

経済透視図

希少疾患薬（オーフアンドラッグ）は、個々の患者数は少ないものの、領域全体としての疾患の患者数が少く、市場規模を有していない一方、まだ満たされていない医療ニーズが極めて高い分野として、近年注目されている。

推定患者3億人

日本製薬工業協会によれば、グローバルにおいて6000を超えている希少疾患が同定されており、その総患者数は約3億人になると推定される。すなわち、

個々の患者数は少ないものの、領域全体としての疾患の患者数が少く、市場規模を有していない。また、約95%の希少疾患には依然として有効な治療選択肢が存在しないとされ、新規治療薬の研究開発に対する患者および医療現場からの期待は極めて大きい。

希少疾患薬の動向と展望

Orphanヘルで解明されるゲートによると、希少疾患の約80%は遺伝性疾患であることが分析されている。研究開発が可能な希少疾患の結果として、

成功確率が向上

また、希少疾患分野では、非営利研究機関や患者団体など、製薬企業以外のステークホルダー（利害関係者）の果たす役割も大き

スクの高い創薬初期段階を乗り越えやすい環境が整いつつあること。また、製薬企業の参入意欲を高める一因となっている。

財政格差配慮を

ただ、オーファンドラッグを取り巻く課題も依然として多い。患者数の少なさを背景に

学的评价を意識したターゲットプロファイルを設定し、高い価値評価を獲得できる医薬品開発を目指すことが重要だ。

加えて、「成果に基づく支払い（Outcome Based Agreement）」や「クロスボーダー・アクセス（国際的な共同開発提供）」といった、医療保険財政の持続可能性やアクセス格差に配慮した制度が普及すれば、オーファンドラッグの収益化の可能性はさらに高まり、今後の一層の発展が期待される。

研究初期に評価獲得想定

近年の遺伝子解析技術の発展により、疾患原因が分子・遺伝子レベルで明らかになり、少疾患領域における市場投入品も徐々に増加しつつある。

これらの組織が長年にわたり蓄積してきた基礎研究データや患者データなどを活用することで、研究開発期間の短縮や臨床開発における成功確率の向上に寄与した事例も報告されている。投資回収

ンドラッグ指定制度が整備され、開発費用に対する補助、審査期間の短縮、市場独占期間の付与などの支援策が講じられている。これにより、従来は採算性で参入が困難であった希少疾患分野において、製薬企業初期段階から医療経済



藤安次郎

SMBCC日興証券
産業・サステナ
ビリテイ戦略部

無断転載・複写禁止