

# 基本方針の検討について

- ・難病に関する調査及び研究に関する事項、
- ・難病の患者に対する医療のための医薬品及び医療機器に関する研究開発の推進に関する事項について

## 基本方針の検討の進め方(案)

- 2月  
5
- 難病対策の改革に係る進捗状況について(報告)
  - 基本方針の各項目について関係者からのヒアリング及び議論  
(複数回)
- 【基本方針に定める事項】
- (1) 難病に係る医療等の推進の基本的な方向
  - (2) 難病に係る医療を提供する体制の確保に関する事項
  - (3) 難病に係る医療に関する人材の養成に関する事項
  - (4) 難病に関する調査研究に関する事項
  - (5) 難病に係る医療のための医薬品及び医療機器に関する研究開発の推進に関する事項
  - (6) 難病の患者の療養生活の環境整備に関する事項
  - (7) 難病の患者に対する医療等と難病の患者に対する福祉サービスに関する施策、就労の支援に関する施策その他の関連する施策との連携に関する事項
  - (8) その他難病に係る医療等の推進に関する重要事項
- 基本方針に関する一定の整理  
(パブリックコメント)
- 夏
- 難病対策委員会として取りまとめ
  - 疾病対策部会へ報告
  - 告示

# 効果的な治療方法の開発と医療の質の向上

- 難治性疾患政策研究事業及び難治性疾患実用化研究事業がお互いに連携しながら、治療方法の開発に向けた難病研究の推進に取り組む。
- 症例が比較的少ない難病について、一定の症例数を確保し、研究の推進や医療の質の向上に結びつける。
- 難病研究で得られた成果は、難病情報センター等を通して、広く国民にわかりやすく最新情報を提供する。

【平成27年度予算：101億円】

## 難治性疾患政策研究事業

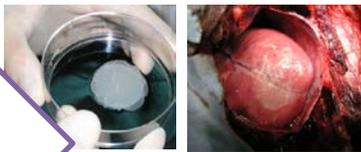
- 診断基準の作成
- 診療ガイドラインの作成、改訂、普及
- 疫学研究
- 難病患者QOL調査

等

## 難治性疾患実用化研究事業

- 病態解明、遺伝子解析や新規治療薬・医療機器等の開発につなげる研究等

小児重症拡張型心筋症への骨格筋芽細胞シートを用いた再生治療等【例示】



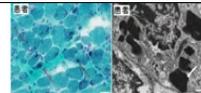
ALS等四肢麻痺患者向けの意思伝達装置HALスイッチの開発【例示】



ALS等神経・筋難病疾患に対する下肢装着型補助ロボット(HAL-HN01)【例示】



先天性ミオパチーの疾患責任遺伝子KLHL40の発見【例示】



多系統萎縮症の原因遺伝子COQ2の発見【例示】



情報提供  
連携

- ・新たな治療法開発等を通じた研究成果の還元
- ・難病情報センターを通じて疾患に関する最新情報を提供

難病患者

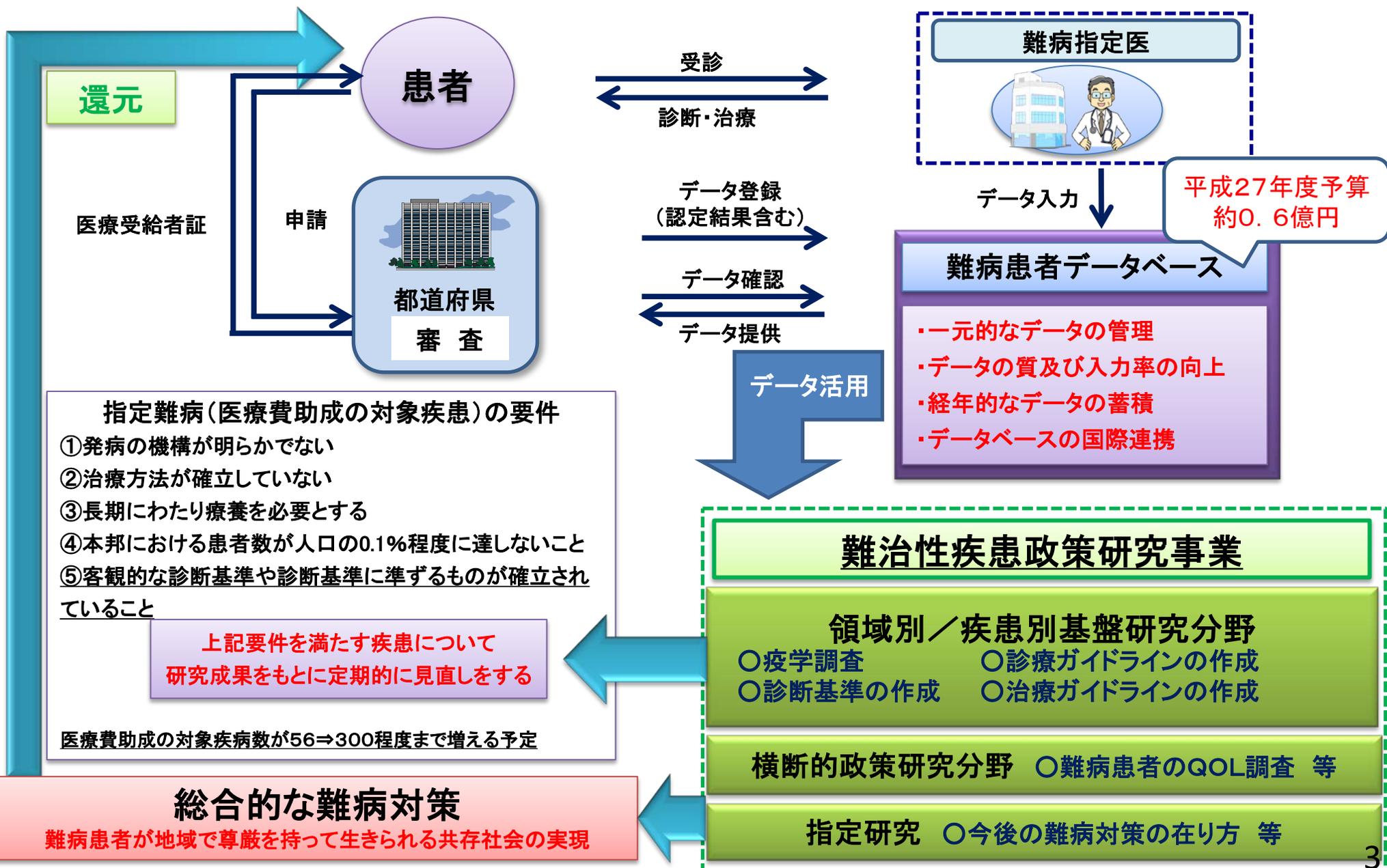
データの  
登録等



治験等への  
参加等



# 難病対策における難治性疾患政策研究事業の位置付け



還元

患者

受診

診断・治療

難病指定医

データ入力

平成27年度予算  
約0.6億円

難病患者データベース

医療受給者証

申請



都道府県  
審査

データ登録  
(認定結果含む)

データ確認

データ提供

データ活用

- ・一元的なデータの管理
- ・データの質及び入力率の向上
- ・経年的なデータの蓄積
- ・データベースの国際連携

指定難病(医療費助成の対象疾患)の要件

- ①発病の機構が明らかでない
- ②治療方法が確立していない
- ③長期にわたり療養を必要とする
- ④本邦における患者数が人口の0.1%程度に達しないこと
- ⑤客観的な診断基準や診断基準に準ずるものが確立されていること

上記要件を満たす疾患について  
研究成果をもとに定期的に見直しをする

医療費助成の対象疾病数が56⇒300程度まで増える予定

難治性疾患政策研究事業

領域別／疾患別基盤研究分野

- 疫学調査
- 診療ガイドラインの作成
- 診断基準の作成
- 治療ガイドラインの作成

横断的政策研究分野 ○難病患者のQOL調査 等

指定研究 ○今後の難病対策の在り方 等

総合的な難病対策

難病患者が地域で尊厳を持って生きられる共存社会の実現

# 難治性疾患政策研究事業

平成27年度予算14億円

**背景** ①発病の機構が明らかでない ②治療方法が確立していない ③希少である ④長期にわたる療養が必要の要件を満たす難病について、医療水準の向上をはかるとともに、行政的課題の解決を図り、健康長社会の実現につなげる。

平成27年1月1日より施行されているに難病法において、国が難病に関する調査・研究を推進することとなっており、患者の疫学調査に基づいた実態把握を行って、科学的根拠を集積・分析することにより、診断基準・重症度分類の確立、エビデンスに基づいた診療ガイドライン等の確立、診断基準・重症度分類・診療ガイドライン等の普及および改正等を行い、難病の医療水準の向上を図ることを目的とする研究を行う。

## 平成27年度研究の概要

### <領域別基盤研究分野>

疾患概念が確立している難病について

- 疫学研究
- 診断基準の作成・改定
- 診療ガイドラインの作成
- 治療ガイドラインの作成 等

### <疾患別基盤研究分野>

疾患が確立していない難病について

- 診断基準の作成 等

### <横断的政策研究分野>

- 難病患者のQOL調査 等

### <指定研究>

- 難病患者への支援体制に関する研究
- 難病対策の推進に寄与するプラットフォーム提供に関する研究 等

難病医療の均てん化

難病患者のQOL向上

疾患概念の確立

指定難病の検討

難病患者データベースの検討

総合的な難病対策

難病患者が地域で尊厳を持って生きられる共存社会の実現

# 「難病克服プロジェクト」概要

平成27年度予算額 96億円(日本医療研究開発機構対象経費)

希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品・医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発をめざす研究を推進する。また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

フェーズ

基礎研究

応用研究

非臨床

臨床研究・治験

実用化

## ● 難治性疾患実用化研究事業

平成27年度予算額 85.7億円

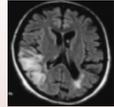
■:文科省、■:厚労省

遺伝子治療及び医薬品・医療機器等の医療技術の実用化を目指した臨床研究、医師主導治験等の推進(新規治療法の開発・既存薬剤の適応拡大等)

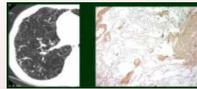
・小児重症拡張型心筋症への骨格筋芽細胞シートを用いた再生治療等



・ミトコンドリア脳筋症に対するタウリン療法



・リンパ脈管筋腫症に対するシロリムス内服



・難治性潰瘍を伴う免疫疾患に対する体外衝撃波治療法等



・ALSに対するHGF髄腔内投与



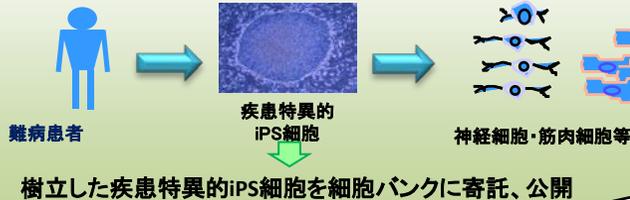
・プリオン病に対する低分子シヤペロン治療薬の開発  
 ・遠位型ミオパチーに対するNアセチルノイラミン酸の開発  
 ・HAMの革新的な治療法となる抗CCR抗体療法の実用化

## ● 疾患特異的iPS細胞を樹立、分化誘導、解析する技術の有する拠点の整備

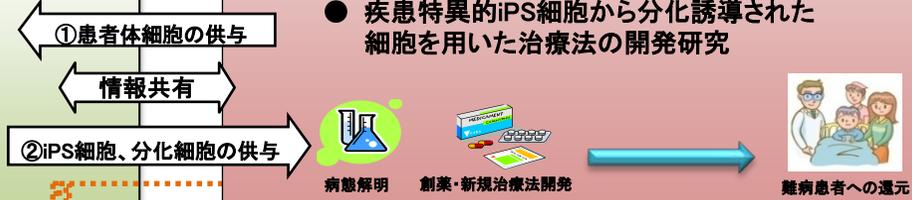
H24年度～『疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究』  
 iPS細胞を活用した基礎研究から実用化研究まで一貫した研究体制の構築による早期の治療法開発

平成27年度予算額 10.5億円  
 (文部科学省予算)

疾患特異的iPS細胞の樹立・分化に関する技術の普及や、疾患特異的iPS細胞を用いた研究を個別機関と共同で実施



## ● 疾患特異的iPS細胞から分化誘導された細胞を用いた治療法の開発研究



共同研究 製薬企業との共同研究を実施

創薬支援ネットワーク

(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)による支援

実用化(市販・医療現場への普及等)  
 企業ベンチャー等による研究の推進

支援基盤

### 【2015年度までの達成目標】

○薬事承認を目指した新たな治験導出件数7件以上の達成  
 (重症肺高血圧症、クロイツフェルト・ヤコブ病等のプリオン病など)

### 【2020年頃までの達成目標】

○新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成  
 (ALS、遠位型ミオパチーなど)  
 ○欧米等のデータベースと連携した国際共同治験等の推進

# 希少疾病用医薬品、医療機器及び再生医療等製品

～オーファンドラッグ等指定制度～

## 制度の目的

医療上の必要性が高いにも関わらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品・医療機器・再生医療等製品（医薬品等）の開発を支援する。

## オーファンドラッグ等の指定要件

### 対象患者

国内の対象患者数が5万人に達しない疾患※

※平成27年4月1日から、用途が「指定難病」の場合、5万人以上の疾患であっても本要件を満たすものとする

### 医療上の必要性

代替する適切な医薬品等又は治療方法がないこと、又は既存の医薬品と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること

### 開発の可能性

対象疾病に対して、当該医薬品等を使用する根拠があり、開発計画が妥当であること

これらの条件を満たす医薬品等を指定

（医薬品医療機器法第77条の2）

# オーファンドラッグ等指定制度における指定範囲の見直し ～平成27年度における変更点～

	患者数	
	～49,999人	50,000～ 人口の概ね0.1%程度
指定難病	オーファンドラッグ等 (従来)	追加(拡大)範囲
指定難病以外		

## 見直しの概要

従前の指定基準であった「国内患者数5万人未満」に加え、指定難病については、国内患者数が5万人以上の場合でも差し支えないこととした。

※医薬品医療機器法施行規則第251条において、指定難病の指定基準の人数規定（人口の概ね0.1%程度に達しないこと）を引用しており、上限規定は存在する。

# 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医療上必要な医薬品や適応(未承認薬等)を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。未承認薬・適応外薬に係る要望を公募。

## ＜公募した要望の要件(第Ⅱ及びⅢ回)＞

### ○未承認薬

欧米等6ヶ国(米、英、独、仏、加、豪)のいずれかの国で承認されていること。

### ○適応外薬

欧米等6ヶ国(米、英、独、仏、加、豪)のいずれかの国で承認(一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む)されていること。

次の(1)及び(2)の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

(1)適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合

- ア 生命の重大な影響がある疾患(致死的な疾患)
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

(2)医療上の有用性が次のいずれかの場合

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

【学会、患者団体等】  
未承認薬・適応外薬に係る要望

- 重複をまとめると
- ・第Ⅰ回要望は374件
  - ・第Ⅱ回要望は290件
  - ・第Ⅲ回要望は90件※

※ 要望件数は第二期募集分まで

【関連学会、製薬企業】  
要望に係る見解の提出

医療上の必要性を評価

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

WG(分野ごと設置)

2014年12月末まで

企業に開発要請  
第Ⅰ回要望は165件  
第Ⅱ回要望は86件  
第Ⅲ回要望は4件

開発企業を募集  
第Ⅰ回要望は20件  
第Ⅱ回要望は17件  
第Ⅲ回要望は0件

【製薬企業】

承認申請に向けた開発の実施

【開発支援】

- ・希少疾病用医薬品指定等により開発支援
- ・公知申請への該当性の妥当性を確認
- ・承認申請のために実施が必要な試験の妥当性を確認

# 検討会議における検討の進め方

