

希少疾病治療薬開発における薬学 - 経済学横断的解析

○伊東 敏<sup>1</sup>, 田村 梨恵<sup>2</sup>, 靱山 沙也香<sup>2</sup>, 中村 洋<sup>3</sup>, 鈴木 岳之<sup>1,2</sup>(<sup>1</sup>慶應大院薬,  
<sup>2</sup>慶應大薬,<sup>3</sup>慶應大院経営管理)

## 【目的】

ブロックバスターの相次ぐ特許切れにより、近年の製薬業界の開発戦略では、希少疾病治療薬 (Orphan Drug; OD) の開発が重要視されてきている。OD 開発は市場独占、優先審査などが企業側のメリットとして考えられる。一方、患者数が少なく市場規模が小さいために、ビジネス展開を考慮するとその開発戦略は容易ではない。よって本研究では、OD の開発現状を分析し、それに影響を与える要因に関して検討することを目的とした。

## 【方法】

OD として指定を受けている医薬品について、各種データベース検索を用いて統計分析を行った。さらにその中の数社の開発品目を対象として、各企業および臨床医へのインタビューを行い、実際の使用状況などについての分析も行った。

## 【結果・考察】

これまでの OD 指定状況 (日・米・欧) は指定総数 247・1892・855, うち承認販売数 160・326・64 であった。国内の OD に関する援助は、OD 指定などによる企業側への開発費援助と、特定疾患認定・高額療養費制度などによる患者負担の軽減を目的とした援助の2つに大別され、OD 開発に着手する際のポイントとなる。本研究で対象としたケースではコアテクノロジー、対象疾病の患者数、企業形態などに違いがあった。上市に至る成功要因・開発の促進要因としては、各医薬品の適応拡大、他企業とのアライアンス、Unmet Medical Needs への貢献による企業価値の向上などが考えられた。