

成長戦略と難病対策事業

一般財団法人難病治療研究振興財団

代表理事 西岡久寿樹



本年4月19日、安倍総理が発表した成長戦略の第1弾に難病対策がとりあげられていました。折しも、本財団が検討していた新しい難病対策事業構想と合致していたことから、去る5月30日、「成長戦略を視野に入れた難病対策事業」を緊急提言として本財団より発表いたしました。

次ページの概略でも触れておりますように、この緊急提言は、実際の医療の現場で難病患者様の診療をしている臨床医が常に感じている「難病患者様の出口」を少ない予算で早期に難病患者様に提供することに主眼点を置いています。難病の治療は、特に今世紀に入ってから病態解明、及び治療薬の開発研究等の目覚ましい進歩があり、これまで不治の病とされてきた難病のなかには、完治までは行かなくても、寛解まで到達することができるようになってきている疾患も多く出てきました。

本財団は、真の難病対策事業は、難病を「普通の病気」にすること。つまり、難病患者様が「普通の生活」を営めるようにすることにあると考えております。すなわち、40年余り実施されている難病対策事業は、大幅な転換期を迎えるべきであると本財団は主張して参りました。

本財団は、この事を基本に考え検討し、これまで開発されてきた既存の治療薬が持っている効果に着目いたしました。各製薬会社の既存治療薬には、現在承認されていないものの難病疾患に効果がある薬剤(未承認の薬剤)や化合物、分子などがあることが分かりました。こういった分子や未承認の薬剤の適応を拡大することにより、多額の予算をかけることなく、また開発期間を短縮し、多くの難病患者様に早く治療薬を提供することが可能となる時代を迎えることができるのです。

これを推進するのが、今回提唱したRepositioning Translational Research(RTR)です。このRTRプロジェクトは、先日安倍総理が発表した成長戦略にあった「国家プロジェクトとして難病研究を一気に加速させていきたい」という目的に合致しており、今後の難病対策事業の核となると考えて、去る5月30日に緊急提言を発表いたしましたので、次頁にその概要をまとめてみました。

成長戦略を視野に入れた難病対策事業（緊急提言） 概略

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、去る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、現在の給付システム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、医療費給付を中心として事業費も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の新しい具体性がない。

●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

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していない。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、巨額の費用を必要としない戦略として医薬品のrepositioningを試みることである。

こういった希少難病の適応が可能と考えられる化合物や薬剤は、国内外の製薬企業の中に数多く存在しており、その適応拡大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。

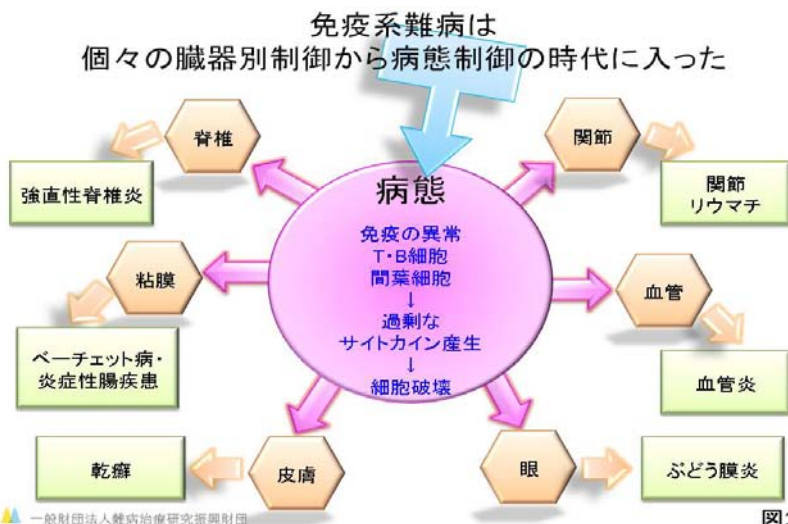


図1解説

これまでの疾患治療の概念は患っている部位をターゲットに模索的な治療が行われていたが、急速な医学研究の進歩により病態が解明されたことから、その病態を標的とした様々な治療薬が開発されてきている。

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、実現可能な日本型NIHの具体性を示しており、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。

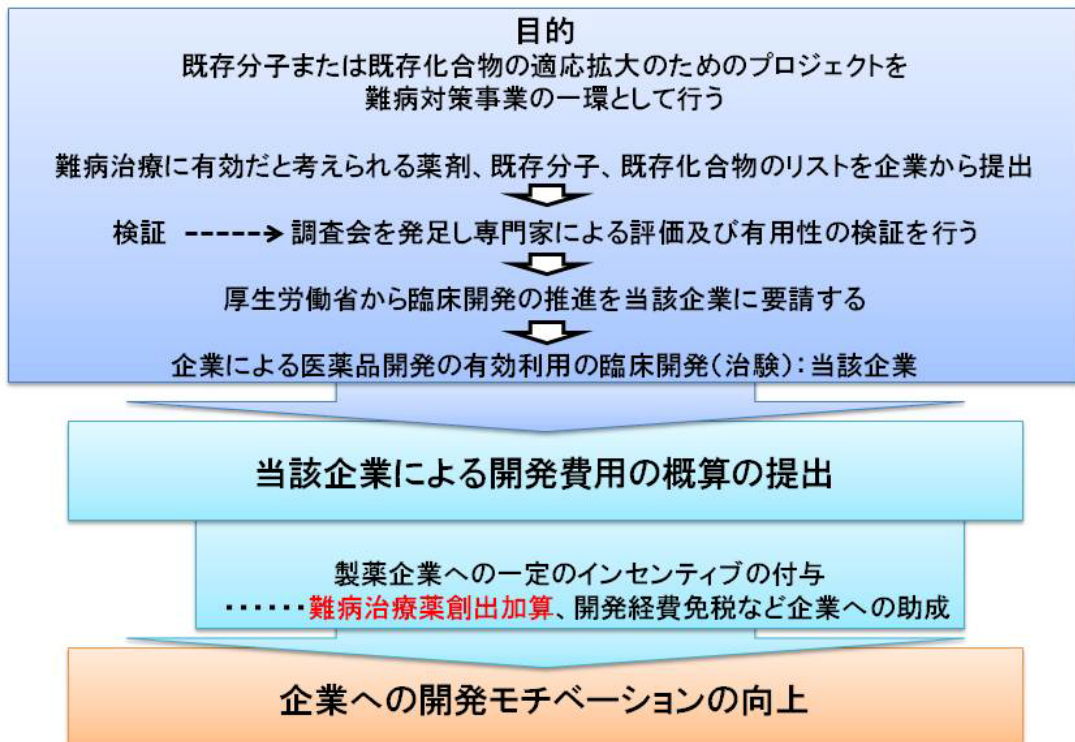
●今後の展望

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、治療薬の開発戦略ライン上の再配置戦略を導入することにより、難病患者が高いQOLを獲得すること、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等を強力に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。

今回の見直しは、1972年に難病対策がスタートしてから初めての法制化を視野に入れた改革であり、真の患者様の要望に応じた「改革」として、英断をもって処するべきであると考えている。

本財団が描いているRTRの目的とその具体化のためのフローは図2に示した通り、専門家からなる調査会で検証をし、厚生労働省が臨床開発を当該企業に要請するものである。

成長戦略を視野に入れた 難病対策事業におけるRTRの導入



新規就任役員ご紹介

本年5月より下記4名の方々が理事・特別顧問にご就任されました。



井形昭弘
特別顧問



黒川清
理事



永田良一
理事



横田俊平
理事

役員(敬称略 五十音順)

理事長(代表理事)	坂口 力	元・厚生労働大臣、国際医療福祉大学 特任教授
専務理事(代表理事)	西岡 久寿樹	東京医科大学医学総合研究所 所長
常務理事	和田 勝	国際医療福祉総合研究所 所長
特別顧問	井形 昭弘	名古屋学芸大学 学長
理事	伊藤 雅治	社団法人全国社会保険協会連合会 理事長
理事	岩尾 聰一郎	一般社団法人日本尊厳死協会 理事長
理事	臼井 正彦	東京医科大学 学長
理事	黒川 清	政策研究大学院大学 教授
理事	永田 良一	株式会社新日本科学 代表取締役社長
理事	横田 俊平	横浜市立大学医学部小児科 教授
理事	吉新 通康	公益社団法人地域医療振興協会 理事長
監事	小見山 満	慶応義塾大学大学院 教授 日本公認会計士協会 副会長

一般財団法人難病治療研究振興財団 事務局

〒100-0013 東京都千代田区霞が関1-4-1 日土地ビル 霞が関リウマチ治療研究所内

電話:03-3580-8532 FAX:03-3580-8533 E-mail:info@jmrf-nanbyou.org

URL: <http://www.jmrf-nanbyou.org/>