

# 難病とは 希少疾患・オーファンドラッグとは

## 難病とは

「難病」は、長年にわたって社会通念的概念とされてきましたが、2015年1月に施行された難病法（難病の患者に対する医療等に関する法律）ではじめて法律に基づいて以下のように定義付けされました。

- ・発病の機構が明らかではなく、かつ、
- ・治療方法が確立していない希少疾患であり、
- ・当該疾病にかかることにより長期にわたり療養を必要とすることとなるもの

難病の患者に対する医療等に関する法律（平成26年法律第50号） 第一章第一条

患者数等による限定は行わず、他の施策体系が樹立されていない疾病（疾患や症状）を幅広く対象としています。

## 指定難病とは

難病のうち、以下の要件の全てを満たすものを指します。

- ・患者数が本邦において一定の人数（注）に達しないこと  
（注）人口のおおむね0.1%程度と厚生労働省令において規定
- ・客観的な診断基準（又はそれに準ずるもの）が確立していること

指定難病は、厚生科学審議会（疾病対策部会 指定難病検討委員会）の意見を聴いて厚生労働大臣が指定します。

資料 疾病対策部会 指定難病検討委員会 資料

## 希少疾患、オーファンドラッグとは

オーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）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支援を受けることができます。指定を受ける要件は以下をすべて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、また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）

厚生労働省

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

