

資料 1 本検討会の趣旨について

特定医療技術等開発推進検討会 第1回

令和8年3月16日

厚生労働省 医政局研究開発政策課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

我が国における医薬品・医療技術開発の現状と課題

患者数が特に少ない超希少疾病等に対しては、市場性等の課題から、企業による医薬品や医療技術の開発が進まない現状がある。他方、海外においては、超希少疾病に対しても、新規的な治療薬の開発が認められる。

医薬品・医療技術の開発における市場性等の課題の例

・ ドラッグ・ロス

海外承認済だが、国内開発未着手・未承認の医薬品（ドラッグ・ロス）については、政府が情報収集し、企業への開発要請等を行っている。2016年から2020年に欧米で承認された品目のうち、ドラッグ・ロス品目は86品目あり、医療上の必要性を確認すべきと判断された品目が55品目、その中から開発要請・開発公募に繋がった品目が23品目であり、開発公募品目のうち2品目について企業から開発の意思の申し出があった。

ドラッグ・ロス86品目の中にはベンチャー企業が開発したものが56%、希少疾病用医薬品が47%、小児用医薬品が37%あり、日本の医療環境の周知、市場規模の小さい医薬品の導入が課題となっている。

・ 感染症に対する危機対応医薬品（MCM）

有事に備えMCMの開発は重要であるが、平時に患者数が少ないため企業が開発が進みにくい現状があり、政府の「感染症協議会」において、プッシュ・プル型研究開発支援を通じたMCMエコシステムの構築が求められている。

・ 再生医療等技術

超希少疾病に対する細胞医療や遺伝子治療については、国内で有望なシーズが出てきているが、高額な製造費用に加え、対象疾患の患者数が限定的であること、有限の治療で完治に至るものもあることから、開発企業にとっては継続的な収益が見込みづらい事例などもあり、開発が進みづらい。

海外で、開発・承認された、革新的な医薬品・医療技術の例

・ 低分子治療薬

対象疾患：嚢胞性線維症（先天性肺疾患）

海外承認状況：米国等で承認済み

国内想定患者数：50人程度

・ アデノ随伴ウイルスベクター(AAV)を用いた*in vivo*遺伝子治療

対象疾患：芳香族L-アミノ酸脱炭酸酵素欠損症（先天性神経疾患）

海外承認状況：米国で承認済み

国内想定患者数：10人程度

市場性の乏しい医療技術等の開発支援について

<論点と課題>

- ・ 超希少疾病や感染症に対する医薬品や医療技術の開発は、国民の公衆衛生・医療の質の向上につながる。
 - ・ 海外においては、超希少疾病等に対する医薬品や医療技術の治験が存在している。
 - ・ 一方で、市場性の乏しい超希少疾病等に対する医薬品や医療技術について、従前からの研究開発支援だけでは国内開発が進まない現状がある。
- ○市場性の乏しい医療技術等の開発について、支援の対象や支援のあり方についての検討が必要ではないか。
- 市場性の乏しい医療技術等の開発を、先端医療研究開発の底上げにどのようにむすびつけるかの検討が必要ではないか。

「特定医療技術等」について

本検討会において、超希少疾病等に対する医療技術の中でも、特に国内患者数が少ない疾患や平時には発生のない感染症等の患者を対象とした医薬品・再生医療等製品や再生医療等技術のうち、市場性が乏しく、開発が進みにくい一方で、それらの導入が国民に対する質の高い医療の提供及び研究開発イノベーションに寄与するものを「特定医療技術等」と呼称する。

「特定医療技術等」の開発支援の必要性

特定医療技術等はその特性から、従来の基盤整備施策及び単なる開発公募のみでは企業による開発着手・技術蓄積には至らず、日本における**技術開発や導入の機会を逃す状況にある**。このため、新たな支援に係る取組（**特定医療技術等の導入に向けた未承認薬等アクセス確保事業**）により、その研究開発を個別的・積極的に支援することを検討したい。

本検討会の目的について

特定医療技術等開発推進検討会で議論いただきたい内容

第1回

「特定医療技術等の導入に向けた未承認薬等アクセス確保事業」において、**支援対象とするべき具体の医薬品・医療技術について、検討にあたっての考え方**についてご意見をいただきたい。

また、それに先立ち、令和8年度の事業においては、どのような特定医療技術等が存在するのか国内外の調査を行う予定であり、**支援対象に対する具体的な調査項目等**についてご意見をいただきたい。



「特定医療技術等の導入に向けた未承認薬等アクセス確保事業」による候補技術等の調査

第2回以降

事業性が極めて乏しい特定医療技術等の社会実装に向けた課題について、令和8年度事業による**調査を通じて同定された候補技術等を念頭に、課題の具体的な抽出、解決策の提案**などをお願いしたい。

施策名：特定医療技術等の導入に向けた未承認薬等アクセス確保事業

① 施策の目的

超希少疾患を対象とした治療薬や遺伝子治療等の技術、平時は国内において発生が想定されない感染症治療薬などは、それらの導入が国民に対する質の高い医療の提供及び医療研究開発のイノベーションに寄与するものである一方、事業性が極めて乏しく、従来の基盤整備施策のみでは企業による開発着手・技術蓄積には至らず、それらの技術開発の機会を逃す状況にある。こうした領域の研究開発について、より個別的・積極的な支援を行うことにより、革新的医薬品や新規医療技術のイノベーションを推進する

② 対策の柱との関係

I			II					III	
1	2	3	1	2	3	4	5	1	2
			○						

③ 施策の概要

超希少疾患の中でも患者数が1名から数十名規模の薬事承認取得が特に困難な疾患を対象に、保険外併用療養費制度を利用した特定臨床研究・医師主導治験等の実施を支援することで、海外で承認済みで国内未承認の医薬品・再生医療等製品又は国内で臨床研究が進んでいるが未承認の遺伝子治療等へのアクセスを確保するとともに、当該技術等の有効性・安全性に関する知見の収集を進め、個別の技術等の状況に応じて、最適な社会実装方策へつなげる。

④ 施策のスキーム図、実施要件(対象、補助率等)等

【調査・準備】

- ・対象とする技術等の候補の調査
- ・事業スキームの検討
- ・プロトコルの検討



次年度以降：有効性・安全性に関する知見の収集

代表機関：国立高度専門医療研究センター等

協力機関：臨床研究中核病院

※医師主導治験・保険外併用療養費制度の活用



⑤ 成果イメージ(経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む)

補正予算において、対象とする技術等の調査及び事業スキームの検討等を進め、課題を抽出することで、我が国における新技術等の創出・実用化の取組を加速化する。

R8年度

R9年度～

特定医療技術等開発推進検討会

社会実装に向けた課題抽出・対応策の検討

- 対象とする技術等の要件等の設定
- 事業における調査方針の決定

- 支援方針の決定
- 支援候補の同定

支援対象の選定

支援対象のフォローアップ

事業実施方針への意見

調査結果報告

- 候補技術等の国内外調査
- 臨床試験の実施スキームの検討と課題抽出
- プロトコール素案の検討

治験・臨床研究の実施

有効性・安全性等に係る知見の収集

社会実装

特定医療技術等の導入に向けた未承認薬等アクセス確保事業

日程	想定議題
2026年3月	<ul style="list-style-type: none">• 本検討会の主旨• 令和8年度事業の支援対象の検討に当たっての考え方• 令和8年度事業における具体的な調査項目等
秋頃	<ul style="list-style-type: none">• 調査事業の中間報告• 具体的な候補技術等の検討と次年度以降の研究開発の支援方針の確認• (必要に応じて社会実装に向けた課題の抽出) →抽出した課題について適宜対応
2026年度内	<ul style="list-style-type: none">• 支援対象となる特定医療技術等の最終決定