

医療費助成の課題と新たな問題

指定難病の谷間

～ 保険適応外による負担 ～



HORP Relapsing Polychondritis

再発性多発軟骨炎(RP)
患者会

RP患者会
イメージキャラクター
ほーぷちゃん



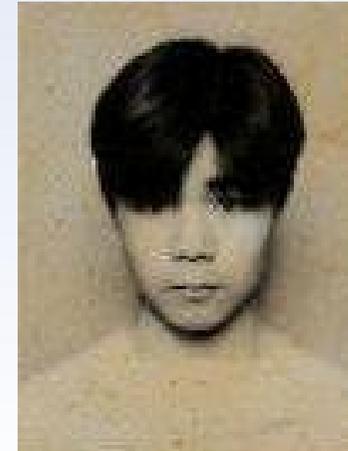
再発性多発軟骨炎 (RP)

- ・全身の軟骨に炎症を起こす自己免疫疾患
- ・気管軟骨に炎症が起きれば、気管狭窄で呼吸困難になり、死に至るケースも
- ・患者数：500人

気管軟骨の炎症による
気管の狭窄



私のプロフィール



・和久井 秀典 東京都在住

・平成4年 **17歳**の時に発症

声が出にくくなり、**呼吸困難**となる。

診断が長期化する疾患だが、最初の症状でRPと診断

・再度呼吸困難となり、**気管切開**で一命を取り止める

・以来20年、**効果的な治療法も無く、専門の医師**もおらず、**患者との接点も無い**まま過ごす。



再発性多発軟骨炎 (RP)患者会

- ・平成20年、難病認定を求める署名運動から発足
(当時:患者支援の会)
- ・6回にわたり署名提出 ~ 平成26年**60万人**達成



平成26年3月7日

佐藤厚労副大臣に署名
提出



再発性多発軟骨炎 (RP)患者会

- ・平成21年 RP研究班発足 (聖マリアンナ医科大学)
 - ～ 難治性疾患克服研究事業: 研究奨励分野
- ・研究協力、各学会での広報活動
- ・患者交流会、医療講演会



第1次選定指定難病

小児慢性特定疾患

障がい者総合支援法
対象疾患

指定難病認定への期待

- ・医療費の軽減
- ・患者数の明確化
- ・患者の状況の明確化
- ・治療研究の推進

多くの情報が収集できるように

患者目線での配慮をお願い！

RPの治療の現状その1

- ・ステロイドと免疫抑制剤
の対症療法のみ

症状の苦しみに加え、多くの副作用で通常的生活が困難！

患者の願い

- ・原因をつきとめ
- ・治療薬を開発
- ・「難病」から
「普通の病気」へ

創薬の大きな壁

- ・開発に膨大な費用が必要
- ・長い年月
- ・市場に出るのは1 / 6000の確率

今を生きる患者には

待てない!!!

生物学的製剤

- ・2003年から登場
- ・サイトカインの働きを弱める
- ・7種類が認可
- ・リウマチ等炎症疾患に使用

アクテムラ

- ・大阪大学が開発
キヤッスルマン病
関節リウマチ
若年性突発関節炎
の3疾患に保険の適用がある

RP治療の現状その2

- ・ 医師の治療経験によってステロイドと免疫抑制剤は使用方法に差がある
- ・ 希少疾患は医師も希少

治療薬も医療機関も選択の
余地が無い

アクテムラの適応拡大の可能性の具体事

例 一般財団法人 難病治療研究振興財団資料より

悪性関節リウマチ	5	5	ベーチェット病	3	4
間質性肺炎	4	5	スティル病	5	5
多発性筋炎・皮膚筋炎	4	5	潰瘍性大腸炎	4	4
SLE	5	4	乾癬	4	4
MCTD	3	5	クローン病	4	4
強直性脊椎炎	2	2	ANCA関連血管炎	5	5
シェーグレン症候群	4	4	再発性多発軟骨炎	5	5
リウマチ性多発筋痛症	5	5	強皮症	4	3
高安病	5	5			

評価点5：治験で有効または人での使用経験あり、有効性

レミケードの投与症例報告から 可能性大と位置付けされた疾患

一般財団法人 難病治療研究振興財団資料より

先天性及後天性の難治性白斑、白皮症	若年性突発関節炎
家族性地中海熱	全身性炎症性肉芽種性疾患
血球貧食症候群	難治性川崎病
高IgD症候群	顕微鏡的大腸炎
再発性多発軟骨炎	類天疱瘡
自己免疫性内耳障害	

平成21年～23年の研究奨励分野から分析

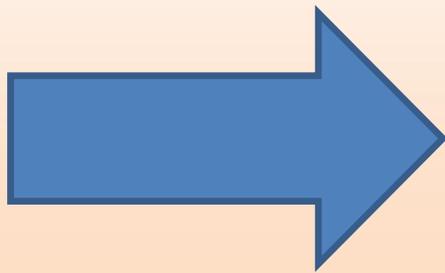
RPの生物学的製剤使用例

- ・RP患者会の1割が投与の経験あり
- ・全員が社会復帰か通常の生活に

RPに生物学的製剤は
効果が大きいと強く実感

生物学的製剤の課題

- ・保険適用の疾患が少ない
- ・10割負担
- ・高額療養制度の利用が出来ない



使用を見送る
患者が多く存在

生物学的製剤価格 (体重50kg)

【アクテムラ】

80mg ¥18,000

体重1kgにつき8mg投与 = **¥90,000 / 回**

【レミケード】

1本 ¥100,000

(体重41kg ~ 50kgは3本使用)

= **¥300,000 / 回**

対症療法に限界の中
生物学的製剤を使えない
ことへの矛盾

重症化しないための薬剤が
助成対象でないために
経済的理由で重症化
する矛盾

指定難病の谷間の中で
明日の命さえ危うい患者が
多く存在する

命が平等であるなら
命を守る環境も
平等でないといけなない!!

既存薬の保険適用のメリット

- ・新薬に比べてかなりの低コストと時間の短縮
- ・日本で開発の薬剤が世界の多くの希少疾患患者を救う
- ・大きな経済効果の期待

指定難病から次の目標へ！

社会の一員として
元気に活躍するため
必要な薬剤を
患者の届ける！





ご清聴
ありがとう
ございました

