

実績評価書

平成18年7月

政策体系	番号	
基本目標	1	安心・信頼してかか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・医療機器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)					
<ul style="list-style-type: none"> 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のため、独立行政法人医薬基盤研究所において、希少疾病用医薬品を研究開発推進事業を実施する。 オーファンドラッグ等の試験研究費に係る税制優遇措置として、通常の試験研究費に係る控除率（8～10%）よりも上乗せした控除率（12%）での税額控除がある。さらに、2年間の時限措置として、当該年の試験研究費の額が前年度及び前々年度の試験研究費の額を超えており、かつ、過去3年間の試験研究費の平均額を超える場合には、その平均額を超える金額の5%相当額の税額控除の上乗せが認められている。 					
○関連する経費（平成17年度予算額）					
<ul style="list-style-type: none"> 基礎研究推進等事業費 9,022百万円（独立行政法人医薬基盤研究所運営費交付金）の内数 					
(評価指標の考え方)					
希少疾病用医薬品・医療機器の承認取得数の推移を分析することにより、実績目標の達成度を測定することとする。					
(評価指標)	H13	H14	H15	H16	H17
希少疾病用医薬品・医療機器の承認取得数(件)	2	3	2	3	8
(備考)					
承認取得数については、希少疾病用医薬品・医療機器の指定を受けた年度に計上するものである。（仮に平成17年度に承認された医薬品であっても、平成13年度に希少疾病用医薬品の指定を受けているものであれば平成13年度に計上する。）					
※開発中の医薬品は、希少疾病用医薬品の「指定」を受けることで、優先審査等の各					

種の優遇措置を受けられる事になる。これにより、開発が進み「承認」されて上市されることとなる。

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、新型剤型を開発すること
--------	--------------------------------------

(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17年度予算額）

・小児疾患臨床研究費（厚生労働科学研究費補助金） 174百万円

(評価指標の考え方)

新医薬品承認数の推移を分析することにより、実績目標の達成度を測定することとする。

(評価指標)

新医薬品承認数（件）

H13	H14	H15	H16	H17
23	24	24	16	21

(備考)

小児・未熟児用医薬品の単独での集計がないため、新医薬品の承認取得件数を計上。

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1件以上の希少疾病用医薬品・医療機器が承認されているが、希少疾病用医薬品・医療機器については、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ことが求められている。

(2) 評価結果

政策手段の有効性の評価

医薬品の開発については、より複雑な作用機序によるなどの理由から開発の困難さが増しており、全世界的に新薬の承認数は減少している。このような中で、新医薬品の承認取得数は、平成17年度においては平成16年度と比較して大幅に増加しており、本政策手段は、希少疾病用医薬品を含め、医薬品の開発促進に有効であると評価できる。

特に、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機器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、本政策手段の有効性は高いと考えられる。

政策手段の効率性の評価

希少疾病用医薬品及び小児・未熟児用医薬品については、一般的な医薬品の研究開発が通常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である。当該分野について、毎年、国が数億円の研究費補助を実施し、研究環境を整備することによって、民間企業においてより少ないコストで

新医薬品の開発、承認取得、製造販売等を行うことが可能となるため、効率的である。	
総合的な評価	
治療用医薬品・医療機器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・医療機器の開発については、企業の自主的努力だけ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。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・医療機器の承認取得数は平成 17 年度において増加しており、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
1 目標を達成した	1 分析が的確に行われている
② 達成に向けて進展があった	② 分析がおおむね的確に行われている
3 達成に向けて進展がみられない	3 分析があまり的確でない

3. 特記事項

<p>①学識経験を有する者の知見の活用に関する事項</p> <p>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。</p> <p>②各種政府決定との関係及び遵守状況</p> <p>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。</p> <p>③総務省による行政評価・監視等の状況</p> <p>なし。</p> <p>④国会による決議等の状況（警告決議、付帯決議等）</p> <p>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）、「希少疾病用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。</p> <p>⑤会計検査院による指摘</p> <p>なし。</p>
