

実績評価書

平成17年8月

政策体系	番号	
基本目標	1	安心・信頼してかけられる医療の確保と国民の健康づくりを推進すること
施策目標	9	新医薬品・医療用具の開発を促進するとともに、医薬品産業等の振興を図ること
	IV	患者数が少なく、研究開発が進みにくい希少疾病用新薬や成人に比較して適用薬剤が少ない小児・未熟児に適した剤型等の研究開発を推進すること
担当部局・課	主管部局・課	医政局研究開発振興課
	関係部局・課	

1. 施策目標に関する実績の状況

実績目標1	希少疾病用医薬品を開発すること				
(実績目標を達成するための手段の概要)					
・薬事法に基づき、希少疾病用医薬品の研究資金を確保するとともに、希少疾病用医薬品の共同開発や国際協力の推進に努めること。					
○関連する経費（平成16年度予算）					
・独立行政法人医薬品医療機器総合機構開発振興勘定運営費交付金 9,071百万円 （施策に対しての予算は運営費交付金の一部）					
(評価指標)	H12	H13	H14	H15	H16
希少疾病用医薬品・医療用具の承認取得数(件)	6	0	1	2	3
(備考)					
実績目標2	小児・未熟児用医薬品の承認取得を促進するとともに、新しい薬剤を開発すること				
(実績目標を達成するための手段の概要)					
・小児・未熟児用医薬品のための研究費を確保するとともに、研究環境の基盤整備の推進を図る。					
○関連する経費（平成16年度予算）					
・小児疾患臨床研究費（厚生労働科学研究費補助金）193百万円					
(評価指標)	H12	H13	H14	H15	H16
新医薬品承認数(件)	39	23	24	24	16
(備考)					
小児・未熟児用医薬品の単独での集計がないため、成人用医薬品を含めた数字。					

2. 評価

(1) 現状分析

現状分析

これまでの研究開発により、毎年一件以上の希少疾病用医薬品・医療用具が承認されているが、希少疾病用医薬品・医療用具については、開発が困難な面を多く含んだ領域のものが増えていることから、現状の施策を強化・充実することにより、研究開発を促進する必要がある。

(2) 評価結果

政策手段の有効性の評価

希少疾病用医薬品の分野においては、他に治療用の医薬品や医療用具がないにもかかわらず、企業では開発コストに対する収益が見込めないという側面があることから、その開発を促進する上で本施策の有効性は高い。

政策手段の効率性の評価

希少疾病用医薬品及び小児・未熟児用医薬品は、一般的に医薬品の研究開発は通常10～15年の歳月と、200～300億円の費用が必要とされることに加えて、治験の実施の困難さや少子化による不採算等の課題があることから、民間企業単独での研究開発が難しい分野となっている。当該分野について、毎年、数億円の研究費補助（希少疾病用医薬品開発助成：平成16年度予算額7.5億円、小児未熟児用医薬品開発のための臨床研究支援等：平成16年度予算額3.6億円）を実施し、研究環境を整備することによって、民間企業による将来的成果（新医薬品の開発、承認取得）、製造販売等が見込まれ、効率性がある。

総合的な評価

治療用医薬品・医療用具がない希少疾患患者や今後の我が国を支える小児等を対象とした医薬品・医療用具の開発については、企業の自主的努力では進まないという問題があり、国が支援を行うことは不可欠である。全体の医薬品・医療機器の承認件数は減少しているが、全世界的に見ても新薬が上市される件数は減少し、その原因は治験期間の長期化、ターゲットの高度化に伴う開発の断念数の増加など様々であり、今後はそれらの原因を検討する必要があると考えられる。このような中で希少疾病用医薬品研究開発補助等の施策により、実際に希少疾病用医薬品・医療用具の承認取得数は平成12年度から16年度の間に4年連続で増加し、患者の生命を救うことやQOLの向上に一定の貢献があることから、施策目標の達成に向け進

展があった。

評価結果分類	分析分類
②	②

3. 特記事項

①学識経験を有する者の知見の活用に関する事項

小児・未熟児に対する医薬品等の臨床研究課題採択に際しては、外部の学識経験者の評価を踏まえ選定を行っている。

②各種政府決定との関係及び遵守状況

平成14年6月に閣議決定された「経済財政運営と構造改革に関する基本方針2002」に基づき、文部科学省及び厚生労働省で共同策定した「全国治験活性化3ヶ年計画」（平成15年4月30日）において、個別の施設では症例数が非常に少なく、迅速な治験が困難なオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）等については、大規模治験ネットワークにおいて特に優先的に治験を実施するとともに、地域レベルで

も一定の症例数が確保できるものについては、地域における治験ネットワークに対し、治験の推進を働きかけることとしている。

③総務省による行政評価・監視等の状況

なし。

④国会による決議等の状況（警告決議、付帯決議等）

平成5年の薬事法改正の際の付帯決議においては、「難病、エイズ等に対する医薬品等を1日も早く医療の場に提供するために、医薬品副作用被害救済・研究振興基金による開発助成の充実等希少疾病用医薬品等の研究開発促進のための諸施策の充実強化に努めること。」（平成5年衆議院厚生委員会）、「希少疾病医薬品の研究開発の促進に当たっては、医薬品等製造業者間の共同開発を図るとともに、国際協力の推進に努めること。」（平成5年参議院厚生委員会）とされている。

⑤会計検査院による指摘

なし。