

平成23年10月17日

厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会  
部会長 永井 良三 殿

## ウルトラ・オーファンドラッグ開発支援 強化のお願い

平素より医薬品の安全、並びに病気に苦しみ、医薬品を待ちわびる患者・家族の為、必要な医薬品等の制度改正事項について真摯に調査審議に取り組んでいただいております事、心から敬意を表するとともに、深く御礼申し上げます。

遠位型（えんいがた）ミオパチーは、体幹部より遠い部分から徐々に筋力が低下していく「進行性」の筋疾患（国内では少なくとも三つの型が知られる四～五百人程の希少疾病）であり、上肢の筋力低下と共に歩行困難、そして日常生活全般に介助を要し、やがて寝たきりになる過酷な疾病であり、有効な治療薬、治療法のない難治性疾患です。

私たち患者会は、2008年4月の発足より多くの支援者と共に「特定疾患への指定、及び治療薬開発の推進」を求める署名活動を全国各地で行い、2010年度末には178万筆もの署名を集め、数々のイベントを行うなど精力的な活動を続けてきました。

また多くのメディアにも取り上げられ、遠位型ミオパチーの知名度向上と社会的な問題提起活動に多くの共鳴をいただいています。

近年、日本の研究者が世界に先駆けてDMRV治療における「シアル酸補充療法」の開発研究を進めていただき、マウス実験による有効性が全世界に向け証明されました。

次はヒトへの臨床応用の段階となり、大変明るい兆しが見えて来ましたが、ヒトへの応用には基礎研究に止まらず、非臨床試験、臨床試験、さらには医薬品の製造まで、高度な技術と多額の開発費用を必要とし、治療薬承認までには気の遠くなるような時間が必要です。

このような状況の中、2009年ようやく「儲からない薬」の開発に手を挙げたある製薬会社によるNEDOの助成事業を活用した取り組みが実行段階と成りました。

遂には2010年11月、東北大学病院のご協力により医師主導によるDMRV第I相治験によって安全性が証明され、今後の長期投与によって有効性の確認が必要です。

その後も治験シンポジウムや国会報告会、厚労・文科政務官訪問など、次のステップとなる本格的な患者服用による第II相治験実現に向けた問題提起・要望活動を行っておりますが、未だ公的資金の投入が得られず、まだまだ多くの課題を乗り越えねばならない状況に有ります。

今後も政府に対する署名・要望書の提出、公的助成獲得に向けた働きかけなど、患者会として出来る限りの要望活動を行い、全世界でDMRVと闘い、根治に向けた治療法を待ちわびる患者・家族たちの為、努力して参ります。

医薬品等制度改正検討部会におかれましては、ウルトラ・オーファンドラッグ開発支援への更なる検討強化をお願いすると共に、DMRV治療薬が希少疾病における創薬のモデルケースとなる為のお力添えを賜ります様、何卒よろしくお願い致します。

遠位型ミオパチー患者会  
代表 辻 美喜男