

発議第7号

患者数が特に少ない（遠位型ミオパチー等）希少疾病用医薬品（ウルトラ・オーファンドラッグ）開発促進・支援のための法整備等を求める意見書
（平成24年12月21日原案可決）

遠位型ミオパチーは、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」の筋疾患で、患者数が国内で400～500人程の希少疾病です。多くは20～30歳代で発症の後、上肢の筋力低下と共に歩行困難となり、日常生活全般に介助を要し、やがて寝たきりとなります。そして、経済的にも大きな負担を強いられます。

現在、この病気には有効な治療薬・治療法が無く、医療上の必要性が特に高い希少疾病用医薬品（ウルトラ・オーファンドラッグ）の開発が急務です。

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縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー（DMRV）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、平成21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。

そして平成21年8月、ようやく「儲からない薬」の開発に着手した製薬企業により独立行政法人新エネルギー・産業技術総合開発機構（NEDO）の助成事業を活用した取り組みが実行され、遂には平成23年6月、東北大学病院の医師主導によるDMRV治療薬の第Ⅰ相治験を終了しました。

しかし、次のステップとなる本格的な患者服用による第Ⅱ・第Ⅲ相治験を行うには10～20億円とも言われる巨額の資金が必要であるため、開発が暗礁に乗り上げたままになっています。

患者団体はこれまでに「特定疾患への指定、及び治療薬開発の推進」を求める署名活動や「ウルトラ・オーファンドラッグ開発支援と我が国の創薬・難病対策に関する要望」を提出するなど、政府・関係省庁への積極的な要請活動を行いました。

その結果、厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会や厚生労働部門会議の薬事法小委員会による希少疾病用医薬品の開発支援など、政府・関係省庁からも前向きな検討が強化されたものの、未だ創薬実現に向けた明確な前進は見られません。

患者にとっては、日々進行する病状を考えると、もはや一刻の猶予も待てない深刻な状況であり、計り知れない不安を抱きながら、一日も早い治療法の確立を待ち望んでいます。

よって、国におかれましては、下記の事項を早期に実現されるよう強く要望します。

記

1. 「ウルトラ・オーファンドラッグ開発支援の法整備」を速やかに確立すること。
2. 希少疾病用医薬品の早期承認と医療費補助を含む患者負担軽減のための措置を講ずること。
3. 遠位型ミオパチーをはじめとする希少疾病に関する研究事業の更なる充実強化と継続的な支援を行うこと。

以上、地方自治法第99条の規定により意見書を提出する。

平成24年12月21日

提出先 …… 衆議院議長、参議院議長、内閣総理大臣、厚生労働大臣