

医療「医療費負担の課題、第一次指定難病には入ったけれど」

和久井 秀典さん 長谷川育代さん（患者家族、再発性多発軟骨炎(RP)患者会)

長谷川 (和久井) : みなさんこんにちは、私は東京に住んでいます再発性多発軟骨炎 RP 患者会の (和久井秀典と申します。) 長谷川育代と申します。

長谷川 : 難病対策の大きな改革が進む中での本年の難病フォーラムでこのような時間をいただき、RP 患者一同心より感謝申し上げます。また、本日までこのフェスタに向けて準備を進めてくださった実行委員会やスタッフの皆さま、本当にありがとうございます。

さて、今年は我が国の難病の歴史の中で、未来にわたって深い歴史を刻む年となりました。その中で、指定難病第 1 次疾患に RP が指定され驚きと喜び、そして新たな課題に対する挑戦が始まりました。

再発性多発性軟骨炎という病気は、全身の軟骨組織に炎症を起こす自己免疫疾患です。気管軟骨に症状が起これば、気管狭窄によって呼吸困難を起こし死に至ることも少なくない、患者数は全国で 500 人程度の希少疾患です。

和久井 : 私の RP 最初の重篤な症状は、22 年前の平成 4 年、17 歳のとき声が出にくくなり、気管軟骨の狭窄により呼吸困難になりました。気道確保のために気管切開をし、命拾いをしました。多くの医師が RP という病気を知らないなかで、幸いにも早い段階で RP と診断されましたが、約 20 年、効果的な治療法もなく研究や治療法などの専門の医師もおらず、他の患者との接点もないまま過ごしておりました。

そのような中で平成 20 年より、RP の難病認定と研究開始を認める署名運動が福岡で始まり、その情報を手に入れてから私もその運動に参加いたしました。その活動の中で全国に散らばる患者さんとの交流が始まり、6 回にわたる厚労省への署名提出を行い、今年 3 月には 60 万筆の提出を果たしました。また、平成 21 年には聖マリアンナ医科大学を中心に研究事業が始まり、患者会も研究協力や各学会に訪問活動や交流会、講演会などを実施し平成 24 年 10 月に念願の患者会としてスタート、私は副代表として難病対策に関わる諸活動を担当してまいりました。そのかいもあり本年 8 月に指定難病第 1 次疾患として名を連ね、多くの患者の皆さまから喜びの声をいただきました。

長谷川 : 指定難病になったことで医療費助成はもちろん、詳細が不明だった患者数をはじめ病状や治療状況などが明らかになるのは、私たちにとって画期的なことで大きな期待と共に多くの情報が収集できるような患者目線での配慮をお願いしたいと思っています。

RP の治療は、ステロイドと免疫抑制剤が中心で炎症を抑える対症療法しかありません。ここにお集まりの皆さんは、この治療法がどれだけ困難を要するかおわかりのことと思いますが、多量のステロイドと免疫抑制剤の投与が必須のこの病気は、症状の苦しいみに加え多くの副作用にて通常の生活が困難となっています。

和久井 : 私は気管切開をしてからも、全身の軟骨炎の炎症は 22 年が経った今でも治まる

ことはなく、骨折、白内障、高血圧など副作用にも悩まされています。

難病患者の心からの願いは、原因を突き止め治療薬を開発し、難病から普通の病気として治療ができることにあります。しかし、新薬の開発には200億円という莫大な費用と約20年という長い年月。その中でも新薬として市場に登場するのは6000分の1というわずかな確立です。今を苦しむ患者は今を生きることが精いっぱい、一生懸命戦っています。

長谷川：そのような中でここ10年来、希望となる薬剤が登場しました。炎症性疾患に多く使われるようになった生物学的製剤です。生物学的製剤は体の免疫機能に関わるサイトカインという物質の働きを弱める薬剤で、現在日本では7種類が認可になっています。リウマチをはじめ多くの自己免疫疾患に効果が期待され、同時に私たちRPにも効果があるのではないかと期待は高く、呼吸器に症状が起きた重篤な患者に使用することがあります。

なかでも我が国で開発されたアクテムラは、大阪大学の研究チームによって数人のRP患者に投与され、その結果患者の命は救われ、軟骨を攻撃するサイトカインに大きな効果があることが示されました。

このアクテムラはキャッスルマン病、関節リウマチ、若年性特発性関節炎に大きな効果を示し、この3疾患に保険適用がなされて大きな希望として、現在広く使われております。RPの治療の中心となるステロイドと免疫抑制剤は、医師の治療経験で使用の方法が大きく変わり、その結果予後も大きく変わってきます。またRPの希少性に比例して、治療できる医師も極めて希少です。治療薬も医療機関も選択の余地がない中で、多くの医師が効果があると示した生物学的製剤の登場は患者の希望となっています。

この表は2人の医師がアクテムラの適用拡大の可能性について評価したのですが、再発性多発性軟骨炎は2人の医師共に5点の評価をし、その他、高安病や今回私たちと共に指定難病認定となったスティル病も5点評価となって、多くの疾患に効果がると期待しています。

これは平成21年から23年の症例研究分野の報告を分析し、レミケードが効果があると評価された疾患の表ですが、私たちRPも効果の可能性大として報告されています。

私たちRP患者会のうち約1割が生物学的製剤を使用しております。ある患者は呼吸困難で気管切開後も炎症が治まらず、生物学的製剤での治療となりました。その後、症状が劇的に落ちつき、現在会社員として元気に働いております。

私の娘は、耳介をはじめ全身のあらゆる軟骨に炎症を起こし激痛が走りました。年齢も成長期にあり、ステロイドと免疫抑制剤を大量に投与することが危ぶまれ、呼吸器に症状が出始めたため、生物学的製剤の治療に切り替えました。約1年が経ちますが、現在、元気に学校に通いながらアルバイトもしています。

患者会内の生物的製剤を使用した方々は、全員が社会復帰もしくは通常の生活に戻ることができ、RPに生物学的製剤は効果が大きいと強く実感しています。しかしながら、これらの薬剤は私たちRPには保険適用ではなく、効果があると実感していながら10割負担と

なり、また高額療養費制度も利用できないため、使用を見送る患者が多くいます。

例えばアクテムラですが、80ミリグラムで約1万8000円。体重1キログラムにつき8ミリグラムの使用ですので、50キログラムの体重であれば9万円となります。レミケードにいたっては1本10万円で50キログラムの体重では3本使用しますので、30万円を超えてしまいます。まして最初の1か月は2回ほど点滴をしないとイケませんので、60万円が必要となります。

このような医療費を病気と副作用でQOLが著しく低下して就労が厳しいなかで捻出できるはずがなく、RPの対象療法に限界を感じているなかで生、物学的製剤を使えない事に大きな矛盾と疑問を感じています。

リウマチに使えてなぜRPに使えないのか、同じ炎症性疾患であるのに、なぜ同じ薬を使えないのか、一定の重症度に医療費助成が認められるのが指定難病です。しかし、重症化しないための薬剤は助成の対象とならないために、多くの患者が重症化していることに大きな矛盾を感じてなりません。

この指定難病の谷間の中で、いまこの薬を使わないと明日の命さえ危うい患者が多く存在します。命が平等であるならば、命を守るための環境も平等でないとイケないと強く訴えさせていただきます。

RP 研究班は昨年度と今年度、アクテムラの臨床研究の申請をしましたが残念ながら採択されず、その効果を証明する機会を逃してしまいました。新規の薬剤を創出するために必要な費用と年月に比べれば、その200分の1のコストで治験が可能であり、まして我が国で開発された薬剤の効果が示されれば、世界に存在する多くの希少疾患患者が我が国の薬剤で人生を取り戻すことができ、また、その経済効果は大きいのではないかと思います。

和久井：次の患者のために、私たち患者会の念願であった医療費助成と多くの医師への認知拡大は、指定難病に指定されたことで希望が見えてきました。次は生き続けて社会の一員として元気に活躍するために、必要な薬剤を患者の手に届けるよう、一日も早い臨床医研究の実施に向けて、私たちRP患者会はがんばってまいります。

長谷川：ご清聴ありがとうございました。