

発言分野：研究の推進・新薬の開発

発 言 者：血管腫・血管奇形の患者会

副代表兼事務局長 横山 江里子 患者家族（母親）

**治療法開発・創薬と並行した既存の制度・組織体系にとらわれない  
柔軟な未承認薬・適応外薬の承認体制の確立**

新しい難病対策の審議もいよいよ大詰めを迎え、日本中の難病患者や家族がその行方をかたずをのんで見守っています。これまでの議論の中でも様々な疾患や領域から当事者の意見が出されてきましたが、今回私たち血管腫・血管奇形の患者会からは、制度の谷間にある患者の立場から「研究の推進・新薬の開発」の分野について意見とお願いを申し上げます。

私たちの病気、血管奇形のように、近年ようやく光があてられた難病は数多く存在します。難病は細かい病名も拾い上げると 5000 から 7000 あるといわれていますが、ご存知のようにそれらの間には“時間差”“格差”が生じています。長年研究され続けてきて尚、有効な治療方法や特効薬が見つからないのが難病です。周回遅れでやっと研究が始まった疾患に対しては、杓子定規な手順を突きつけるのではなく、もっと柔軟な解釈や大きな視点をもって対応していただきたいと考えます。もちろん、まだ研究が始まっていない疾患にもあまねく光を当てていただきたいと思います。何より求めるのは、すべての難病患者が救済される弾力性を持った制度です。このことをまず、強く要望いたします。

では具体的にどうして欲しいのか——これについて患者会の立場から意見を申し上げます。

去る 11 月 15 日、第 26 回難病対策委員会で【新たな難病研究の枠組み案】が公表されました。これによると、現行の「臨床調査研究分野」と「研究奨励分野」は各疾患の研究段階を反映させた領域別の「基盤研究分野」と「臨床研究分野」の二つに大きく分けられ、かつそこから医師主導治験を取り上げる「実用化研究分野」と、文部科学省・iPS 細胞の研究拠点と共同する「横断研究分野」とが連携を持つというフレームが示されています。

当患者会から見ますと、まず領域の中にこれまで存在しなかった「奇形」という区分けが入ってきたことに大きな前進を感じます。私たちの病気、血管奇形は体中どこにでも起こりうる先天性の血管形成不全です。臓器別ではカバーしきれないために長年「その他」という扱いで放置されてきました。こういう難病ならではの特性を理解いただいた点に、よりよい制度への息吹を感じます。

一方で、患者が何より望む治療方法の確立に関する部分を拾っていくと、稀少疾患にとっては依然として高いハードルが残っていることを感じます。それは、制度の目線が「治療法の開発や創薬を目指す」という文言通り、“新しく作る”という方向にしか向いていな

いように思えるからです。それだけでは多くの患者は救われません。視点を変え、今ある薬にも目を向けて、未承認薬や適応外薬の活用を含めた治療方法の確立への道筋を制度化することが、今必要なのではないのでしょうか。

私たちの病気、血管奇形を例に挙げてみます。血管奇形は、異常な血管の交通や流れによって疼痛や潰瘍、不意の出血、患肢の成長異常、機能障害、見た目等の問題で、長期に渡り日常生活に著しい影響を及ぼします。異常な血管を硬化剤で直接硬化または塞栓し、患部を縮小させる「硬化療法」「塞栓術」が、完治は望めないまでも比較的侵襲の少なく効果的だとされる治療法ですが、一部の領域を除いたほとんどの血管奇形に対しては使用される薬剤・手技ともに保険適用外となっています。しかしこの治療法は、食道静脈瘤・下肢静脈瘤に対しては保険診療が行われているのです。

同じ治療法なのになぜそのような“差”が出るのでしょうか。患者はひっ迫した病状を抱え、なぜ精神的にも経済的にも苦しまなければならないのでしょうか。

現行の制度下において、薬事承認は既存薬の効能・効果追加、用法・用量追加、剤形追加に対しても都度、治験が必要です。しかし稀少疾患はコスト回収の見込みもなく、製薬会社は二の足を踏みます。医師主導治験には莫大なコストがかかり、治験のいらぬ公知申請も条件が厳しすぎます。

未承認薬や適応外薬を使用し続けることは、良好な医療環境を維持し医療技術を発展させる上でも好ましいことではありません。このことに関し、中央社会保険医療協議会でも「適応外薬や未承認薬であっても弾力的な取扱いを検討するべき」との意見があります。

再度、[新たな難病研究の枠組み案]に話を戻します。この中で、オーファン・ドラッグ（希少疾病用医薬品）の優遇措置について触れられていますが、例えばこのオーファン・ドラッグをもっと広義に解釈し、指定を拡大し、これまで枠外に置かれていた未承認薬や適応外薬まで含めて考えていただくことはできないのでしょうか。あるいは、既存の制度や組織体系にとらわれず各省庁・部局に横断的に連携をとっていただき、インセンティブだけでなく医療の現場の声、患者の声を反映させた未承認薬・適応外薬の速やかな承認の仕組みを考えてはいただけないのでしょうか。

治療法開発・創薬と並行した柔軟な未承認薬・適応外薬の承認体制の確立。これが実現できれば、血管奇形だけでなく厳しい状況に取り残されている多くの難病患者が救済されると思います。

私たち難病患者や家族は、病気があっても必要な医療と福祉、社会の理解があれば、可能な限り自分らしく学び、働き、生きていけます。すべての難病患者に生きる勇気をもたらす、よりよい難病対策が生まれることを切に願います。