帯条項や関連条項については、税制条例や規則を参照されたい。

(1)承認された臨床試験の費用

(A)一般事項 - 本項において特段の規定がない限り、「承認された臨床試験の費用」とは、当該条項が B 号の修正事項とともに適用される場合に、第 41 節 b 款に規定された課税年度内に納税者が支払う金額または負担する金額のことをいう。

(B)修正事項 - A 号の趣旨に則り、以下の事項に従って第 41 節 b 款を適用するものとする。

(i)本款第 2 項及び第 3 項の承認された研究を臨床試験に代える。

(ii)本条第 3 号 A の 65 パーセントを 100 パーセントに代える。

(C)補助金等による助成額の除外 - 承認された臨床試験の費用には、第三者(または行政機関)からの補助金、契約その他による資金提供額に相当する金額は含まない。

(D)特別規則 - 本項の趣旨に則り、第 41 節は 1992 年 6 月 30 日以降も継続して有効であるとみなす。

(2)臨床試験

(A)一般事項 - 臨床試験とは、以下に該当するすべてのヒト臨床試験をいう。

(i)連邦食品医薬品化粧品法第 505 (I) 節(またはその適用により発効された規則)に則り、希少疾病または希少疾患への適用を目的とした医薬品に対する免責に基づき実施されるもの。

(ii)かかる臨床試験の実施が下記期間に該当する場合に限る。

(I)同法の第 526 節により当該薬が希少医薬品指定を受けた日以降、かつ

(II)当該薬の申請が同法第 505 節 b 款により承認を受ける日以前、かつ

(iii)第 526 節により希少医薬品の指定を受ける納税者本人またはその代理人が実施するもの。

(B)試験は、希少疾病または希少疾患の使用に関連するものに限る - 連邦食品医薬品化粧品法第 526 節の希少疾病または希少疾患用医薬品の使用に関する臨床試験に該当する場合に限り、A 項の適用を考慮する。

(c)研究費用増加に対する控除の調整

(1)一般事項 - 第 2 項に規定される場合を除き、本節が適用される課税年度における臨床試験の費用は、第 41 節により規定される当該課税年度の控除対象に含めない。

(2)基準期間研究費用を決定する際に含まれる費用 - (第 41 (b) 節における)研究費用として承認される臨床試験の費用は、第 41 節に規定する翌課税年度の基準期間研究費用を決定に用いる。

(d) 定義と特別規則

(1) 希少疾病または希少疾患 - 本節では、希少疾病または希少疾患という用語は以下に該当する疾病や疾患をいう。

(A) 米国での罹患者数が 20 万人未満、または

(B) 米国での罹患者数は 20 万人を超えているが、当該疾病または当該疾患用医薬品を米国で開発し使用に供するための費用を米国内での当該医薬品販売によって回収する妥当な見込みが得られない場合。

すべての医薬品に対する前段の適用は、連邦食品医薬品化粧品法第 526 節により当該薬が希少薬品に指定された時点の、事実と状況に基づいて判断される。

(2) 海外臨床試験に関する特別制限

(A) 一般事項 - 以下に該当する場合を除き、米国外で実施された臨床試験については、本節による税額控除を認めない。

(i) 米国内の被験者数では不十分なため、当該試験が米国外で実施される場合、かつ

(ii) 米国人または連邦食品医薬品化粧品法第 526 節に規定される納税者とは無関係の第三者が当該試験を実施する場合。

(B) 第 934 (b) 節または第 936 節が適用される企業に関する特別制限 - 第 934 (b) 節が適用される企業または第 936 節により選出される企業が実施する臨床試験については、本節の適用による税額控除は認めない。

(3) 特定の規則適用 - 本節は、第 41 (f) 節第 1 項および第 2 項の規定を準用する。

(4) 選出 - (長官が定める時、方法で) 納税者がある課税年度に対して本節の適用を求める場合に限り、当該課税年度に対して当該納税者に本節を適用する。

下記脚注⁸および本トピック冒頭を参照のこと。なお、税額控除は恒久法となった。

(e) 除外 - 本節は、以下の時期に支払われた、または負担した金額に対しては適用されない

⁸ Public Law 104-188 は近年見直しが行われ、一定期間中の前期繰戻し次期繰越し適格資格が設けられた。Public Law 105-34 の第 604 節(97 年 8 月 5 日修正)は e 款を削除し、1997 年 5 月 31 日以降に支払いまたは負担した金額に対し、その削除が適用される。現在では、税額控除は恒久法となっている。さらに詳しい情報については、IRC 法令、規則または IRS スタッフに照会すること。

(1)1994年12月31日以降から1996年7月1日以前まで、または

(2)1997年5月31日以降(脚注4参照)

3.3. 欧州連合における希少医薬品指定⁹

▶ 希少医薬品指定医薬品とは？

希少医薬品指定医薬品は、規則(EC)No 141/2000に規定されている判定基準に基づくものである。使用用途について適切な科学的妥当性が提出されれば、開発のどの段階でも希少医薬品指定を取得することができる。指定手続きに手数料は不要である。

希少医薬品として指定されても、上市許可を得るために必要な有効性、安全性および品質の基準が満たされているとは限らないため、指定された条件を満たせばその医薬品を使用することが保証されているというわけではない。どの医薬品についても、これらの基準は上市許可申請書類が提出後に評価される。

▶ EMEA の活動内容は？

欧州医薬品庁(EMEA)は希少医薬品委員会(Committee for Orphan Medicinal Products, COMP)を通じて、「希少医薬品」と呼ばれる希少疾患用医薬品を開発しようとしている人物や企業(スポンサー)からの希少医薬品指定申請を審査する責任を負う。同庁は、無料事前申請相談を通じて、スポンサーの希少医薬品指定申請書類の作成を支援する。また、同庁は、指定後の希少医薬品開発に関する助言も提供する(治験プロトコール作成支援)。

▶ 希少医薬品とは？

希少医薬品とは、欧州連合での罹患患者数が1万人中5名未満という稀な生命を脅かす疾患またはきわめて重篤な疾患の診断、予防または治療を目的とする医薬品である。優遇措置がない場合には、希少医薬品の売り上げ見込みを考えると上市までにかかる費用を回収することが望めないため、製薬企業は通常の販売条件下では希少医薬品の開発を敬遠しがちである。

▶ 希少医薬品開発をどのように促進するのか？

欧州連合では、希少医薬品の開発を促進するため、法令により希少医薬品を開発するスポンサー/製薬産業に優遇措置を講ずる。

優遇措置を受けるためには、医薬品は欧州共同体の希少医薬品指定手続きを通じて指定を受ける必要がある。

⁹ 出典: 欧州医薬品庁 2008 <http://www.ema.europa.eu/pdfs/human/comp/leaflet/661801En.pdf> (2010年2月25日アクセス)

➤ 優遇措置とは？

●販売独占権

上市許可(販売の許可)取得後 10 年間にわたり、希少医薬品は欧州共同体において販売独占権による恩恵を享受できる。当該期間中、直接競合する類似製剤は通常、市場に参入することができない。

●プロトコール作成支援

欧州医薬品庁は、最も効果的な開発を行うための科学的助言を提供するとともに、欧州の規制条件を満たす申請書類を作成するための支援を行う。これにより、希少医薬品の上市許可申請者は上市許可審査において成功する可能性を高めることができる。

●中央認承方式による審査

希少医薬品は、上市許可申請にあたり、欧州医薬品庁の中央承認方式による直接審査を受ける。

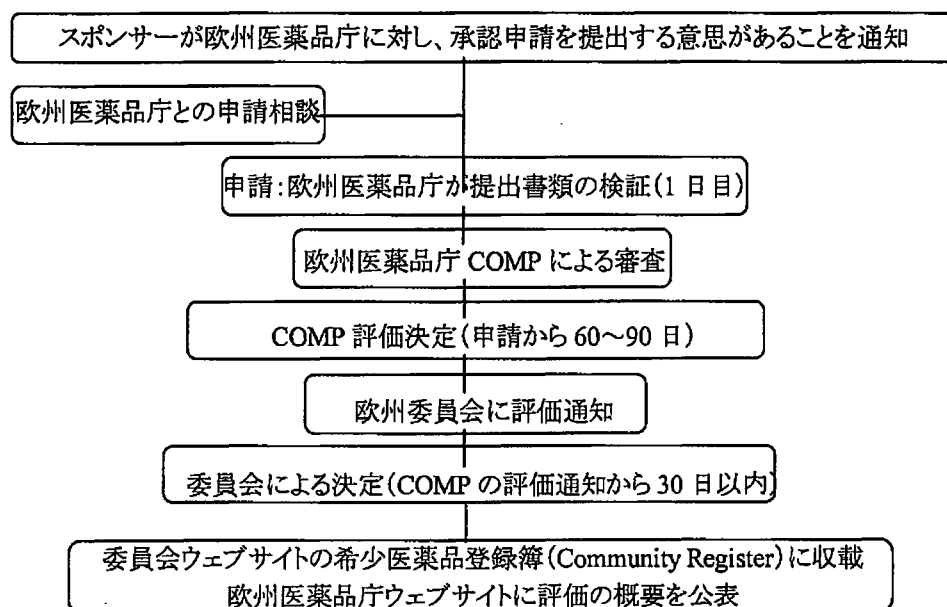
●手数料の減額

欧州医薬品庁は、欧州議会が毎年承諾する欧州委員会の特別基金を、上市許可申請手数料減額のために使用することができる。手数料の減額は、上市許可申請、検査、バリエーションおよびプロトコール作成支援を含む全ての中央業務を対象に検討される。

●研究に対する EU 資金援助

希少医薬品を開発する組織は、欧州共同体および加盟国のプログラムや、欧州共同体枠組み事業などの研究開発支援のためのイニシアチブによる助成金を受ける資格がある。

➤ 希少医薬品指定手続きの流れ



➤ 参考ウェブサイト

- 希少医薬品指定医薬品に関するガイダンス文書、COMP プレスリリース及び一般向け評価報告書 (Public Summary of Opinion) :

<http://www.emea.eu.int>

- 欧州共同体希少医薬品(orphan drug) 登録簿 (Community Register of Orphan medicinal Products) ならびに希少医薬品(orphan drug) に関する欧州共同体および国別優遇措置一覧 (Inventory of Community and National Incentives for Orphan Medicinal Products) :

<http://pharmacos.eudra.org/F2/>

- 第6次枠組み事業:

<http://www.cordis.lu/en/home.html>

- 公衆衛生プログラム(2003-2008) :

http://europa.eu.int/comm/health/ph_programme/programme_en.htm

問い合わせ先

EMA Scientific Advice & Orphan Drugs Sector

7 Westferry Circus, Canary Wharf, London E14 4HB

United Kingdom

電話: (44-20) 74 18 84 00 / FAX: (44-20) 75 23 70 40

Email: orphandrugs@emea.eu.int

ウェブサイト: www.emea.eu.int

3.4. 米国において上市許可を得た希少医薬品指定医薬品一覧

(2001年1月1日～2008年11月6日)

Cinryze (C1 Esterase Inhibitor [Human])

希少医薬品指定日:	2004/7/16
販売承認交付日:	2008/10/10
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of angioedema
承認された治療適応症:	Routine prophylaxis against angioedema attacks in patients with Hereditary Angioedema (HAE)
医薬品製造販売承認取得者:	ViroPharma Biologics Incorporated

Adreview (Iobenguane I 123)

希少医薬品指定日:	2006/12/1
指定された希少医薬品適応症:	For the diagnosis of neuroblastomas
承認された治療適応症:	To be used in the detection of primary or metastatic pheochromocytomas or neuroblastomas as an adjunct to other diagnostic tests
希少医薬品指定日:	2006/12/1
指定された希少医薬品適応症:	For the diagnosis of pheochromocytomas
承認された治療適応症:	To be used in the detection of primary or metastatic pheochromocytomas or neuroblastomas as an adjunct to other diagnostic tests
販売承認交付日:	2008/9/19
医薬品製造販売承認取得者:	GE Healthcare, Inc.

Gamunex (Immune Globulin [Human])

希少医薬品指定日:	2004/7/27
販売承認交付日:	2008/9/12
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy
承認された治療適応症:	Treatment of Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy (CIDP) to improve neuromuscular disability and impairment and for maintenance therapy to prevent relapse
医薬品製造販売承認取得者:	Talecris

Nplate (Romiplostim)

希少医薬品指定日:	2003/3/27
販売承認交付日:	2008/8/22
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of immune thrombocytopenic purpura
承認された治療適応症:	Treatment of thrombocytopenia in patients with chronic immune (idiopathic) thrombocytopenic purpura (ITP) who have had an insufficient response to corticosteroids, immunoglobulins, or splenectomy
医薬品製造販売承認取得者:	Amgen, Inc.

Xenazine (Tetrabenazine)

希少医薬品指定日:	1997/12/11
販売承認交付日:	2008/8/15
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of Huntington's disease
承認された治療適応症:	Treatment of chorea associated with Huntington's disease
医薬品製造販売承認取得者:	Prestwick Pharmaceuticals, Inc

Treanda (Bendamustine Hydrochloride)

希少医薬品指定日:	2007/8/17
販売承認交付日:	2008/3/20
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of chronic lymphocytic leukemia
承認された治療適応症:	Treatment of patients with chronic lymphocytic leukemia
医薬品製造販売承認取得者:	Cephalon, Inc.

Fusilev (Levoleucovorin)

希少医薬品指定日:	1991/8/1
販売承認交付日:	2008/3/7
指定された希少医薬品適応症:	For use in conjunction with high-dose methotrexate in the treatment of osteosarcoma.
承認された治療適応症:	Levoleucovorin rescue is indicated after high-dose methotrexate therapy in osteosarcoma. Levoleucovorin is also indicated to diminish the toxicity and counteract the effects of impaired methotrexate elimination and of inadvertent overdosage of folic acid antagonists
医薬品製造販売承認取得者:	Spectrum Pharmaceuticals, Inc.

Arcalyst (Rilonacept)

希少医薬品指定日: 2004/12/20
販売承認交付日: 2008/2/27
指定された希少医薬品適応症: Treatment of CIAS1-Associated Periodic Syndromes
承認された治療適応症: Treatment of Cryopyrin-Assisted Periodic Syndromes (CAPS)
医薬品製造販売承認取得者: Regeneron Pharmaceuticals, Inc.

Humira (Adalimumab)

希少医薬品指定日: 2005/3/21
販売承認交付日: 2008/2/21
指定された希少医薬品適応症: Treatment of juvenile rheumatoid arthritis
承認された治療適応症: Treatment of Juvenile Idiopathic Arthritis
医薬品製造販売承認取得者: Abbott Laboratories

Thyrogen (Thyrotropin Alfa)

希少医薬品指定日: 2001/8/3
販売承認交付日: 2007/12/14
指定された希少医薬品適応症: Treatment of well-differentiated papillary, follicular or combined papillary/follicular carcinomas of the thyroid
承認された治療適応症: For use as an adjunctive treatment for radioiodine ablation of thyroid tissue remnants in patients who have undergone thyroidectomy for well-differentiated thyroid cancer and who do not have evidence of metastatic thyroid cancer
医薬品製造販売承認取得者: Genzyme Corporation

Kuvan (Sapropterin)

希少医薬品指定日: 2004/1/29
販売承認交付日: 2007/12/13
指定された希少医薬品適応症: Treatment of hyperphenylalaninemia
承認された治療適応症: Indicated to reduce blood phenylalanine (Phe) levels in patients with hyperphenylalaninemia (HPA) due to tetrahydrobiopterin- (BH4-) responsive Phenylketonuria (PKU). Kuvan is to be used in conjunction with a Phe-restricted diet.
医薬品製造販売承認取得者: Biomarin Pharmaceutical Inc.

Nexavar (Sorafenib)

希少医薬品指定日:	2006/4/20
販売承認交付日:	2007/11/16
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of hepatocellular carcinoma
承認された治療適応症:	Treatment of unresectable hepatocellular carcinoma
希少医薬品指定日:	2004/10/8
販売承認交付日:	2005/12/20
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of renal cell carcinoma.
承認された治療適応症:	Treatment of patients with advanced renal cell carcinoma
医薬品製造販売承認取得者:	Bayer Pharmaceutical Corporation

Tasigna (Nilotinib)

希少医薬品指定日:	2006/4/27
販売承認交付日:	2007/10/29
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of chronic myelogenous leukemia
承認された治療適応症:	For the use for chronic phase (CP) and accelerated phase (AP)
医薬品製造販売承認取得者:	Novartis Pharmaceutical Corporation

Evista (Raloxifene)

希少医薬品指定日:	2005/7/14
販売承認交付日:	2007/9/13
指定された希少医薬品適応症:	Reduction of the risk of breast cancer in postmenopausal women
承認された治療適応症:	Reduction in risk of invasive breast cancer in postmenopausal
医薬品製造販売承認取得者:	Eli Lilly and Company

Totect (Dexrazoxane)

希少医薬品指定日:	2004/3/25
販売承認交付日:	2007/9/6
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of anthracycline extravasation during chemotherapy
承認された治療適応症:	Treatment of extravasation resulting from IV anthracycline
医薬品製造販売承認取得者:	Topo Target A/S

Somatuline Depot (Lanreotide)

希少医薬品指定日:	2000/9/11
販売承認交付日:	2007/8/30
指定された希少医薬品適応症:	Treatment for acromegly Long-term treatment of acromegalic patients who have had an
承認された治療適応症:	inadequate response to or cannot be treated with surgery and/or radiotherapy
医薬品製造販売承認取得者:	IPSEN, Inc.

Letairis (Ambrisentan)

希少医薬品指定日:	2004/7/16
販売承認交付日:	2007/6/15
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of pulmonary arterial hypertension Treatment of pulmonary arterial hypertension (WHO group I) in
承認された治療適応症:	patients with WHO class II or III symptoms to improve exercise capacity and delay clinical worsening
医薬品製造販売承認取得者:	Gilead Colorado

Norditropin (Somatropin)

希少医薬品指定日:	2006/8/9
販売承認交付日:	2007/5/31
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of short stature in patients with Noonan syndrome
承認された治療適応症:	Treatment of short stature in patients with Noonan syndrome
医薬品製造販売承認取得者:	Novo Nordisk Inc.

Torisel (Temsirrolimus)

希少医薬品指定日:	2004/12/16
販売承認交付日:	2007/5/30
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of renal cell carcinoma
承認された治療適応症:	Treatment of advanced renal cell carcinoma
医薬品製造販売承認取得者:	Wyeth Pharmaceuticals, Inc.

Doxil (Doxorubicin Hcl Liposome Injection)

希少医薬品指定日:	2004/12/29
販売承認交付日:	2007/5/17
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of multiple myeloma
承認された治療適応症:	For use in combination with bortezomib for the treatment of patients

with multiple myeloma who have not previously received bortezomib and have at least one prior therapy.

医薬品製造販売承認取得者: Johnson & Johnson Pharmaceutical Research & Dev.

Supprelin La (Histrelin)

希少医薬品指定日: 2005/11/18
販売承認交付日: 2007/5/3
指定された希少医薬品適応症: Treatment of central precocious puberty
承認された治療適応症: Treatment of central precocious puberty
医薬品製造販売承認取得者: Indevus Pharmaceuticals (Formerly Valera Pharma.)

Hepagam (Hepatitis B Immune Globulin [Human])

希少医薬品指定日: 2008/3/24
販売承認交付日: 2007/4/6
指定された希少医薬品適応症: Prevention of hepatitis B recurrence following orthotopic liver transplant
承認された治療適応症: Prevention of hepatitis B recurrence following liver transplantation in HBsAG-positive liver transplant patients
医薬品製造販売承認取得者: Cangene Corporation

Ceprotrin (Protein C Concentrate)

希少医薬品指定日: 1992/6/23
販売承認交付日: 2007/3/30
指定された希少医薬品適応症: For replacement therapy in congenital protein C deficiency for the prevention and treatment of thrombosis, pulmonary emboli, and purpura fulminans.
承認された治療適応症: Prevention and treatment of venous thrombosis and purpura fulminans
医薬品製造販売承認取得者: Baxter Healthcare Corporation

Soliris (Eculizumab)

希少医薬品指定日: 2003/8/20
販売承認交付日: 2007/3/16
指定された希少医薬品適応症: Treatment of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria
承認された治療適応症: Treatment of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria to reduce hemolysis
医薬品製造販売承認取得者: Alexion Pharmaceuticals, Inc.

Alphanate (Antihemophilic Factor [Human])

希少医薬品指定日:	1996/1/5
販売承認交付日:	2007/1/31
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of von Willebrand's disease
承認された治療適応症:	For surgical and/or invasive procedures in patients with von Willebrand Disease (VWD) in whom desmopressin is either ineffective or contraindicated. It is not indicated for patients with severe VWD (Type 3) undergoing major surgery
医薬品製造販売承認取得者:	Grifols Biologicals Inc.

Colazal (Balsalazide Disodium)

希少医薬品指定日:	2005/8/12
販売承認交付日:	2006/12/20
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of pediatric patients with ulcerative colitis
承認された治療適応症:	Treatment of mildly to moderately active ulcerative colitis in patients 5 years of age and older. Safety and Effectiveness of Colazal beyond 8 weeks in children (ages 5-17) and 12 weeks in adults have not been established.
医薬品製造販売承認取得者:	Salix Pharmaceuticals, Inc.

Cyanokit (Hydroxocobalamin)

希少医薬品指定日:	2003/11/25
販売承認交付日:	2006/12/15
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of acute cyanide poisoning
承認された治療適応症:	Treatment on known or suspected cyanide poisoning
医薬品製造販売承認取得者:	Merck Sante, s.a.a.

Gleevec (Imatinib Mesylate)

希少医薬品指定日:	2005/8/25
販売承認交付日:	2006/10/19
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of idiopathic hypereosinophilic syndrome including acute and chronic eosinophilic leukemia
承認された治療適応症:	Treatment of adult patients with hypereosinophic syndrome (HES) and/or chronic eosinophilic leukemia (CEL) who have the
希少医薬品指定日:	2005/9/9
販売承認交付日:	2006/10/19

指定された希少医薬品適応症:	Treatment of systemic mastocytosis without the D816V c-kit mutation
承認された治療適応症:	Treatment of adult patients with aggressive mastocytosis (ASM) without the D816V c-Kit mutation or with c-Kit mutational status
希少医薬品指定日:	2005/10/11
販売承認交付日:	2006/10/19
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of Philadelphia-positive acute lymphoblastic leukemia
承認された治療適応症:	Treatment of adult patients with relapsed or refractory Philadelphia chromosome positive acute lymphoblastic leukemia (Ph+ALL)
希少医薬品指定日:	2005/10/5
販売承認交付日:	2006/10/19
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of myeloproliferative disorders/myelodysplastic syndromes associated with platelet-derived growth factor gene
承認された治療適応症:	Treatment of adult patients with myelodysplastic/myeloproliferative diseases (MDS/MPD) associated with PDGFR (platelet-derived growth factor receptor) gene re-arrangements
希少医薬品指定日:	2005/12/19
販売承認交付日:	2006/10/19
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of dermatofibrosarcoma protuberans
承認された治療適応症:	Treatment of adult patients with unresectable, recurrent and/or metastatic dermatofibrosarcoma protuberans (DFSP)
希少医薬品指定日:	2001/11/1
販売承認交付日:	2002/2/1
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of gastrointestinal stromal tumors
承認された治療適応症:	Treatment of patients with Kit (CD117) positive unresectable and/or metastatic malignant gastrointestinal stromal tumors (GIST)
希少医薬品指定日:	2001/1/31
販売承認交付日:	2001/5/10

指定された希少医薬品適応症: Treatment of chronic myelogenous leukemia

承認された治療適応症: Treatment of patients with chronic myeloid leukemia (CML) in blast crisis, accelerated phase, or in chronic phase after failure of interferon-alpha therapy

医薬品製造販売承認取得者: Novartis Pharmaceuticals Corporation

Novoseven (Coagulation Factor Viia [Recombinant])	
---	--

希少医薬品指定日:	2004/9/10
販売承認交付日:	2005/7/11
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of bleeding episodes in patients with congenital factor VII deficiency
承認された治療適応症:	Treatment of bleeding episodes in patients with Factor VII Deficiency

希少医薬品指定日:	2004/9/10
販売承認交付日:	2005/7/11
指定された希少医薬品適応症:	Prevention of bleeding episodes in patients with congenital Factor VII deficiency
承認された治療適応症:	Prevention of bleeding in surgical interventions or invasive procedures in patients with congenital F VII deficiency

希少医薬品指定日:	2004/7/21
販売承認交付日:	2006/10/13
指定された希少医薬品適応症:	Prevention of bleeding episodes in patients with acquired inhibitors to Factor VIII or Factor IX
承認された治療適応症:	Prevention of bleeding in surgical interventions or invasive procedures in patients with acquired hemophilia

希少医薬品指定日:	2004/7/16
販売承認交付日:	2006/10/13
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of bleeding episodes in patients with acquired inhibitors to Factor VIII or Factor IX
承認された治療適応症:	Treatment of bleeding episodes in surgical interventions or invasive procedures in patients with acquired hemophilia

希少医薬品指定日:	2004/6/18
販売承認交付日:	2005/8/12
指定された希少医薬品適応症:	Prevention of bleeding episodes in patients with hemophilia A or B, with or without inhibitors
承認された治療適応症:	Prevention of bleeding in surgical interventions or invasive

procedures in hemophilia A or B patients with inhibitors to Factor VIII or Factor IX

医薬品製造販売承認取得者: Novo Nordisk, Inc.

Zolinza (Vorinostat)

希少医薬品指定日: 2004/3/16

販売承認交付日: 2006/10/6

指定された希少医薬品適応症: Treatment of T-cell non-Hodgkin's lymphoma
Treatment of cutaneous manifestations in patients with cutaneous
承認された治療適応症: T-cell lymphoma (CTCL) who have progressive, persistent or recurrent disease on or following two systemic therapies.

医薬品製造販売承認取得者: Merck & Co., Inc.

Normocarb Hf (Biocarbonate Infusate)

希少医薬品指定日: 2005/8/9

販売承認交付日: 2006/7/26

指定された希少医薬品適応症: Use in the management of patients undergoing continuous renal replacement therapy with hemofiltration
承認された治療適応症: Use as a replacement solution in Continuous Renal Replacement Therapy (CRRT) to replace water and to correct electrolytes and acid-base imbalances in adults and children

医薬品製造販売承認取得者: Dialysis Solutions, Inc.

Elaprase (Idursulfase)

希少医薬品指定日: 2001/11/28

販売承認交付日: 2006/7/24

指定された希少医薬品適応症: Long term enzyme replacement therapy for patients with mucopolysaccharidosis II (Hunter Syndrome)
承認された治療適応症: Indicated for patients with Hunter syndrome (mucopolysaccharidosis II, MPS II). Idursulfase has been shown to improve walking capacity in these patients

医薬品製造販売承認取得者: Shire Human Genetic Therapies, Inc.

Revlimid (Lenalidomide)

希少医薬品指定日: 2001/9/20

販売承認交付日: 2006/6/29

指定された希少医薬品適応症: Treatment for multiple myeloma

承認された治療適応症: For use in combination with dexamethasone for the treatment of multiple myeloma patients who have received at least one prior therapy.

希少医薬品指定日: 2004/1/29

販売承認交付日: 2005/12/27

指定された希少医薬品適応症: Treatment of myelodysplastic syndromes

承認された治療適応症: Treatment of patients with transfusion dependant anemia due to low or intermediate-1 risk myelodysplastic syndromes associated with a deletion 5 q cytogenetic abnormality with or without additional cytogenetic abnormalities

医薬品製造販売承認取得者: Celgene Corporation

Sprycel (Dasatinib)

希少医薬品指定日: 2005/11/28

販売承認交付日: 2006/6/28

指定された希少医薬品適応症: Treatment of chronic myelogenous leukemia

承認された治療適応症: Treatment of adults with chronic myeloid leukemia with resistance or intolerance to prior therapy including imatinib

希少医薬品指定日: 2005/11/18

販売承認交付日: 2006/6/28

指定された希少医薬品適応症: Treatment of Philadelphia-positive acute lymphoblastic leukemia

承認された治療適応症: Treatment of adults with Philadelphia chromosome-positive acute lymphoblastic leukemia with resistance or intolerance to prior therapy

医薬品製造販売承認取得者: Bristol-Myers Squibb Company

Thalomid (Thalidomide)

希少医薬品指定日: 1998/10/14

販売承認交付日: 2006/5/25

指定された希少医薬品適応症: Treatment of multiple myeloma

承認された治療適応症: Treatment of patients with newly diagnosed multiple myeloma

医薬品製造販売承認取得者: Celgene Corporation

Remicade (Infliximab)

希少医薬品指定日: 2003/11/12

販売承認交付日: 2006/5/19

指定された希少医薬品適応症: Treatment of pediatric (0 to 16 years of age) Crohn's Disease
承認された治療適応症: For reducing signs and symptoms and inducing and maintaining clinical remission in pediatric patients with moderately to severely
医薬品製造販売承認取得者: Centocor, Inc.

Dacogen (Decitabine)

希少医薬品指定日: 1999/3/8
販売承認交付日: 2006/5/2
指定された希少医薬品適応症: Treatment of myelodysplastic syndromes.
承認された治療適応症: for treatment of patients with myelodysplastic syndromes (MDS) including previously treated and untreated, de novo and secondary MDS of all French-American-British subtypes (refractory anemia, refractory anemia with ringed sideroblasts, refractory anemia with excess blasts, refractory anemia with excess blasts in transformation, and chronic myelomonocytic leukemia) and intermediate-1, intermediate-2, and high-risk International Prognostic Scoring System groups
医薬品製造販売承認取得者: Eisai, Inc.

Myozyme (Recombinant Human Acid Alpha-Glucosidase)

希少医薬品指定日: 1997/8/19
販売承認交付日: 2006/4/28
指定された希少医薬品適応症: Treatment of glycogen storage disease type II.
承認された治療適応症: For use in patients with Pompe disease (GAA deficiency). Alglucosidase alfa has been shown to improve ventilator-free survival in patients with infantile onset Pompe disease as compared to an untreated historical control, whereas use of Alphaglucosidase in patients with other forms of Pompe disease has not been adequately studied to assure safety and efficacy.
医薬品製造販売承認取得者: Genzyme Corporation

Neoprofen (Ibuprofen Lysine)

希少医薬品指定日: 1996/10/29
販売承認交付日: 2006/4/13
指定された希少医薬品適応症: Treatment of patent ductus arteriosus.
承認された治療適応症: For closure of a clinically significant patent ductus arteriosus in

premature infants weighing between 500 and 1500 g, who are no more than 32 weeks gestational age when usual medical management (e.g., fluid restriction, diuretics, respiratory support, etc.) is ineffective

医薬品製造販売承認取得者: Farmacon-IL, LLC

Prograf (Tacrolimus)

希少医薬品指定日: 2005/6/6
販売承認交付日: 2006/3/29
指定された希少医薬品適応症: Prophylaxis of organ rejection in patients receiving heart transplants.
承認された治療適応症: Prophylaxis of organ rejection in patients receiving allogenic heart transplants.
医薬品製造販売承認取得者: Astellas Pharma US, Inc.

Erbix (Cetuximab)

希少医薬品指定日: 2000/7/3
販売承認交付日: 2006/3/1
指定された希少医薬品適応症: Treatment of squamous cell cancer of the head and neck in patients who express epidermal growth factor receptor.
承認された治療適応症: For use in combination with radiation therapy, for the treatment of locally or regionally advanced squamous cell carcinoma of the head and neck (SCCHN) and for use as a single agent for the treatment of patients with recurrent or metastatic SCCHN for whom prior platinum-based therapy has failed
医薬品製造販売承認取得者: ImClone Systems Incorporated

Iplex (Mecasermin Rinfabate)

希少医薬品指定日: 2002/5/17
販売承認交付日: 2005/12/12
指定された希少医薬品適応症: Treatment of growth hormone insensitivity syndrome (GHIS)
承認された治療適応症: Treatment of growth failure in children with severe primary IGF-1 deficiency (Primary IGFD) or with growth hormone (GH) gene deletion who have developed neutralizing antibodies to growth hormone
医薬品製造販売承認取得者: Insmmed, Inc.