

課題までを視野に入れた学際的な取り組みも必要となるが、本研究事業の実施によりこれらの連携が進み、研究基盤が確立するとともに新たな研究分野の形成や発展も期待される場所である。このため、今後とも、うつ病や自殺対策、遺伝子解析に基づく画期的治療法の開発など行政的に重要な課題を中心に、研究の一層の拡充が求められる。

これまでの研究成果は、学術的な成果として発表され、本分野の研究の進展に寄与しているのはもちろんのこと、随時、行政施策に反映され、こころの健康問題や精神疾患、神経・筋疾患対策の充実に貢献してきている。

こころの健康科学研究は広い範囲を対象とするものであるから、優先度の高い課題を適切に選定して効率的に推進することが重要である。現在でも、行政的なニーズに学術的な観点を加えて、公募課題を決定し、応募された課題の事前評価と採択、中間・事後評価等を実施しているが、これらの評価システムをより有効に運営することが求められる。

1 3) 難治性疾患克服研究事業

事務事業名	難治性疾患克服研究経費
担当部局・課主管課	健康局疾病対策課
関係課	大臣官房厚生科学課

A. 研究事業概要

(1) 関連する政策体系の施策目標

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	厚生労働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) 事務事業の概要 (継続)

神経疾患、自己免疫疾患、先天性代謝疾患等の難治性疾患に対しては、昭和47年に策定された難病対策要綱に基づいて研究が進められ、一定の成果を上げてきたところであるが、依然、完治に至らない疾患等が存在する。

平成15年度から、「難治性疾患克服研究」を創設し、根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残すおそれが少なくない自己免疫疾患や神経疾患等の不可逆的変性を来す難治性疾患に対して、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・治療法の開発を行い、患者の生活の質の向上を図っているところある。

その一方で、その発症メカニズムや有効性の高い治療法について、十分に解明が進んでいるとはいえない難病が依然として存在しており、一層の研究の充実が求められている。

このため、平成17年度は「難治性疾患克服研究」において、根本的な治療法が確立しておらず、かつ後遺症を残すおそれが少なくない自己免疫疾患や神経疾患等の不可逆的変性を来す難治性疾患に対して、他の分野の基盤開発研究を踏まえた臨床応用の展開をはかり、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QOLの向上を図ることを目的として研究を推進する。

また、特定疾患治療研究事業もあわせた事業評価を行い、新たな難治性疾患への対応についても検討を進めていく。

こうした研究事業の基盤整備を進めるため、若手研究者育成活用事業、外国人研究者の招へい、外国への日本人研究者等の派遣及び研究成果等の啓発などの推進事業を実施する。具体的には、

- ・免疫、ゲノム、再生等他の基盤開発研究の成果を活用した新しい治療技術の開発
- ・失われた機能を補完する機器の開発や心理的支援の開発
- ・緊急性、治療法の開発レベル等を考慮した重点研究
- ・新しく開発された治療技術の臨床応用（安全性、有効性に関する評価）

等の研究を進め専門家、行政官による事前評価に基づき研究補助金を交付し、得られた成果を適切に医療や地域保健の現場に反映させる。

(3) 予算額（単位：百万円）

H13	H14	H15	H16	H17
2,022	2,022（特定） 100（こども）	2,322（特定） 100（こども）	2,126	（未確定）

(4) 趣旨

● 施策の必要性と国が関与する理由

「難治性疾患克服研究」における臨床調査研究と「特定疾患治療研究事業」が連携し、制度見直しによって改訂された新しい臨床調査個人票を駆使し、難病患者のQOL、介護の状況や障害の状況を詳細に解析することによって、行政施策の推進に大きく寄与するものであるとともに、難病の原因解明、治療法開発が進められ、患者のQOLの向上に大きく貢献するものである。

● 他省との連携

新しい治療法の開発等に関しては、省内外で実施されているゲノム、再生、免疫等の基盤開発研究の成果を積極的に活用し、効率的な研究を推進している。

● 期待される成果

本研究に関する成果としては、

・ 特定疾患治療研究事業の対象疾患について、患者の療養状況を含む実態、診断・治療法の開発等に大きく寄与しており、これに基づく診断基準の改定・治療指針の改訂は、我が国の医療水準の向上につながっている。

・ 潰瘍性大腸炎に対する遠心分離法を用いた白血球除去療法の開発し、高度先進医療として承認された。

・ 研究成果である新しい治療法により、病気の軽快者も出ており、難病医療に貢献している。

・ 現在でも、多くの難病患者が病院や在宅で療養しているが、「難病患者の心理サポートマニュアル」の作成・改訂や「難病相談・支援センター」の整備等を通じて、福祉施策が大きく進められており、医療福祉環境の向上に寄与している。

また、特定疾患調査解析システムを導入することにより、単に疾患の症状、診断法、治療法のみならず、国内における疾患の動向を把握している。

今後は、免疫システムに関する分子生物学的研究の成果を活用した難治性自己免疫性疾患の治療法の開発、難病患者の日常生活支援のための研究等について効果的かつ効率的に研究の推進を図っていく。

● 前年度の総合科学技術会議および科学技術部会での評価に対する取り組み

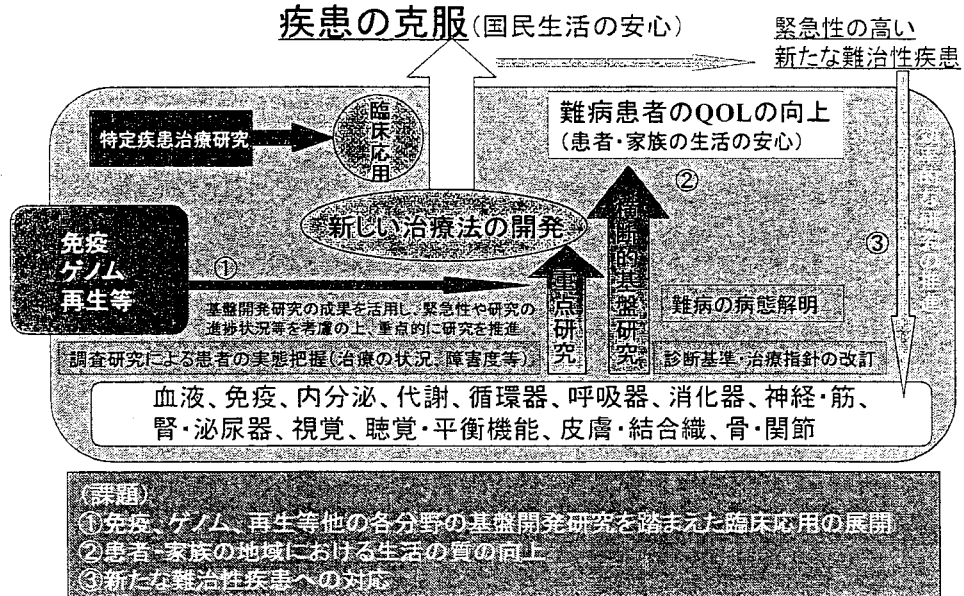
ゲノム、再生、免疫等他の基盤開発研究の成果を活用した臨床研究を推進することにより、難病の克服を進め、研究の進捗状況、治療成績等を評価する体制を構築した上で、疾病毎の研究の必要性を見極め、難治性疾患克服研究の対象疾患（121疾患）以外の難病についても、緊急性の高い疾患については、研究の実施を進めていくよう研究の実施体制を見直し、真に必要な研究に資金が配分される体制を整備していくこととしている。

(5) 事業の概略図



難治性疾患克服研究事業

必要な研究を実施し、難病の克服を目指すことにより、国民の安心な生活を確保する



B. 評価結果

(1) 必要性

難治性かつ患者数が少ない疾患の病態の解明、治療法の開発を進めるためには、行政が、難病患者の臨床データを収集し研究者の英知を集めて、個別の疾患の克服を目指した研究を推進する必要がある。

予後の著しい改善がみられない難病の対策を進めるためには、世界標準の診断法・治療法を確立し、病状の進行阻止を図ることが急務である。また、患者の生活の質 (QOL) の向上についても積極的に研究を推進していく必要がある。また、現在、研究対象となっていない疾病についても、緊急性等を考慮して治療法の開発等を推進していくべきである。

本事業は、疾患克服に関して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ものであるため、事業全体を外部に委託することは困難であるが、事務的な手続きを外部へ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。

(2) 有効性

難治性疾患克服研究事業においては、研究班を構成する研究者から幅広い情報、患者の臨床データが収集され、先端技術を駆使した適正な研究を効率的に進めることが可能である。また、積極的に他の基盤開発研究の成果を適切に活用し、効率的に事業が進められている。

本研究事業の1研究課題あたりの金額は20,000千円—50,000千円程度であり、研究期間は3年程度を限度としている。評価方法についても外部の評価委員で構成される評価委員会（事前、中間事後）が、多角的な視点から評価を行い、その結果で研究費の配分が行われており、効率的に事業を進めている。

近年の科学技術の進歩に対応した（ゲノム関連技術、再生医療、免疫メカニズム等に関する）診断・治療技術の開発や国内で開発された新しい治療法の実証的臨床研究を行うことによって、難治性疾患疾患の治療成績向上と治癒・寛解した患者の社会復帰の促進を図る研究であり、高い必要性、緊急性が求められており、また、限られた予算の中で効率的な研究課題の採択が行われている。また、研究期間は原則3年であり、研究課題の見直しに反映されるため事業の目的達成に対する有効性が高いと考えられる。

(3) 計画性

事前、中間事後評価委員会では、各研究成果の評価をもとに、今後の研究事業の在り方を含めた議論がなされており、本事業における研究課題の設定や研究の方向性については、このような専門家の意見を踏まえた上で決定されている。

また、本研究と特定疾患治療研究事業とが連携し計画的に難病の克服を進めるために、有識者による第三者機関である「特定疾患対策懇談会」を開催し、調整を図っている。

(4) 効率性

本事業における目標が達成された場合、難病医療に関して、以下のことが期待される。

- 多くの難病について標準的な診断・治療指針が示され、国内の多くの医療機関において、稀少性難病の早期診断・早期治療が可能となる。
- 難病患者の地域における支援ネットワークが整備され、施設、在宅にかかわらず、必要なケアを受けることができる。
- 有効的な治療法の見出せない難病についても、失われた機能を補完する機器の開発や心理的支援の開発が進み、生活の質を大幅に向上する。
- 新薬の治験、細胞治療、遺伝子治療等についての臨床研究が大幅に進み、新たな治療法が開発が加速される。
- 同時に、安全で副作用の少ない、患者個人に最適な治療法の選択が可能となる。
- 発症メカニズムの解明が進んだ場合は、難病予防への道筋が示される可能性がある。

このような研究とその成果に対する経済的な試算は困難であるが、難病患者にとって、治療成績の向上や社会参加はかけがえのないものであり、約50万人の患者にとって全体として大きな効果を有するものと考えられる。

(5) その他

平成14年8月に示された「厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会」の今後の難病対策の在り方に関する中間報告を踏まえ、事業を実施している。

総合科学技術会議における、「17年度の科学技術に関する予算、人材等の資源配分の方

針」の中でも、本研究の一分野が重点事項（ライフサイエンス）に位置づけられた。

C. 総合評価

（新規治療法の開発）

難治性疾患に対し、各疾患群別に国際標準の診断基準と治療方法の導入を図るための調査を行うとともに、対象を重点化し明確な目標を持った上で、ゲノム関連技術、再生医療等の革新的技術を基にした診断・治療法の開発と実証的臨床研究による実用化を目指す必要がある。

（難病患者のQOLの向上）

難病患者の生活の質の向上を図るため、難病相談支援センター等の難病患者を取り巻く社会基盤の効果的な活用方法に関する研究、患者の心理的カウンセリングに関する研究や難病患者が地域や家庭で生活する上で、有効的に患者とその家族の生活を支援するための用具や機器の開発等を実施する必要がある。

（行政施策との関連）

本事業では、疫学的手法や先進的な自然科学的手法により、特定疾患の診断基準作成を進めるなど、難病施策と密接な関係があり、行政的にも効果的な成果が期待できる。また、いわゆる「難病」については、特定疾患調査研究対象疾患以外にも様々な疾患が存在する。このような疾患の臨床像・疫学像等の実態を把握し、「難病」における特定疾患調査研究の位置づけを明らかにする必要がある。必要な研究に十分な費用が投入できる効率的な研究体制を構築していく必要がある。また、そのためには一刻も早く現在対象となっている難病の克服を進める必要がある。