

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）とは ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスとは

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）とは

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）とは、希少疾患に用いられる医薬品を指します。希少疾患とは難病のうち患者数の少ない病気のことです。

厚生労働大臣からオーファンドラッグの指定を受けると、開発に際し様々な公的な支援を受けることができます。指定を受ける要件は以下のすべてを満たすことが条件になります。

- ・日本において患者数が5万人未満の重篤な病気が対象であること
- ・医療上特に必要性が高いこと
代替する適切な医薬品、治療法がない、
もしくは既存の医薬品と比較して著しく高い有効性、あるいは安全性が期待されること
- ・開発の可能性が高いこと
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

引用 厚生労働省

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000068484.html>

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律

<https://elaws.e-gov.go.jp/document?lawid=335AC0000000145>



承認薬や有効な治療法が存在しない疾患の多い希少疾患領域においても、ドラッグ・ラグやドラッグ・ロスは重要な課題です。

ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ロスとは

ドラッグ・ラグとは、広義では、欧米で承認済みの新規有効成分含有医薬品のうち、日本では遅れて承認された、あるいは現状日本では未承認のものを指します。

さらに本邦における開発・承認状況で、ドラッグ・ラグ、ドラッグ・ラグ（未承認）、ドラッグ・ロスに分類されます。

	欧米承認状況	日本承認状況	日本開発状況
ドラッグ・ラグ	承認済み	欧米に遅れて承認	—
ドラッグ・ラグ（未承認）	承認済み	未承認	開発情報あり
ドラッグ・ロス	承認済み	未承認	開発情報なし

参照

医薬産業政策研究所資料をもとにRDD Japan事務局で改変

https://www.jpma.or.jp/opir/news/070/k9rmj200000006ob-att/70_5.pdf



欧米でも、オーファンドラッグの開発は盛んにおこなわれています。

例を挙げると、米国では、2022年に承認された37剤のうち20剤（54％）は

希少疾病に用いられる薬剤であり、52%だった2021年と同様に高い割合を示していました。

参照

FDA

<https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/ood/>



課題解決に向けて、様々なステークホルダー（関係者）が連携して取り組んでいくことが必要です。



RDD2024のすべてのパネルは
左の二次元コードからご覧いただけます。