

事業評価書（事前・事後）

平成 1 8 年 8 月

評価対象（事業名）	難治性疾患克服研究費	
担当部局・課	主管部局・課	健康局疾病対策課
	関係部局・課	大臣官房厚生科学課

1. 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
	1	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) 事業の概要

事業内容				
<p>「難治性疾患克服研究」は、患者数が少なく、原因不明で、有効な治療法が無く、長期にわたる生活への支障を来す疾患について対象疾患（現在 1 2 1 疾患）としたうえで、研究班を選定し、重点的・効率的に研究を行うことにより、病状の進行の阻止、機能回復・再生を目指した画期的な診断・治療法の開発を行うとともに、地域における難病患者の Q O L（quality of life(生活の質)）の向上を目的とした研究を推進するものである。</p> <p>なお、研究班の選定は原則公募制により研究課題を厚生労働省ホームページにより募集し、「厚生労働省の科学研究開発評価に関する指針」に基づく外部評価制度により行っている。</p>				
予算概算要求額 (単位：百万円)				
H 1 4	H 1 5	H 1 6	H 1 7	H 1 8
—	2, 3 2 2	2, 1 2 6	2, 2 3 9	2, 3 9 8

(3) 問題分析

①現状分析
難治性疾患については、原因不明であり、有効的な治療法が無いため、患者の生活に長期にわたる支障が生じているのが現状である。
②問題点
症例数が少なく患者が全国に散在している。

③問題分析

難治性疾患は患者数が少ないために、致命率が高く、患者の生活に長期にわたる支障が生じていても、研究の対象になりがたい。また、症例数が少なく患者が全国に散在しているため研究が進みにくい。

④事業の必要性

難治性疾患の患者にとって適切な診断や最善の治療が提供され、治療成績が向上し、それによって患者の社会参加が可能とするためには、症例数が少なく研究が進みにくい難治性疾患については、国を挙げて研究をすることが必要である。

(4) 事業の目標

目標達成年度						
政策効果が発現する時期						
アウトプット指標	H 1 3	H 1 4	H 1 5	H 1 6	H 1 7	目標値/基準値
研究課題採択数	6 5	6 0	6 8	6 6	6 3	
(説明) 実際に採択された課題の数をアウトプットとする。			(モニタリングの方法) 採択された課題の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実施している。			

2. 評 価

(1) 必要性

行政関与の必要性の有無（主に官民の役割分担の観点から）	<input checked="" type="checkbox"/> 有	<input type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/> その他
(理由) 難治性疾患の研究については、民間では不採算であるので、行政の関与が必須である。			
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="checkbox"/> 有	<input type="checkbox"/> 無	<input type="checkbox"/> 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、研究体制の構築のためには、国の関与が必須である。			
民営化や外部委託の可否	<input checked="" type="checkbox"/> 可	<input type="checkbox"/> 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="checkbox"/> 有	<input type="checkbox"/> 無	
(理由) 民間における研究の進展を期待できない難治性疾患により、重篤で療養に大きな負			

担を要する患者が存在する中、国の関与により診断・治療法を開発・確立し、これら難病患者のQOL向上と社会参加を促進することは、緊急性を有する社会的要請である。

(2) 有効性

政策効果が発現する経路
<p>難治性疾患のあり方 (革新的技術の導入、到達目標の明確化(治療成績の向上))</p> <p>↓</p> <p>世界標準の治療法の導入と普及 (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>↓</p> <p>世界をリードする画期的診断・治療法の開発 (重点研究: 難治性疾患に対する画期的診断・治療法の開発) (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>↓</p> <p>難治性疾患の治療成績の向上 治癒・寛解した患者の社会参加の促進</p>
これまで達成された効果、今後見込まれる効果
<p>一般的な成果として</p> <p>①対策研究対象の疾患の患者数、性別、好発年齢、地域の偏りなどの実態が明らかになった。</p> <p>②バラバラであった疾患の診断基準、検査手技、分類の統一が行われた。</p> <p>③各疾患の病態が詳細に検討された。</p> <p>④治療の実態とその効果及び限界が明らかにされ、一定の基準に基づいた治療法の開発が目指された。その結果、各種免疫性疾患(大腸性潰瘍炎等)に対する経口免疫抑制剤タクロリムスの投与が著効を示すことが明らかとなるなど、対症療法に関しては明らかな進歩が見られた。</p> <p>⑤難病に対する一般医師の関心と知識が飛躍的に向上した。</p> <p>等の点が挙げられる。</p> <p>診断方法や対症療法の開発については一定の成果が得られたところであるが、難治性疾患の根治に至る治療法の開発についてはなお課題であり、引き続き事業を推進していく必要がある。研究を促進することにより今後さらなる診断・治療法の開発及び地域における難病患者のQOLの向上が見込まれる。</p>
政策の有効性の評価に特に留意が必要な事項
なし。

(3) 効率性

手段の適正性
<p>難治性疾患克服研究事業における研究班については主任研究者、分担研究者及び研究協力者で構成されており、臨床医学分野にとどまらず、基礎医学や社会医学の分野</p>

からも選定される。また、メンバーの所属先は全国の大学、研究所、公的・民間医療機関など広範にわたっているため、全国的に症例数が少ない難治性疾患の研究を行うにあたっては適正である。

費用と効果の関係に関する評価

難治性疾患克服研究事業においては、研究対象となる疾患を重点化し、これについて研究班を構成する研究者による幅広い情報、患者の臨床データの収集及び先端技術を駆使した適正な研究が推進されるとともに、積極的に他の基盤開発研究の成果を活用するなど、効率的に事業が進められている。

他の類似事業（他省庁分を含む）がある場合の重複の有無

有

無

（有の場合の整理の考え方）

(4) その他

なし。

(5) 反映の方向性

評価結果を踏まえ、平成 19 年度予算概算請求において所要の予算を要求する。

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

なし。

②各種政府決定との関係及び遵守状況

なし。

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）

なし。

⑤会計検査院による指摘

なし。