

## 事業評価書（事前・事後）

平成14年12月

|             |     |                 |
|-------------|-----|-----------------|
| 評価対象(事務事業名) |     | 難治性疾患克服研究経費(仮称) |
| 担当部局・課      | 主管課 | 健康局疾病対策課        |
|             | 関係課 | 大臣官房厚生科学課       |

## 1. 事務事業の内容

## (1) 関連する政策体系の施策目標

|      |     |                              |
|------|-----|------------------------------|
|      | 番号  |                              |
| 基本目標 | 1 1 | 国民生活の向上に関わる科学技術の振興を図ること      |
| 施策目標 | 2   | 研究を支援する体制を整備すること             |
|      |     | 厚生科学研究費補助金の適正かつ効果的な配分を確保すること |

## (2) 事務事業の概要

|  |       |       |          |          |
|--|-------|-------|----------|----------|
| 事業内容(新規・一部新規)  |       |       |          |          |
| 難治性疾患に対し、各疾患群別に国際標準の診断基準と治療方法の導入を図るための調査を行うとともに、対象を重点化してゲノム関連技術、再生医療等の革新的技術を基にした診断・治療法の開発とこれを実用化するための実証的臨床研究を実施し、5年以内の実用化を目指す。 |       |       |          |          |
| 予算額  |       |       |          | (単位：百万円) |
| H 1 1  | H 1 2 | H 1 3 | H 1 4    | H 1 5    |
|  |       |       | 2, 1 2 2 | 2, 4 2 2 |

## (3) 問題分析

## 現状分析

神経疾患、自己免疫疾患、先天性代謝疾患等の難治性疾患に対しては、昭和47年に策定された難病対策要綱に基づいて「特定疾患治療研究事業」及び「小児慢性特定疾患治療研究事業」の対象疾患を中心に研究が進められてきたところである。

## 原因分析

「特定疾患治療研究事業」及び「小児慢性特定疾患治療研究事業」の対象疾患を中心に研究が進められ、一定の成果を上げてきたところであるが、依然、完治に至らない疾患等が存在する。

## 問題点

根本的な治療法が確立していない難治性疾患に対して重点的・効率的に研究を行うことにより、診断・治療法の開発を行う。

事務事業の必要性

病状の進行の阻止、機能回復・再生を目指すためには、ゲノム関連技術の急速な進展等からの画期的な診断・治療法の開発を行う必要がある。

(4) 事務事業の目標

| 目標達成年度（又は政策効果発現時期）   |     |     |             |     |     |         |
|--|-----|-----|-------------|-----|-----|---------|
| アウトプット指標   | H15 | H16 | H17         | H18 | H19 | 目標値/基準値 |
| 研究課題採択数  |     |     |             |     |     |         |
| （説明）実際に採択された課題の数をアウトプット指標とする。なお、採択課題数が多いほど、行政上適切であるとは限らない。また、研究成果については、事後評価委員会を設置し、専門家及び行政官による事後評価を行う。 |     |     | （モニタリングの方法） |     |     |         |

2. 評価

(1) 必要性

|  |  |
|--|--|
| 公益性の有無（主に官民の役割分担の観点から）   | <input checked="" type="radio"/> 有 無 その他 |
| （理由）根本的な治療法が確立していない多くの難治性疾患に対する診断・治療法の確立を図る。   |  |
| 国で行う必要性の有無（主に国と地方の役割分担の観点から）   | <input checked="" type="radio"/> 有 無 その他 |
| （理由）個々の疾患ごとにみると難治性であるとともに症例が少ないために全国に散在していることから、患者救済、研究体制の構築、民間では不採算の観点から、国の関与が必須である。  |  |
| 民営化や外部委託の可否  | <input checked="" type="radio"/> 可 否     |
| （理由）本事業は、行政上必要な研究課題について公募を行い、採択課題に対し補助金を交付し、その研究成果を施策に反映させることを想定しているものである。従って、本事業そのものを民営化、外部委託することは困難であるが、事務的な手続きを外部に委託することは可能である。また、補助金を受けた研究者が、調査や資料の解析を外部に委託することは現状でも行っている。 |  |
| 緊要性の有無   | <input checked="" type="radio"/> 有 無     |
| （理由）各疾患群別に世界標準の診断・治療法を活用し、日本の診断・治療法に反映させ、病状の進行の阻止等を図る必要がある。  |  |

(2) 有効性

|                                       |
|---------------------------------------|
| 政策効果が発現する経路                           |
| 難治性疾患の在り方（革新的技術の導入、到達目標の明確化（治療成績の向上）） |

|   |
|---|
| <p>世界標準の治療法の導入と普及<br/>         (日本における難治性疾患の診断基準と治療指針を策定)</p>   |
| <p>世界をリードする画期的診断・治療法の開発<br/>         (重点研究：難治性の疾患に対する画期的診断・治療法の開発)<br/>         (実用化研究：難治性の疾患に対する先駆的診断・治療法の確立・実用化)</p>                              |
| <p>難治性疾患の治療成績の向上<br/>         治癒・寛解した患者の社会参加の促進</p>   |
| <p>これまで達成された効果、今後見込まれる効果</p>  |
| <p>従来の研究により一定の成果を上げてきたところであるが、今後、外部の有識者からなる委員会において、国内外の現状を踏まえ、患者団体の意見を聞きつつ、必要な検討、研究課題を整理し、全体として効率的・効果的な研究を実施することにより、診断・治療法の開発を行い、患者の生活の質の向上を図る。</p> |
| <p>政策の有効性の評価に特に留意が必要な事項</p>   |
|   |

(3) 効率性

|   |   |
|---|---|
| <p>手段の適正性</p>   |   |
| <p>経済的な試算は困難であるが、患者団体のニーズを踏まえて研究を行い、その成果は患者に還元されるものである。</p>                                 |   |
| <p>効果と費用との関係に関する分析</p>  |   |
| <p>70万人の難治性疾患の患者にとって治療成績の向上や社会参加はかけがえのないものであり、経済的効果の試算は困難だが、その施策は国として大きな効果を有するものと考えられる。</p> |   |
| <p>他の類似施策(他省庁分を含む)がある場合の重複の有無</p>   | <p>有 <input checked="" type="radio"/> 無</p> |
| <p>(有の場合の整理の考え方)</p>  |   |

(4) その他

|           |
|-----------|
| <p>なし</p> |
|-----------|

3. 特記事項

|  |
|--|
| <p>学識経験を有する者の知見の活用に関する事項<br/>         なし</p> |
|--|

各種政府決定との関係及び遵守状況

なし

総務省による行政評価・監視等の状況

なし

国会による決議等の状況（警告決議、付帯決議等）

なし

会計検査院による指摘

なし