

要旨

平成 25 年 5 月 30 日

一般財団法人難病治療研究振興財団

成長戦略を視野に入れた難病対策事業（緊急提言）

一般財団法人難病治療研究振興財団は、過去 40 年の厚労省の難病改革事業の総括に加え、さる 4 月 19 日の安倍総理より提示された難病対策の成長戦略構想の「成長戦略スピーチ」に一致した難病対策事業についての提言をまとめる必要があると考え、厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会（以下「難病対策委員会」という）による「難病対策の改革について（提言）」の問題点を指摘すると同時に安倍総理が提唱した成長戦略を視野に入れた難病に対する治療薬の開発に主眼点をおいた新たな戦略的な難病対策事業を緊急提言するものである。

●「難病対策の改革について（提言）」の問題点

難病対策委員会の提言において、現在の給付水準がそのまま維持された場合には、特定疾患医療受給者証所持者数は現在の 5-6 倍の 400-500 万人となり、事業費も 6,000 億円規模に拡大される懸念が生じる。また提言には、「広く国民の理解を得られる公平かつ安定的な仕組みとなるよう、必要な財源を確保しつつ、法制化について検討する。」、「対象患者は、対象疾患に罹患している者のうち、症状の程度が重症度分類等で一定以上等であり、日常生活又は社会生活に支障がある者とする。」とあるが、具体的な「出口」には触れていない。

難病対策委員会の難病対策提言は計量的な分析に乏しく、治療研究という難病対策の根本的な部分には具体性がない。

●成長戦略の中核は難病治療薬開発戦略を再構築することである

難病治療薬開発の最も具体的で確率の高い方法は、他の疾患の治療薬として既に用いられている医薬品の難病治療への適応拡大であり、巨額の費用を投下しない戦略として医薬品の repositioning を試みることである。

要旨

当財団は、この戦略を Repositioning Translational Research (RTR) と提唱し、新しい難病対策戦略として提言する。これは、安倍総理の成長戦略スピーチにもあったように産官学が一体となって促進するために、日本型 NCATS として、Repositioning Translational Research Center (RTRC) を組織することにより難病対策事業の主軸となり得る。

RTR の候補となる既存医薬品は国内の製薬企業の中に数多く存在しており、RTR を進めることにより製薬企業の研究開発活動が著しく活性化されることは明らかである。また、治験が実施されることで、医薬品開発業務受託機関 (CRO)、治験施設支援機関 (SMO) をはじめとする治験関連産業も活性化する。

●今後の展望

現在、立法化を推進しようとしている難病対策事業は、基本的な部分は 40 年前の患者の医療費補助という枠組みから出ていない。難病対策の根幹は、難病の数や患者を増やすことではなく、新しい治療薬の導入により「難病」を「普通の病気」にすることと考える。さらに、将来的には発症への予防的介入を行うことにより、重症患者の減少や医療費の著しい削減も図ることができる。

難病対策事業は、治療研究を推進して難病からの卒業、すなわち、出口を見出すことこそが患者に対する最大の福音である。そのためには医療費助成といった福祉的事業にのみに目を奪われることなく、当財団が提唱する RTR を推進して難病治療薬をいち早く患者のもとに届けることを最重点課題とすべきである。

1972 年に難病対策がスタートしてから初めての大幅な改革に向かって英断をもって処すべきであると考ええる。