

# お薬のしおり

## オーファン<sup>®</sup>ドラッグ<sup>®</sup>とは No.48 (H17.9)

東京医科大学病院 薬剤部

本来、オーファンとは面倒をみる親や親戚がいなくて誰も引き取り手のいない孤児やみなし子を意味する単語で、オーファンドラッグを直訳すると「引き取り手のいない薬」ということになります。オーファンドラッグは「希少疾病用医薬品」と訳され、稀な疾病の治療を目的とした医薬品・医療機器を意味します。

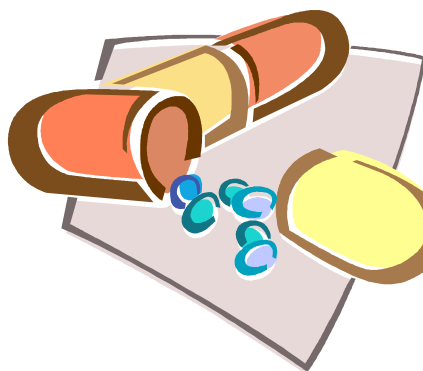
医薬品が世の中に流通するには厳しい審査があり、新薬の開発には長い年月(10~20年)と多額の費用(200億~300億)がかかります。製薬メーカーも会社の存続のためには利益を上げなくてはなりません。患者数が少なく原因究明も進んでいない疾病の場合、開発リスクが高く、たとえ開発に成功し発売したとしても、患者数が少ないため市場性に乏しく利益が望めないため、製薬メーカーにとってメリットが少ないことがあります。

このような事情から、死亡率が高く日常生活における障害が著しいものであるにもかかわらず、稀にしか起こらない病気であるために社会的に注目されることも少なく、病気の原因や治療法の研究が後回しにされてきた疾患がいくつもありました。(一部の白血病やHIV感染症等いわゆる難病が多く、その治療薬の医療上の必要性は非常に高いものです。)

そこで、政府は人道的な視点からオーファンドラッグを開発した製薬メーカーには以下のような優遇措置を与えることにより開発を奨励することにしました。

他の医薬品に優先して審査を受けられる。

再審査期間(本来は4~6年)を6年~10年に延長することができる。(この間は市場の独占権が与えられる)



薬価の面で「画期性加算」「市場性加算」の対象となる。(少し薬の値段が高く設定される)

国から助成金を受けられる。税法上の優遇措置を受けられる。などがあります。しかし、これでも欧米諸国の製薬メーカーに比べ開発のメリットは少なく、海外で安く開発したオーファンドラッグを日本へ持ち込む事例が多いようです。

また、オーファンドラッグとして厚生労働省から指定をされるためには、次の基準を満たしていることが必要です。

日本における患者数が5万人未満の重篤な疾病が対象

医療上、特にその必要性が高いこと(代替する適切な医薬品等または治療方法がない、もしくは既存の医薬品と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されること)

開発の可能性が高いこと(その医薬品を使用する理論的根拠があり開発計画が妥当であると認められること)

現在、オーファンドラッグに指定されている医薬品は150品目、医療機器は8品目あり、そのうち製品となり使用されているものは医薬品で100品目、医療機器で4品目あります。

現在はこのような開発振興の制度により、薬は存在するが市場に出ない、ということが少なくなり、患者さんの手に薬が渡るようになりました。しかし、開発された治療薬も、対象疾患のすべての患者に有効といえるものは残念ながら出現していません。研究開発の中には、従来からある医薬品を用いて症状改善を行う対症療法的な適応開発にとどまっているものもあります。本格的な治療薬開発のためには、それぞれの病気について病態の解明など基礎医学的な研究が重要となります。原因に迫る治療薬の開発はとくに困難で、官民協力しての原因の究明や治療法の研究が今後も期待されます。

