

5 希少疾患に対する新薬開発：基盤研の取り組み

武井 貞治

独立行政法人医薬基盤研究所 研究振興部長

1. はじめに

医薬品の開発には、莫大な資金と時間が必要とされ、1成分あたりの開発費は500億円にもなると、基礎研究から医薬品が誕生するまでに必要な期間は9～17年とも言われている。このように、新薬開発が難しい状況の中、特に難治性疾患やエイズ等を対象とする医薬品や医療機器は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ない等のことから市場性が低く、開発に困難を伴うものも多い。

このような状況を受けて、平成5年10月より薬事法に基づく「希少疾病用医薬品」および「希少疾病用医療機器」（以下、2つをまとめて「希少疾病用医薬品等」という）の開発振興業務を、国（厚生労働省）、独立行政法人医薬品医療機器総合機構および独立行政法人医薬基盤研究所（以下、「基盤研」という）において実施している。

2. 希少疾病用医薬品等の指定

国からの優遇措置を受けるためには、まず、希少疾病用医薬品等として厚生労働大臣の指定を受けることが必要である。その指定基準は、
①我が国における患者数が5万人未満であるこ

と、②医療上、特にその必要性が高いこと、③開発の可能性が高いことである。

3. 基盤研で行っている希少疾病用医薬品等開発振興のための優遇措置

①助成金交付事業

希少疾病用医薬品等として厚生労働大臣の指定を受けた開発企業等に対し、助成金の交付を、原則として指定を受けた日以降、承認申請までに行われる試験研究費用を対象として行っている。

②指導・助言事業

希少疾病用医薬品等の全般的な相談を受け付け、承認申請までに実施する試験研究、承認申請資料などに関する指導・助言を行っている。

③認定事業（試験研究費の税額控除手続き）

税制上の優遇を受けるために必要な、希少疾病用医薬品等の試験研究費の認定業務を行っている。