

日米欧における希少疾病用医薬品の開発促進制度の概要

	日本	米国	EU
根拠法令 [施行年]	薬事法第 77 条の 2 施行規則第 250 条、251 条 [1993 年]	Orphan Drug Act 21 CFR Part 316 (Orphan Drugs) [1983 年]	Regulation (EC) No.141/2000 Regulation (EC) No.847/2000 [2000 年]
指定の条件	1. 国内の対象患者数 5 万人未満 かつ 2. 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医薬品 (医療上の必要性が高く、開発の可能性がある)	1-1. 国内の対象患者数 20 万人未満 (ワクチン、診断薬、予防薬の場合は、国内の投与予想者数が 20 万人/年未満) あるいは 1-2. 当該医薬品の開発及び製造に要する費用の十分な回収ができない医薬品	1-1. 生命を脅かす又は慢性衰弱的な疾病の治療、予防又は診断を目的とするものであって、EU 内での対象患者数 10,000 人当たり 5 人以下 あるいは 1-2. 生命を脅かす、重度に衰弱的又は慢性で重篤な疾病の治療、予防又は診断を目的とするものであり、その開発に必要な費用の十分な回収ができない医薬品であって、当該疾病の治療、予防又は診断のための満足する方法がない、あるいは方法がある場合でも当該医薬品により著しい便益が提供される
市場独占期間	10 年 (通常の新薬は 8 年) [再審査期間として]	7 年 (通常の新薬は 5 年)	10 年 (通常の新薬は 8 年 (データ保護) + 2 年 (市場保護))
経済的措置	<ul style="list-style-type: none"> 治験相談及び審査手数料の減額 試験研究費への助成金交付 試験研究費に対する税制措置 薬価への加算 (市場性加算) 	<ul style="list-style-type: none"> 審査手数料等の減額 試験研究費への助成金交付 試験研究費に対する税制措置 	<ul style="list-style-type: none"> 審査手数料等の免除 (中小企業に限る) 又は減額 試験研究費への助成金交付
その他優遇措置	<ul style="list-style-type: none"> 優先的な対面助言及び審査 		<ul style="list-style-type: none"> プロトコル支援 中央審査