

## ウルトラ・オーファンドラッグ開発支援の法整備と我が国の創薬・難病対策に関する要望

遠位型（えんいがた）ミオパチーは、体幹部より遠い部分から徐々に筋力が低下していく「進行性」の筋疾患の総称であり、国内では少なくとも三つの型が知られ、何れも数十～数百人の「超」希少疾病です。多くは二～三十歳代で発症の後、上肢の筋力低下と共に歩行困難、やがて日常生活全般に介助を要するなど、進行に怯える患者にとっては一刻の猶予も待てない深刻な病態です。

そして現在、有効な治療薬・治療法が無く、医療上の必要性が特に高いウルトラ・オーファンドラッグ（患者数1000人未満）としての医薬品開発が必要な疾病です。

近年、独立行政法人 国立精神・神経医療研究センターが世界に先駆けてDMRV（縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー）治療における「シアル酸補充療法」の開発研究を進めており、2009年5月、マウス実験による治療法開発の可能性（薬効薬理）が全世界に向け証明されました。

次はヒトへの臨床応用の段階となり、大変面白い兆しが見えて来ましたが、ヒトへの応用には基礎研究に止まらず、非臨床試験、臨床試験、さらには医薬品の製造まで、高度な技術と多額の開発費用を必要とし、治療薬承認までには気の遠くなるような時間が必要です。

このような状況の中、2009年ようやく「儲からない薬」の開発に手を挙げたノーベル・ファーマ社によるNEDOの助成事業を活用した取り組みが実行段階と成り、遂には2010年11月、東北大学病院の医師主導によるDMRV治療薬の第一相治験を行う事が出来ました。

その結果、薬物動態試験による安全性が証明されましたが、次のステップとなる本格的な患者服用による第二相・第三相治験を行うには十億円、二十億円とも言われる巨額の資金が必要です。今すぐこれを賄う公的資金の投入が無ければ、日本の研究者は創薬を諦め、「儲からない薬」に手を挙げる企業も現れなくなり、我が国が主導する臨床試験・製薬そのものが頓挫するばかりでなく、我が国のオーファンドラッグ開発支援制度の存在意義が薄れてしまうのではないのでしょうか。

2009年4月、本疾患は「難治性疾患克服研究事業・研究奨励分野」に指定されましたが、難病指定・特定疾患には指定されておらず、安定した資金投入・継続的な難病研究が阻害されている状況に有り、製薬が実現したとしても多額の患者負担が強いられる事が予想されます。

私たち患者会は、2008年4月の発足より多くの支援者と共に「難病指定・特定疾患への指定、及びに治療薬開発の推進」を求める署名活動を全国各地で行い、数々の街頭署名・イベントを行うなど精力的な活動を続け、社会的な問題提起活動に多くの共鳴をいただいています。

そして、2012年より全国の地方議会に向け「ウルトラ・オーファンドラッグ開発支援の法整備」に向けた意見書提出活動を進めており、既に2012年度末時点において、74もの地方議会より政府・衆参議長・関係大臣に向けた意見書が提出されています。

本日、この重き191万筆もの署名を添え、意見書の後押しと共に次の三点を強く要望致します。

一、開発間近となったDMRV治療薬について、早期の制度適用、研究者や製薬企業が創薬出来る統合的な「ウルトラ・オーファンドラッグ開発支援の法整備」に向けた具体的な法律そのものを確立し、これら医薬品の早期承認と患者負担を軽減するための更なる取組を求めます。

一、我が国が発見・治療法を開発したDMRV治療薬について、基礎研究から臨床の間「死の谷」を乗り越える為、国家戦略として更なる医師主導治験を進める為の公的資金の投入、第二相治験実施予定拠点の「臨床研究中核病院整備事業」への選定、並びに我が国がイニシアティブを取り、最初から参加できる国際共同治験を支援する為の更なる取組を求めます。

一、新たな難治性疾患対策の在り方検討が進む中、難病指定・特定疾患の枠組みに囚われず、有望な研究事業への安定した資金投入・継続的な難病研究の環境と医療費補助の公平性を求めます。

今後、私たちの要望が叶い、遠位型ミオパチー治療薬実現への第一歩が踏み出せるならば、全世界で有効な治療薬を待ちわびる全ての難病患者の為、希少疾病における創薬のモデルケースとなるんことを願っています。

平成二十五年四月二日

特定非営利活動法人 PADM

遠位型ミオパチー患者会

代表 辻美喜

厚生労働大臣 田村 憲久 殿

