

難病・慢性疾患フォーラム 企画セッション 資料集

2011年11月12日

特定非営利活動法人 知的財産研究推進機構 (PRIP Tokyo)

難病・慢性疾患全国フォーラム 2011
すべての患者・障害者・高齢者が安心して暮らせる社会を

2011年11月12日(土) 12時45分より17時まで
日本教育会館一ツ橋ホール (3F)
東京都千代田区一ツ橋 2-6-2 電話 03-3230-2833



● プログラム : 申し込めば方法など詳細は郵送をごらんください
オープニングアトラクション LOVE JUNX (ラブジャンクス)
※ダウン症児者によるダンスパフォーマンス
患者・家族の断片
特別報告〜東日本大震災・被災地難病患者を支援した団体から
シンポジウム「今後の難病・長期慢性疾患対策を考える」

● 参加費 : 1,000 円 (資料代含む)
● 後 援 : 厚生労働省 (申請中)、日本医師会 (申請中)、他



一ツ橋ホール
日本教育会館

目次

- 海外患者団体紹介 p3-10
- 国際連携企画紹介 p11-13
- 東日本大震災から見えてくる今後の課題と準備 p14
- DIA: Rare Diseases and Orphan Products Meeting参加報告 p15
- 中国における最近の動向および関連組織の活動状況 p16

National Organization for Rare Disorders

全国希少疾病団体

運営目標

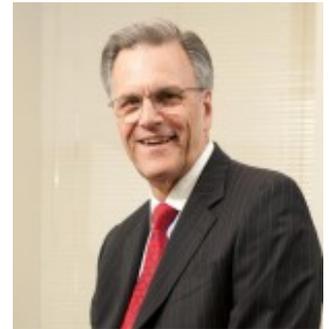
希少疾病患者、その支援団体のサポートのため、教育、政策提言、研究、奉仕活動を通じて希少疾病の同定、治療、治癒に貢献する

特徴

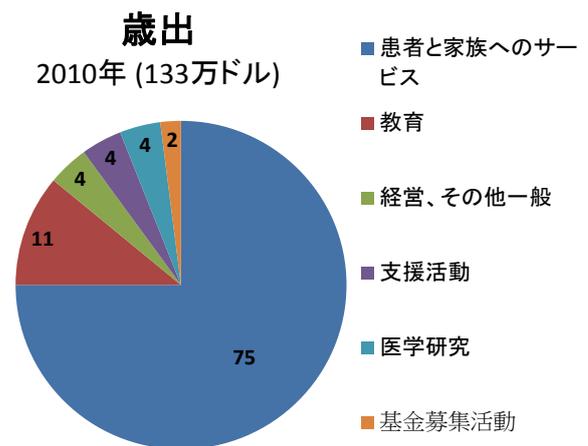
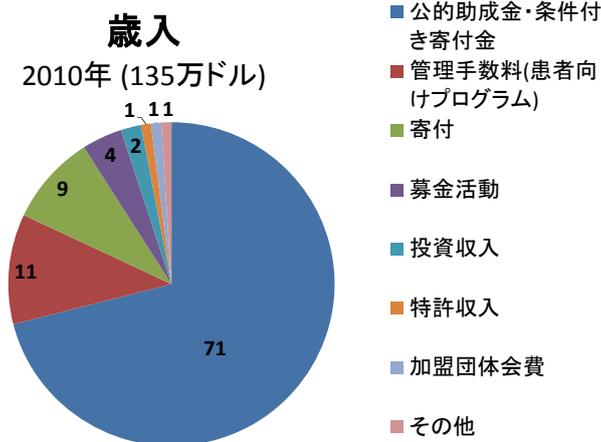
ポータルサイトを通じた希少疾病、患者団体、研究助成金、政策提言に関する情報の提供
世界各国の希少疾病患者支援団体とのネットワークの構築

代表: **Peter Saltonstall**

ヘルスケア分野で営利、非営利両団体での30年以上の経験があり、複数の医療センターでの重役を務める。2008年から現職。



連絡窓口: orphan@rarediseases.org



参加・協力団体: 163団体

資金提供団体: 59団体

難病関連環境の変化

1983年: オーファンドラッグ法の制定

2002年: NIHに希少疾病部局が設立

2008年: 欧州で世界希少・難治性疾患の日 初開催

1983年: 設立

1987年: 製薬企業と共同で、患者支援プログラムを開始

2002年&2003年: 米国ベストチャリティー団体ベスト100に選出

2008年: Peterが代表に就任

2009年: 世界希少・難治性疾患の日開催

2011年: 第一回US希少疾患・オーファン薬会議開催

団体の活動内容

(The European Organisation for Rare Diseases)

ヨーロッパ希少疾患団体



EURORDISの使命

EURORDISの使命は、患者団体と希少疾患と共に生きる人々の強い汎ヨーロッパ組織を作ることである。そして、彼らの声をヨーロッパ全体へ伝え、病気自体と病気の与える様々な影響に対して闘っていくことである。

EURORDIS
の特徴

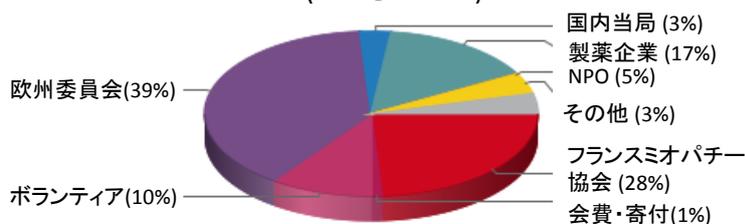
- ・ヨーロッパで希少疾患と共に生きる人々の生活の質の改善に向けて、産業界や政界の希少疾患への認識を高めるための国境を越えた強いネットワークがある。
- ・24人のスタッフにより、研究開発、支援活動、経営や6言語でのホームページ作成など、様々な活動が可能となっている。

- ・代表: Yann Le Cam (写真左上)
- ・ホームページ: <http://www.eurordis.org/>
⇒ "News & Events" では希少疾患に関する様々な会議やイベントを紹介しています。"Get Involved" では『意思決定』プロセスを経験し上達させるためのゲームなど、多くの内容が載っています。
- ・連絡先: eurordis@eurordis.org

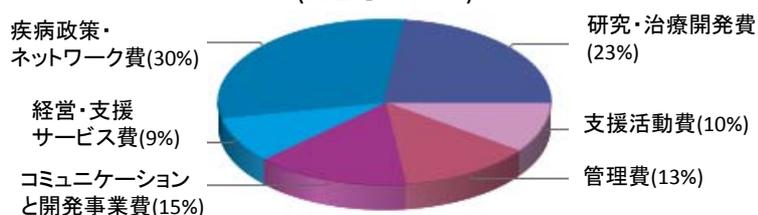


理事会メンバー

歳入2010
(364万ユーロ)

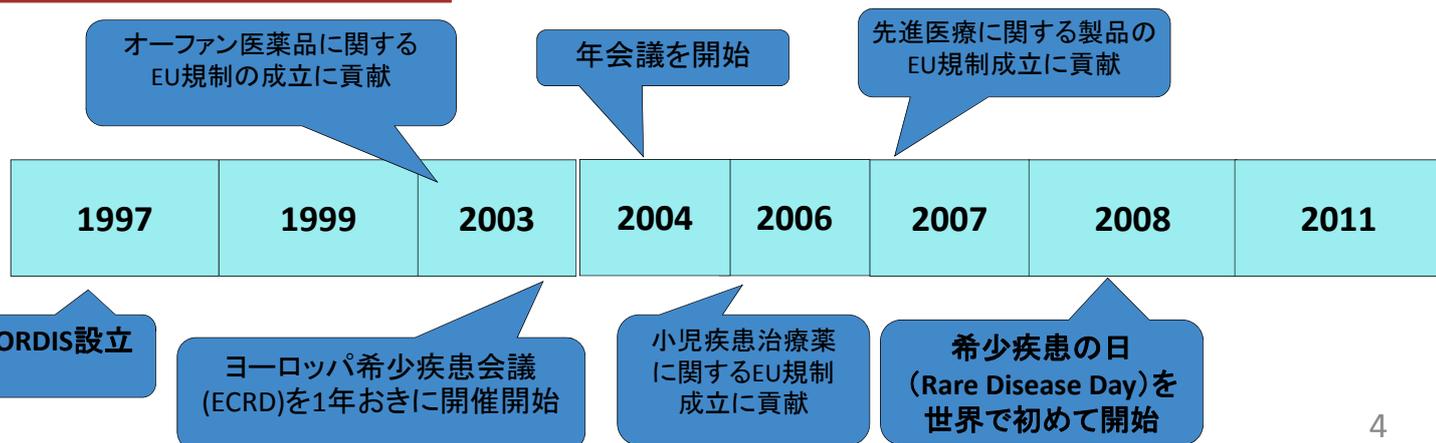


歳出2010
(352万ユーロ)



メンバー団体: 500団体 (45カ国中) カバーする希少疾患数: 1000以上

これまでの主な活動年表





(Group of Linking, Investigation and Support in Rare Diseases)
希少疾患における連結・研究・支援団体

Mission: 希少疾患が人々のQOLに与える影響について取り組むこと。

Vision: ラテンアメリカ地域における希少疾患患者を支援体制を整えること。

特徴: 公的機関、市民活動、学術、患者とその家族等幅広い分野で活動を行う。

ブラジル、アルゼンチン、チリ、コロンビア、パナマ、ウルグアイ、プエルトリコ、エクアドル、ペルーとラテンアメリカの多くの国の患者組織の相互連携を支援している。

基本方針

- 患者同士のつながりの強化
- 国民同盟の設立の推進
- ラテンアメリカでのRD/ODの基本法の普及
- 希少疾患患者への治療、支援等の情報提供
- 電話での相談受付
- 希少疾患分野の研究開発の促進
- 患者とその家族の精神的サポート
- 希少疾患やその他の医療制度のネットワーク構築の促進
- 公的部門との連携と助言
- ラテンアメリカで唯一のEURODISとの連携



代表: Dr. Virginia Alejandra Llera

2002年設立者
精神科医、ICORDのメンバーでもある。

連絡窓口: contacto@fundationgeiser.org
+054 261 4291987



Hacer una Donación

インターネット上での募金活動を行っている

難病関連環境の変化

Geiserは以下の法律の成立促進、助言を行ってきた(年度不明)

- ・希少疾患認知、「希少疾患週間」の宣言についてのブエノスアイレス市の法律
- ・国民会議での国際法プロジェクト
- ・アルゼンチンのリオネグロ・ブエノスアイレス・エントレリオスの地方の法律
- ・コロンビアの上院組織における法律
- ・ブラジルでの国会提出のための希少疾患法に関する文書



団体の活動内容

New Zealand Organisation for Rare Disorders

ニュージーランド希少疾患患者組織

【運営目標】

- 希少疾患の患者・家族および組織に対する支援を行い、それらの水準を引き上げる。
- 希少疾患の早期発見を促進し、患者・家族への最良の医療ケアと社会的支援を保証する。
- 患者とその家族、臨床医、研究者、政府、産業のパートナーシップを構築し、研究を促進する。

【特徴】

- 積極的な政策提言やプレスリリース
- 政府の各省庁や団体のほか、テレビ局などへも提言
- 患者団体の設立を支援



【事務局】

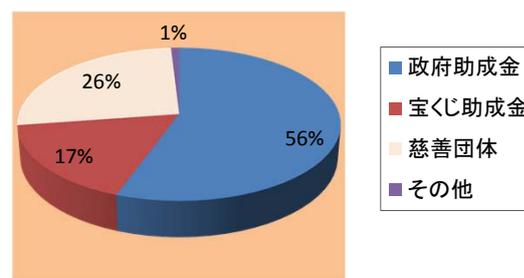
- 事務局長：John Forman
Genetic Allianceのニュージーランド代表、ICORDの秘書官を兼務
- 連絡先：New Zealand Organisation for Rare Disorders
PO Box 38-538, Wellington Mail Centre
Tel : +64-4-471-2226 E-mail : enquiries@nzord.org.nz



【NZORDができる支援活動】

- 情報を探すのを手助けします
- 団体設立のお手伝いをします
- 研究を促進します
- 患者・患者の家族の声を広く届けます
- 関係者をつなぐ手助けをします
- 国民的な議論を喚起します

【収入】 2009年



【その他】

- 支援をしている患者団体：146団体
- 現在の主な賛助団体：8団体

難病関連環境の変化

2004年：
希少疾患
バイオバ
ンク設立

2005年：
代謝性疾患の
新生児スクリー
ニングを拡張

2005年：
着床前診断
(PGD)ガイド
ラインを承認

2009年：
パンへの葉酸添
加義務化を2012
年まで延期と発表

2010年：
表皮水疱症(EB)へ
の看護サービスの
ための予算を確保

2010年：
オーファン
ドラッグ法
は未制定

2001年：
NZORD
設立

2002年：
遺伝子組
換えウシ
利用の支
援を開始

2003年：
genETHICS
エッセイコ
ンテスト共催
(2006年まで)

2004年：
着床前診
断(PGD)
ガイドラ
インを提
言

2006年：
食品への
葉酸添加
の義務化
を提言

2008年：
たばこ広
告の全面
禁止を政
府に提言

2009年：
無料の
ホーム
ページ作
製支援を
開始

2010年：
Rare
Disease
Dayに参
加

団体の活動内容

Taiwan Foundation of Rare Disorders

台湾財団難病基金

運営目標: 患者の生活向上のため...

1. 患者・患者家族のケア
2. 専門医師とのコラボレーション
3. 医療機関間のネットワーク強化
4. 関連政策策定の推進
5. 患者団体の育成
6. 研究水準の向上
7. 希少疾病の認知度アップ
8. 国際的連携の促進

特徴

- ・患者の心のケアを含めた人権保護・生活向上を目指す多彩な活動 (医療情報提供・経済補助・奨学金・就学補助・カウンセリングなど)
- ・メディアを有効活用した発言力
- ・「新生児スクリーニング制度」の推進
- ・医学専門家を理事とした難病研究促進への貢献

理事会

理事長: 陳垣崇 (医学専門家)

ポンペ病治療薬マイオザイム開発者 (映画: 小さな命が呼ぶとき)

連絡先: Taipei Head Office

6F., No.20, Changchun Rd., Zhongshan District, Taipei City 104, Taiwan (R.O.C.)

Tel : 886-2-2521-0717 Fax : 886-2-2567-3560 E-mail : tfrd@tfrd.org.tw



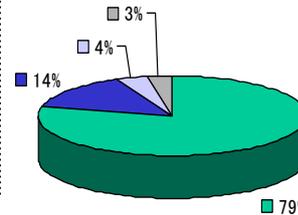
一般の人ができる団体援助

- ・募金
- ・懸賞付きレシート
- ・チャリティーオークション
- ・ボランティア
- ・Web宣伝
- ・企業協賛

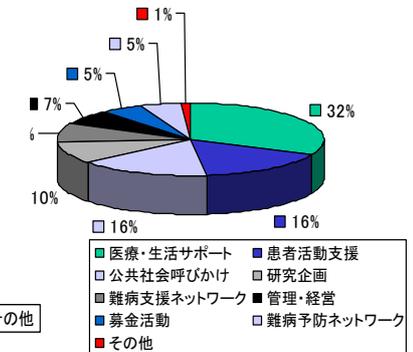


【収入・支出】

収入: 2009年



支出: 2009年



海外同盟団体: 6団体

支援団体: 31団体

難病関連環境の変化

2000年: 難病関連法案施行

2001年: 心身障害市民保護法改訂 (難病患者へ適応拡大)

2002年: 難病患者に対する高額医療制度 (医療補助) 開始

2004年: 難病治療費の特別予算策定

2006年: 「新生児スクリーニング計画」政府着手開始

2009年: 難病生物資料庫 (データバンク) 計画

1999年: 設立

2001年: 難病関連検査紹介サービス 患者負担2割で検査可能

2003年: 難病患者へ無料インフルエンザワクチン

2003年: 奨学金活動開始

2006年: メンタルカウンセリングサービス開始

2008年: 低蛋白食引換券サービス開始 (先天性代謝異常症患者対象)

2008年: ボランティアトレーニングプログラム開始

2009年: 難病家族サポートコース開始

団体の活動内容

Korean Organization for Rare Diseases

韓国希少・難治性疾患連合会

運営目標

- ・希少疾病患者およびその家族のサポートのため、医療に関する問題や困難を解決する
- ・患者の権利を守り、疾患に関する情報を提供し、社会福祉の改善に寄与する

特徴

政策提言、社会的サービス(疾患、医療、文化、教育・自立支援)、広報・出版、希少疾患患者のためのケアセンターの設立



代表

신현민 (Hyun-Min Shin)

関連団体数

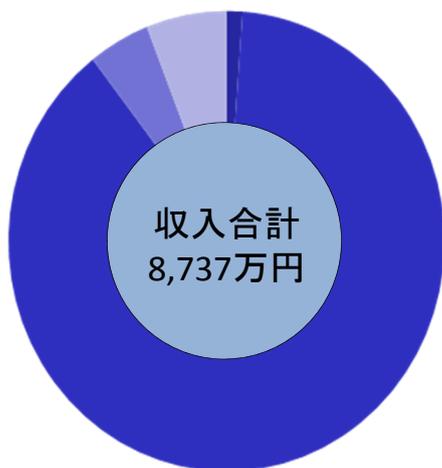
傘下団体: 69団体(約38,000名)

連絡先

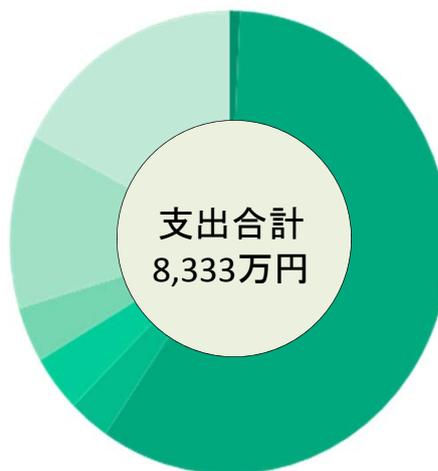
kord2003@hanmail.net

活動資金の内訳

(2010年度)



- 事業費
- 寄附金
- 登録団体会費
- 利子収入



- 開発事業費
- 医療福祉事業費
- 文化福祉事業費
- 教育自活事業費
- 広報事業費
- 避難所運営事業費
- 運営費

難病関連環境の変化(韓国)

1999年: オーフアンドラッグセンター設立 (Korean FDA)

2001年: 希少疾患用医薬品助成開始 (110以上)

2004年: 遺伝・希少疾患センター設立

2006年: 希少疾患ケアセンター・地域センター設立

2006年: 新生児健診開始

2008年: 希少疾患研究センター設立

2001年: 設立

2003年: 社団法人の認可取得

2007年: 希少疾患患者のためのケアセンター設立

団体の活動内容

Ågrenska Academy (Sweden)

運営目標

難病患者およびその家族のための「憩いの場」および研究支援の場の構築

特徴

- ・ Ågrenska Academyは、希少疾患関係の家族を第一の対象としていることが大きな特徴です。家族ならびに患者の心身のケアを中心に、活動・研究プログラムを実施しています。
- ・ Ågrenska Academyはヨーテボリ地域に位置する小さな半島にあります。家族は定期的に参加されるプログラムに参加し、さまざまなアクティビティーを楽しむことが可能です(カヌー、キャンプ等)。
- ・併設された研究センター(ヨーテボリ大学との連携)では、実際に患者さんに対する歯磨き指導やセラピーも実施しています。また、定期的に参加者のご家族に対するヒアリングも実施しており、彼らの心のケアも行っています。
- ・総予算は公表されていません。一方で、多くの寄附による支援、およびボランティア活動による支援が実施されています。たとえば、Ågrenska Academyがある半島(右写真上)は、ヨーテボリ地域の富豪から寄附された土地です。また、中央に位置する中央棟(右写真下)は、地元住民の手作りであり、地元住民がペンキを塗ったりガラスをはめたりして完成しました。



主な活動

- ・国立希少疾患センターの運営
- ・患者家族支援活動
- ・友好基金の設立
- ・サマーキャンプを含む療養センター経営
- ・注意欠陥過活動性[多動性]障害の相談受付
- ・ニュースレターの発行 等

代表

Anders Olausson



連絡先

<http://www.agrenska.se/>

1989年: 設立

1998年:
国際連携開始

2000年:
Agrenska
Friendship
Foundation 設立

2001年: Mun-H-
Center (国立口
腔顔面センター)
を移管

2006年:
Personal
Assistance
サービス開始

団体の活動内容

遺伝病支援連合

ミッション

遺伝学を通じて健康を増進する。

個人、家族、コミュニティの健康に焦点をあてたオープンな環境づくりを促進する。

- 患者支援のための新しいパートナーシップを生み出すため、様々なステークホルダーを結びつける。
- 保険制度を改善するために、個人、家族、コミュニティの考えを取りまとめる。
- 研究成果がサービスや個人の意思決定に利用されるよう、情報へのアクセスに変革をもたらす。



特徴

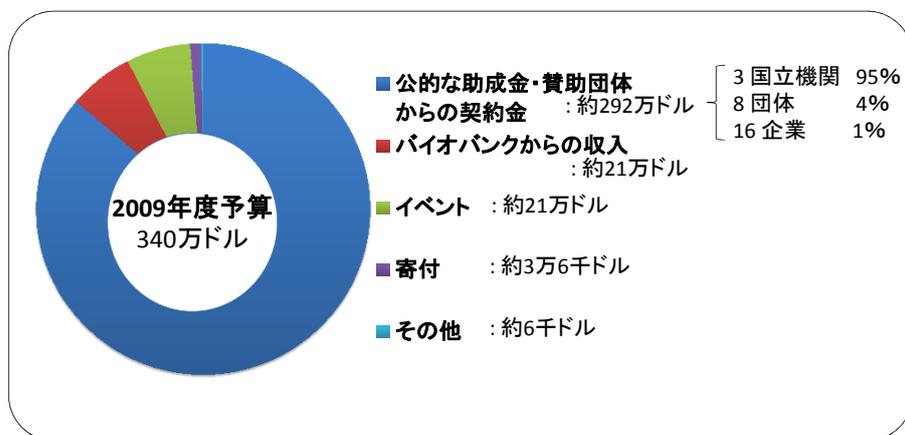
- ・1986年に設立して以来、1000以上の疾患の支援団体、数千の大学、営利企業、政府組織、公的機関をネットワークしている。
- ・患者団体に対して財政的支援のみでなく、情報システムの構築などの技術的支援も行っている。
- ・疾患関連の情報および生物学的サンプルを提供する「BioBank」を運営している。
- ・2009年にはWashingtonian Magazineの「Great Places to Work (働きがいのある職場) Top 50」およびResearch!Americaの「Paul G. Rogers Distinguished Organization Advocacy Award (卓越した支援団体賞)」の表彰を受けている。
- ・情報発信にfacebook, LinkedIn, Youtube, Twitterなどのソーシャルメディアを積極的に活用し、その効果をアニュアルレポートにも掲載している。

代表・CEO
Sharon F. Terry

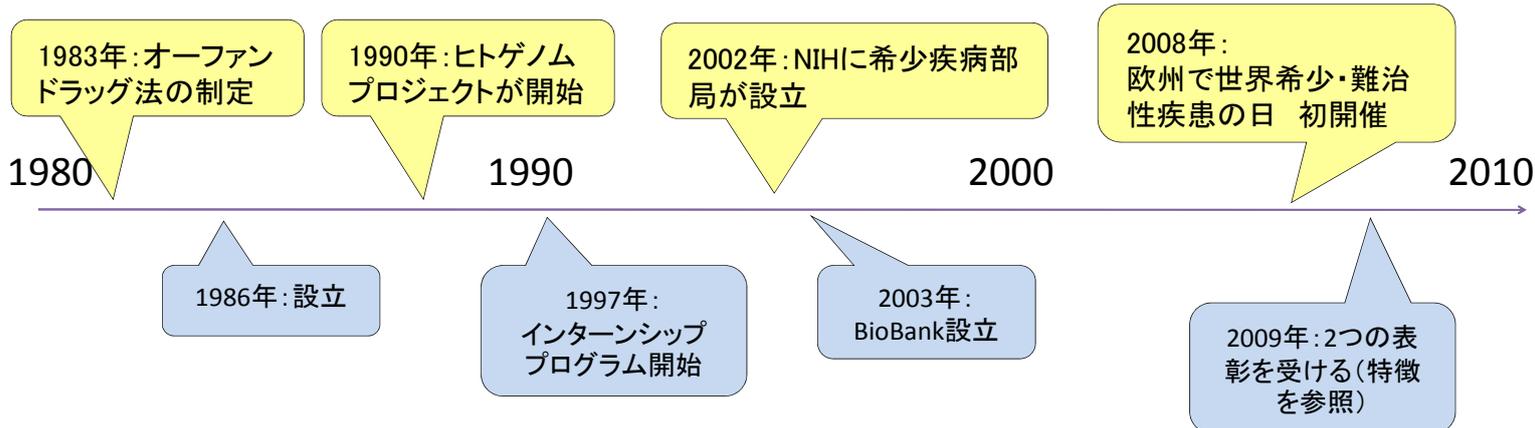


ホームページ
<http://www.geneticalliance.org/>
(ホームページ内の「JOIN」というページから個人・団体で参加申請が可能)

E-mail: info@geneticalliance.org



難病関連環境の変化



団体の活動内容



VII International Conference on Rare Diseases and Orphan Drugs

第7回 国際希少・難治性疾患創薬会議

～ C³ : Connection + Collaboration = Creation ～

会期：平成24年（2012年）2月4日（土）・5日（日）・6日（月）（3日はプレミーティング）
会場：東京大学 駒場リサーチキャンパス コンベンション・ホール（東京都目黒区駒場4-6-1）

ICORDとは：

ICORDは、世界中の希少・難治性疾患患者および家族・関係者のよりよい社会環境整備の在り方について、当該者だけでなく政府関係者・研究者・企業等がともに考え、社会に向けて発信をしていくことを目的とした国際会議です。これまで本シンポジウムは、主に欧米諸国で実施されてきましたが、第7回目を迎えたICORD2012は、初めてのアジア開催となる。今回の日本での本シンポジウムの開催により、これまでの環境にアジアを加えた真の意味での国際協調が始まると言うことができます。

ICORD2012の参加対象者

ICORD2012には、希少・難治性疾患・希少性疾患用医薬品（オーファンドラッグ）に関連するすべての立場の関係者、つまり、基礎系研究者・臨床系研究者・医者・治験開発関係者・患者・患者関係者・官公庁関係者などが、開催地だけでなく世界各国から参加します。そのため、本領域における総合的かつ国際的な情報共有と議論を同時に実施することが可能です。

ICORD2012では：

ICORD2012では、多種多様な国内外からの参加者とともに、世界中の希少・難治性疾患とオーファンドラッグに関する研究開発、治療、政策、患者会活動、ならびに本分野の認知度向上などの幅広いトピックについて、口頭発表やワークショップによる議論、ポスター発表を行います。これらの議論の場を活かして、すべての立場の関係者間の潤滑なコミュニケーションと議論の促進、そしてそれによる総合的なオピニオンの形成を目指します。

・予定されているセッション：

研究・診断・治療・オーファンドラッグ・希少難治性疾患関連医療政策・倫理・社会認知・国際連携・患者ニーズ 等



ICORDの対象となる希少・難治性疾患の領域は、各疾患の患者が非常に少ないことから、研究や創薬、社会などから取り残される傾向がありました。しかしながら、これらの希少・難治性疾患全ての患者数の総和を考えると人口の数%にもなり、決して無視できない存在であるとの認識が広がりがつつあります。このような環境変化の中で、世界各国の状況や研究、そして政策などの情報共有や協働が今まで以上に望まれる状況となっています。

国内の患者および関係者にとって、ICORD2012は、世界中から多くの患者・関係者が参加するため、国際連携・交流を促進させるまたとないチャンスです。使用言語は原則として英語ですが、すべての口頭発表に同時通訳が入りますので、最新トピックを日本語にて容易に理解することができます。ポスター発表の場もありますので、是非皆さんの活動を世界に伝えていただきたいと思えます。

ご不明な点がございましたら、ご遠慮なく事務局までお知らせください。

ICORD2012 への多数の皆様のご参加を、心よりお待ち申し上げます。

Domenica Taruscio
ICORD 代表

The Board of ICORD

金澤 一郎
ICORD2012 実行委員長

ICORD2012 ウェブサイト：<http://www.prip-tokyo.jp/icord2012/>

ICORD global ウェブサイト：<http://www.icord.se>

お問い合わせ先（ICORD2012事務局）：icord2012contact@prip-tokyo.jp

*なお、本会議は2011年5月に予定されていましたが、3月11日の東日本大震災のため、2012年2月に延期されました。



世界希少・難治性疾患の日 (Rare Disease Day) の紹介



世界希少・難治性疾患の日 (Rare Disease Day) とは？

世界希少・難治性疾患の日とは希少・難治性疾患の患者さんの生活の質の向上を目指した毎年2月28日(うるう年は2月29日)に世界中で開催されるイベントです。スウェーデンで2008年から始まり、翌2009年には世界30カ国が参加し、2010年からは日本でも開催されています。今年2011年には欧州、北米、南米、オセアニア、アジア諸国を含む56カ国で開催されました。

Rare Disease Day 2010 in Tokyo

日本で最初のRare Disease Dayのイベントとして2010年2月28日に東京ミッドタウンにて開催しました。希少・難治性疾患に関わる幅広い関係者との対話、一般の参加者と共にアート作品を作るワークショップ、希少・難治性疾患の患者さんの話、パネルを用いた希少・難治性疾患を取り巻く環境、政策、新薬開発の現状の紹介、希少・難治性疾患について参加者の思いや考えを書いたメッセージボードの展示などを実施し、希少・難治性疾患と普段関わりの少ない一般の参加者にも関心を深めていただくことを目指しました。

カセットプラント

大切なものを未来へ伝える方舟をイメージして、花と天然樹脂と共に、イベント参加者一人ひとりの思いを小さなカセットケースに封じ込めました。芸術家山口啓介氏のプロデュースの中、個々のカセットケースを積み重ね、参加者全員で一つの作品を作り上げました。



ワールドカフェ

各参加者の今後の活動の一助となるような「気づき」が得られることを目的に、患者・医師・支援団体・行政担当者・製薬企業・研究者など多様な立場の方に参加していただき、リラックスした雰囲気の中で自由に意見交換を行って頂きました。



患者さんの生の声

希少・難治性疾患と共に生きる患者さんが日々感じていることについて、参加者に共感してもらうことを目的に、患者さんの実体験、日常生活の中で感じることを率直にお話し頂きました。



パネル展示

希少・難治性疾患についての理解を深めてもらうために、希少・難治性疾患を取り巻く環境や、基礎研究、治療薬の研究開発の現状について、紹介しました。



主催 特定非営利活動法人 知的財産研究推進機構 (PRIP Tokyo)
後援 厚生労働省、日本難病・疾病団体協議会 (JPA)、National Organization for Rare Disorders (NORD)、日本バイテック協議会、日本製薬工業協会、東京大学先端科学技術研究センター
協賛 ジェンザイム・ジャパン(株)、ノーベルファーマ(株)、(株)ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング、アンジェスMG(株)
協力 新潟市美術館

連絡先

Email: contact@prip-tokyo.jp

PRIP Tokyo HP: <http://www.prip-tokyo.jp>

Rare Disease Day HP: <http://www.raredisaseday.jp>

PRIP Tokyo

世界希少・難治性疾患の日 (Rare Disease Day) の紹介 2



Rare Disease Day 2011

日本での2回目のイベントは、東京だけではなく、北海道、八戸、三重、京都など、日本各地で開催され、本イベントの活動が日本全体へと広がる第一歩を踏み出しました。

東京

東京では丸の内オアゾのオープンスペースにおいて、カセットプラントの展示、ワークショップ、希少・難治性疾患に関するパネルの展示、より対話を重視した患者の生の声を開催しました。また、参加者には希少・難治性疾患の患者さんを取り巻く環境を改善するために自分にできることを「マイRDDメッセージ」として残してもらいました。その結果、来場者数は約750名となり、普段は希少・難治性疾患と関わりの少ない方に対して希少・難治性疾患についての関心を高めることに貢献しました。

主催 特定非営利活動法人 知的財産研究推進機構 (PRIP Tokyo)
後援 厚生労働省、日本難病・疾病団体協議会 (JPA)、難病のこども支援全国ネットワーク、National Organization for Rare Disorders (NORD)、日本製薬工業協会、東京大学先端科学技術研究センター
協賛 ジェンザイム・ジャパン株式会社、株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング



北海道

北海道では希少・難治性疾患に関するポスターの展示や啓発を目的としたチラシの配布を行いました。

主催: 財団法人北海道難病連

八戸

八戸では布で作る簡単なひな人形講座、膠原病患者の交流会を実施しました。世界に向けてのメッセージカードを書いたり、当日の様子を一部インターネット上に放映し、世界へ向けて情報を発信しました。

主催: 青森県三八地域膠原病友の会(みつばち会)



三重

三重では交流会やインターネットを通じて希少・難治性疾患患者の「声」を発信することに加えて、三重会場と東京会場とをインターネットでつなぎ、リアルタイムでセッション・イベントに参加しました。

主催: NPO 三重難病連、三重県難病時相談支援センター



京都

京都ではご本人もパーキンソン病を抱える辻井裕美さんによるオルゴール演奏会や、希少・難治性患者を中心にした交流会を開催し、このイベントをきっかけに入会される方もいるなど、希少・難治性疾患患者のネットワークの拡大に貢献しました。

主催: NPO 京都難病連

Rare Disease Day 2012

2012年の世界希少・難治性疾患の日はうるう年のため2月29日です。2012年は日本で3回目となり、認知が広がり、日本中で多くの方々が活動に参加し始めています。PRIP Tokyoでは東京でイベントを開催予定ですが、加えて日本全国でも各地の患者会・難病連の主催する企画が多数開催される予定です。

世界希少・難治性疾患の日の目的である希少・難治性疾患の認知度向上およびそれを通じた治療や生活環境の向上にご賛同いただける方はぜひ全国各地でのイベント開催をご検討ください。皆で力を合わせて少しずつ前へ進んでいきましょう！

連絡先

Email: contact@prip-tokyo.jp

PRIP Tokyo HP: <http://www.prip-tokyo.jp>

Rare Disease Day HP: <http://www.raredisaseday.jp>

PRIP Tokyo

インタビュ―「震災時、これがあれば良かった、これがあった良かった」 東日本大震災から見えてくる今後の課題と準備

インタビュ―実施の場所とねらいは

去る2011年10月15日、宮城は松島で開かれたPJA北海道・東北ブロック交流会において、熊府・希少疾患患者さんやご家族、支援団体の方々の被災経験をインタビュ―させて頂きました。インタビュ―では被災当時これがあったよかったもの、なくて困ったものなど、被災された当時からの後の皆様のご経験をとお聞きしました。



2011年10月
仙台市に集まるPJAの被災者・被災者ご家族のインタビュー

被災時の状況と課題

2011年3月11日午後後に東日本一帯を襲った大地震は、その後の津波による被害も合わせ、甚大な影響を与えました。地震発生直後、患者さんの方の多くは仕事場や通院先など、自宅外にいらした状況で、その後の帰宅などに困難があったようです。

地震発生日からのしばらくはライフラインである電気、水道、ガスなどの停止が続き、復旧までにかかった期間の生活に困難を、そして呼吸器や透析など電気を利用する器具を利用される患者さんの生活にはエネルギー問題(ガソリンなど)が懸念されていました。

避難所などでの疾患への理解や、健康者との共同生活の難しさ、患者団体それぞれでの安否確認と支援物資の手配など、被災後の比較的長期にわたる問題も、今回のインタビュ―では多くの方向が指摘され、今後の行政などの対応と各団体での準備、個人の準備などが必要であることが明らかになりました。

2011年10月、仙台市に集まるPJAの被災者・被災者ご家族のインタビュー



被災時に困ったこと

- ・生活物資やライフライン(電気・水道・ガス)の復旧待ちなど(日常生活全般の困難)
- ・各疾患に必要な対応器具のうち、電気、エネルギーを使って稼働するもののエネルギー枯渇(電気、ガソリンなど復旧・供給待ち)
- ・ガソリン不足による行動範囲の制限(生活物資の調達困難)
- ・患者団体や支援団体への連絡手段がない(個人情報保護によるネットワーク困難)
- ・患者団体や支援団体からの連絡手段がない(個人情報保護によるネットワーク困難)
- ・避難所生活での困難(疾患のナライバシー、援助・補助申請のしにくさ、疾患への理解不足など)

被災時にあって良かったもの

- ・代替できるライフライン(都市ガスに対するプロパンガスボンベ、カセットコンロ、発電機、灯油ヒーターなど)
- ・家族、支援団体との日頃からの交流(緊急時対応のとりきめなど)
- ・処方箋、水などの備蓄
- ・停電時の携帯ワンセグ、地震速報アプリなどの活用(地震情報取得のため)
- ・ガソリン(常に車のタンクを半分以上に維持しておく)
- ・主治医、患者団体側からの情報把握と提供(自身の所在を伝えることが可能であった場合)
- ・黄色いハンカチシステム(被災後の無事の確認と迅速なナライバシーへの配慮もあった)

被災時にあれば良かったもの

- ・燃料調達などの優先配慮(一部自治体によっては優先症を発行)
- ・事前のネットワークづくり(平常時からの患者団体・支援者とのネットワークづくり)
- ・患者情報の保存(患者情報を緊急時に備え複数箇所で管理)
- ・患者情報の公開(患者情報を緊急時には公開できるようなシステム・個人情報公開への患者さん自身の了解)
- ・民間への被災対応・復興業務の一部委託(緊急乗例として)
- ・支援物資の配達法の準備と、配達への周囲(健康者含む)の理解
- ・避難所等での患者さんへの理解と援助(もしくは患者専用の避難所)
- ・ナライバシー配慮(日頃疾患を周囲に知らせていない患者さんのナライバシー)
- ・疾患情報の携帯(各自の疾患情報と必要な援助法をまとめたような、携帯が可能なカード)



インタビュ―の開催
時に集まるPJA

DIA: Rare Diseases and Orphan Products Meeting 参加報告

(2011年10月11-13日、ワシントンDC)

DIA (Drug Information Association) は、全世界で18,000人以上の会員数を有する、創薬、医薬開発、薬事、査察、および製薬、マーケティング関連の医薬専門家のための団体です。DIAは世界各地で上述テーマに関する会合を開催しています。

本会合(以下DIA Meetingとする)は、欧米の協議会レベルの患者組織であるNORD (National Organization for Rare Disorders) ならびにEURORDIS (The European Organization for Rare Diseases) が初めて共催として名を連ねました。米国公的機関であるFDA、NIH、患者団体であるNORD、EURORDISそして関連企業が一堂に介し、希少疾患医薬品の研究開発の現状と問題点及び今後の課題について意見交換を行った、貴重な会合となりました。

会合出席者は約300人であり、その多くは公的機関及び企業関係者でした。米国内からの参加者がほとんどでしたが、海外からの出席者は、カナダ、イギリス、フランス、サウジアラビア、韓国、日本等、多岐にわたりました。

3日間にわたる会合では、FDA・企業・患者会の3つをそれぞれ主対象としたセッションが並行開催され、希少疾患関連研究、希少疾病用医薬品開発 希少疾患関連患者会をとりまく環境、といったトピックについて識者から発表がありました。

患者会セッションでは、NORD代表であるPeter Saltonstall氏やEURORDIS代表であるYann LeCAM氏らが発表を行いました。

Saltonstall氏は、「一人の患者、一つの組織、一人の立場では、Rare Diseaseを取り巻く環境を克服するのは難しい。特に、現在の経済状況では、さらに難しくなっている(特に米国、欧州の経済状態はかなり深刻である)」

と指摘し、FDA、NIH、EURODISの連携・連帯の意義を強調しました。

また、LeCAM氏は、EURORDIS運営の意義を述べた後、個々の希少疾患用医薬品市場は小規模だが、全体市場はグローバル規模であること、そのため情報へのアクセスは世界共通である必要があることを強調しました。また、国家をまたいだ患者会連携だけでなく、規制当局間連携促進についても理解を求めました。質疑応答では、「米国は、なぜ欧州・アジアに比べて希少疾病用医薬品¹⁵



NORD代表 Peter Saltonstall氏

研究開発が進んでいるのか？」との質問に対し、強力な患者支援団体の存在、ならびに社会に対する発信力を挙げました。日本を含むアジアにおいても、今後は個々の患者会活動にとどまらず、連携・協調することによる社会発信の重要性を強く感じました。

FDA セッションでは、希少疾病用医薬品に対する FDA の存在がさらに重要になってくるとの認識が共有されました。

特に、FDA の Regulatory Flexibility (審査規制の柔軟性) への取り組みに対して、多くの質問や期待が寄せられました。とはいえ、単に"Flexibility"だけを拡大しても、多くの Unmet Needs (まだ治療法が確立していない希少疾患) が満たされるわけではなく、やはり研究サイド(iPS 細胞、次世代シーケンスなど)の技術的ブレイクスルーが必要である、との共通認識が生まれました。また、そのためには、NIH 等がリードする基礎科学研究の発展が重要であること、今日の限られた科学予算の中で、できるだけ患者側のニーズを反映した研究への支援が求められることが、会場からの声として挙がりました。演者からは、より具体的な策として、患者の疾患情報 (Registry) 及びニーズを的確に拾い上げるシステムの構築、Natural History Study へのより積極的な支援、それらを連携させる FDA や NORD をはじめとした患者会・患者支援組織の役割強化などの指摘があり、おおいに盛り上がりました。

会合に参加し、多様性のある参加者による議論に刺激を受けるとともに、海外の会合に参加する意義や、日本国内でもこのような会合を開催する重要性を強く感じました。また、海外患者会からは、日本患者会との連携を求める声が多く聞かれたこともあり、今後は実現に向けた努力を重ねていきたいと考えています。

関連 Website

DIA : <http://www.diahome.org/>

US Conference on Rare Diseases and Orphan Products:

(<http://www.diahome.org/DIAHome/FlagshipMeetings/home.aspx?meetingid=26189>)

報告者：池田和由 (PRIP Tokyo, EMBL-EBI)

編集者：西村由希子 (PRIP Tokyo, RCAST UT)



メイン会場の様子

中国における最近の動向および関連組織の活動状況

近年、中国において難病、希少疾患への取り組みが次第に活発になり、政府と慈善団体だけでなく、社会からの注目も集まっている。2008年の春から、中国の国会会議でも関連議案が提言されるようになった。社会各界からも難病、希少疾患患者への関心の声が上がりがつある。2009年3月には、難病、希少疾患患者の為に、中華慈善總會（China Charity Federation）に Rare Disease Office（RDO）という窓口が設置された。RDOは主に希少疾患の患者を対象としている。2009年12月には希少疾患救助基金も立ち上げられ、希少疾患の教育普及、患者への支援、治療方法の研究開発に取り組んでいる。

2010年5月、中華医学会遺伝学支会が上海でシンポジウムを行い、中国の希少疾患の定義を明確にした。大人で発生率1/50万未満、新生児で発生率1/万未満の病気を中国の希少疾患とし、中でも遺伝性の希少疾患に優先的に注目すると宣言された。中国は総人口が多く、希少疾患の総患者数も非常に大きな数字に昇ると見込まれている。

一方、各患者会の活動も盛んになっている。2007年5月に設立された磁器人形ケアと支援協会（China-Dolls Care and Support Association）という骨形成不全症の患者会では、骨形成不全症（Osteogenesis Imperfecta, OI）を含む希少疾患患者が平等に尊重される社会環境が出来るように力を入れている。「骨は脆いけれど、我々の愛は堅固だ。

（Love is still strong）」というスローガンのもと、定期的に全国患者大会を開き、無料診療、親の心理相談、リハビリ訓練治療の検討、法律制定推進のチャリティーオークションなど、様々なイベントが実施された。各地のボランティアは子供の患者を訪ね、孤独を感じさせないようにしている。一部の患者は企業からインターネットを通じた就業の機会を提供してもらった。

PKU 同盟は中国のフェニルケトン尿症の患者会であり、日本の PKU 患者会である PKU 親の会連絡協議会との交流が活発に行われてきた。PKU 同盟は PKU 患者の為に、特別なグルメレシピも開発した。患者の母親間での育児経験交換もなされた。

また、リンパ脈管筋腫症（Lymphangiomyomatosis, LAM）の患者会である中国 LAM 愛護協会（LAM 中国）は全国規模の患者大会を開き、「LAM の友」という刊行物を発行し、一般民衆に向け LAM への関心をアピールしている。月の子の家というアルビニズムの患者会では、ある患者さんがテレビ番組に出演し、支えてくれた彼女に感謝の気持ちを込め、笛を吹くシーンも見られた。

それにもかかわらず、中国では依然として、多くの難病、希少疾患患者が適切な治療とケアを受けられていない。朱維芳氏という国会議員らの提案した「希少疾患を予防治療する法律の作成に関する議案」が全国人大法工委という組織に採用され、法律になるまで非常に大きな一歩となり、有力候補とも言える。より多くの患者がより良い人生を送るために、国と製薬企業と社会への期待が高まっている。

写真出所：1と2→磁器人形ケアと支援協会オフィシャルブログ

(<http://blog.sina.com.cn/chinadollscn>)

3→月の子の家オフィシャルサイト (<http://www.albinism.org.cn/>)

作成者：Ping Yan (PRIP Tokyo、UT)



2011年11月12日
製作 特定非営利活動法人 知的財産研究推進機構 (PRIP Tokyo)

企画責任者 起本 結実子
企画担当者(五十音順)

黒田 泰史
田中 敦
西村 由希子
長谷川 美里
松田 重治
味元 風太
村松 孝彦
森田 瑞樹
Ping Yan