

平成 20 年 8 月 22 日

厚生労働大臣 舩添 要一 殿

日本骨髄腫患者の会
代表 堀之内みどり

多発性骨髄腫治療薬サリドマイドに関する要望書

第 1. 要望の趣旨

サリドマイドは多発性骨髄腫の治療薬として世界 17 ヶ国（参考資料 2）で承認されている。また、我が国でも未承認薬使用問題検討会で早期承認が望ましいとの結論を得、希少疾病用医薬品の指定も受けている。これら事実からサリドマイドの抗骨髄腫作用は明白であり、議論の余地はない。

しかし、我が国においては 2006 年 8 月に承認申請されているにも関わらず未だに承認に至らず、依然として緊急避難的手段であり安全管理上の問題も無いとは言えない個人輸入への依存を余儀無くされている。このような状態の継続は治療薬への平等なアクセスのみならず安全管理の観点からも許されるものではなく、直ちに改善される必要がある。

日本骨髄腫患者の会（以下患者の会）は 1999 年以降繰り返し早期承認および教育・安全管理システムの早期構築を要望してきた（参考資料 1）が、今般改めて次の 2 点の即刻実施を要望する。

1. サリドマイドの多発性骨髄腫治療薬としての承認
2. 「サリドマイドの教育と安全使用に関する管理システム」の早期完成

第2. 要望の詳細

1. サリドマイドの多発性骨髄腫治療薬としての承認

サリドマイドは既に17カ国で承認されている。(参考資料2)

本邦においては希少疾病治療薬指定を受けているにも関わらず、2006年8月の藤本製薬による承認申請から2年経過した今も承認されていない。

については、以下を要望する。

- ① 承認及び薬価収載等保険適用に必要な諸手続の即刻実施
- ② 上述諸背景にも関わらず早期承認されなかった理由の公表

2. 「サリドマイドの教育と安全使用に関する管理システム」の早期完成

1) サリドマイドの教育と安全使用に関する管理システムについて

藤本製薬は、胎児へのサリドマイド曝露防止を目的に、サリドマイドの安全管理のための方策を検討し、サリドマイド製剤安全管理基準書案(以下基準書案)を作成した。

2) 基準書案とは

基準書案は、承認申請後2年間かけ厚生労働省安全対策課の指導の下、藤本製薬により作成された。作成に際し、関係者による意見交換の場「自由討議」や、サリドマイド被害者団体いしずえ、安全対策課、藤本製薬、患者の会による「4者会議」など各々複数回に亘る議論がなされ内容に反映された。またその他にも度重なる個別のミーティングが行われた。

3) 基準書案合意までのプロセス

前項のとおり基準書案は、関係各所の意見を考慮し完成する方法がとられた。その過程においては、『患者不在』と感じられる議論もあり、失望を禁じえなかった。闘病中の患者を試運転の対象とするなど異例の要望もあり困惑しつつも患者の会は早期完成のため協力を惜しまなかった(参考資料3)。

そして、本年2月22日の4者会議において基準書案の内容は概ね合意された。その後、患者協力による試運転の総括のため5月21日に最終の4者会議が開かれ、基準書案の内容が合意された。

4) 「サリドマイドの教育と安全使用に関する管理システム」の早期完成

このようなプロセスを経て完成された基準書案を関係者および有識者によって公の場で再確認するのが、8月26日に開催される検討会の目的であると認識している。ここに至るまでの経緯を踏襲する検討会の運営を要望する。

第3. 総 括

多発性骨髄腫は生命に関わる疾患であり、サリドマイドによって治療機会を得られたなら延命できる患者が確かに存在する。殊に、承認審査が長引いている2年の間に治療機会を得られず失われた患者の命の重みを、承認権限を有する厚生労働大臣以下当局関係者及び基準書案の検討に携わった関係各位は自覚するべきである。(参考資料4、5)

安全管理システムなくしてサリドマイドが市販されないことは自明のことであり、本システム完成が患者の生命予後に大きく影響を与える。

本検討会等が徒に長引き、サリドマイドの保険適用・市販が更に遅延することによって失われる命があるならば、それは日本国憲法が保障する生命に対する権利を法律の定める手続きによらず奪われるに等しく、このような不条理を容認することはできない。承認権限を有する国は断じてこのような事態を招いてはならない。

以 上

- 参考資料 1 日本骨髄腫患者の会がこれまでに提出した要望書タイトル一覧
- 資料 2 多発性骨髄腫の治療薬としてサリドマイドを承認している国一覧
- 資料 3 日本骨髄腫患者の会による安全管理システム試運転の協力表明(2008年1月)
- 資料 4 サリドマイドに関する患者アンケート結果総括(2007年8月アンケート実施)
- 資料 5 新薬を待ち望む「患者と家族の声」からサリドマイド関連の抜粋
(2006年7月)

(資料1) 日本骨髄腫患者の会がこれまでに提出したサリドマイドに関する

要望書タイトル一覧

2007年12月21日 提出	「多発性骨髄腫治療薬のドラッグラグ解消を求める要望書」 ーサリドマイドの早期承認ー
2007年8月27日 提出	「日本での他国比遜色のない多発性骨髄腫治療の実現」 ーサリドマイドの早期承認ー
2007年1月24日 提出	「多発性骨髄腫治療薬サリドマイド、ボルテゾミブ(ベルケイド®)に関する要望」 ーサリドマイドの『早期承認』およびサリドマイドの『教育と安全使用に関する管理システム早期完成』に関する要望ー
2006年7月12日 提出	「多発性骨髄腫治療薬の早期承認に関する要望」 ーサリドマイドの早期承認ー
2006年1月31日 提出	「がん対策戦略の抜本的改革及び早期実施と多発性骨髄腫治療薬に関する未承認薬の早期承認、安全管理体制の確立及び適正な薬価の決定に関する要望」 ーサリドマイドの早期承認及び“多発性骨髄腫に対するサリドマイドの適正使用ガイドライン”に沿った安全管理体制の確立及び適正な薬価の決定ー
2004年6月18日 提出	「新しいがん治療薬の治験・承認環境のさらなる改革促進、特定療養費制度・未承認がん治療薬にかかる混合医療・保険適用対象薬の拡充」 ーサリドマイドの早期承認と米国「STEPS」のような流通管理システムの確立ー
2003年7月9日 提出	「多発性骨髄腫の治療薬であるサリドマイド及びベルケード(Velcade)の早期承認」 ー米国 STEPS のような流通管理システムの確立ー
2002年10月28日 提出	「多発性骨髄腫の治療薬であるサリドマイドの承認」 ー未承認のまま流通する危険性回避ー
1999年5月21日 提出	「多発性骨髄腫の治療に関する請願」 ーサリドマイドの早期認可ー

(資料2)

多発性骨髄腫の治療薬としてサリドマイドが承認されている国々

NO	国名	承認年月
1	オーストラリア	2003年10月
2	ニュージーランド	2003年12月
3	トルコ	2004年5月
4	イスラエル	2004年8月
5	韓国	2006年4月
6	アメリカ合衆国	2006年5月
7	タイ	2006年6月
8	南アフリカ	2007年10月
	欧州連合	2008年4月*

*欧州連合は中央承認後、国毎に承認されるシステムになっており、中央承認が2008年4月。

*2008年8月現在既に承認された国は欧州連合加盟国27カ国のうち、オーストリア、デンマーク、フランス、アイルランド、ノルウェー、ポルトガル、スペイン、スウェーデン、UK 計9カ国

サリドマイド安全管理システム 市販前テスト（試運転） に関する 日本骨髄腫患者の会の考え

2008年1月 24日
日本骨髄腫患者の会
代表 堀之内 みどり
副代表 上甲 恭子

表題の件、日本骨髄腫患者の会の考えを以下のとおりお知らせします。省内外関係各所への前
広な周知の上、試運転がスムーズに進行するよう格別の配慮をお願いいたします。

1. サリドマイド市販前における安全管理システム試運転への協力表明について 経緯

昨年12月27日に行われた自由討議の際、財団法人いしずえから、次の趣旨の発言があった。

- 試運転実施施設がわずか3施設であり、かつ、患者役には実際の患者が参画していない。こ
れで果たして、実証実験で問題なかった、と結論付けられるのか。
- 施行後、患者さん側の問題でなく、システム上の問題で、スムーズに処方されなければデメリッ
トを受けるのは患者さんである。骨髄腫の患者さんに試運転に参画願ひ、患者さんの声を反映
することで、より患者さんにとって使い易いシステムになり、実効性が高まることをいしずえは願
っている。

闘病中の患者の試運転参加への拘泥に対する疑問の声はあったものの、このご発言に応え、
骨髄腫患者の会は、会員および骨髄腫患者に、追加試運転に協力を求めることを約束した。

2. 試運転協力について 骨髄腫患者の会の考え

既に行われた3施設の試運転によって基幹に関わる問題がないことが明らかになったと認識して
よいと考える。

これは、メーカー主導の考えではなく、試運転を実施した3つの施設の多発性骨髄腫専門医の意
見でありかつ、試運転に参加した骨髄腫患者の会役員の意見である。診療現場が混乱に陥れば
最も害を受けるのは患者であり、責任を問われるのは現場の医師であることは明白で、万一、機能
不全に陥るような根源的な問題があれば、直ちに是正を申し出ているがそのようなことがなかった
のが事実である。

3. 追加試運転の目的について

追加試運転に協力する患者に無意味な負担を強いることを回避するべく、追加試運転の目的と位置づけを明確にしておくことが必須と考える。

骨髄腫患者の会が協力可能と考える目的と位置付けは、『システムのうち、患者に対する教育及び処方が、医療現場の混乱や患者への過度な負担を招くことがないことを、少人数の試験的運用(ドライラン)にて実地確認する』である。このための追加試運転であるということが約されるならば協力は惜しまない所存である。

4. 追加試運転への協力の範囲について

協力内容：通常診療時間外に行われる実地確認(ドライラン)(仮登録日、本登録初回処方日、2回目以降処方日など)、および終了後インタビュー

施設：異なる条件(例 都市部/郡部など)をもつ5箇所程度の施設

対象患者：極力各追加試運転実施施設で、A 男性患者 B 妊娠する可能性のない女性患者 C 妊娠する可能性のある女性患者の3パターン各1名の骨髄腫患者へ協力を要請する。
なお、AおよびBは、高齢層(65歳程度以上)の患者に特に依頼する。

そのほか：A、B、Cとも、事情が許すならば、家庭内薬剤管理(候補)者の協力も同時に依頼する

5. 試運転協力者への配慮

多発性骨髄腫という病を抱える患者に、特別に協力を依頼する異例の試みであることを念頭におき、試運転の実施においては、患者へ最大限の配慮を求める。具体的には次のとおりである。

- ① 試運転で得られた患者の個人情報、試運転後破棄すること
- ② 試運転の方法、その目的、万一途中で協力を断っても不利益がないことなどを文書で説明し、協力者の同意を得ること
- ③ 試運転に協力するための費用(交通費・宿泊費 など)は実費を全額支給すること

6. 試運転協力者募集の方法について

試運転協力者への依頼の具体的な方法は、当局、協力施設の医師、藤本製薬株式会社と協議する。

ひとつの方法として、この試運転について、『日本骨髄腫患者の会は、患者本位のシステム構築のために、積極的に協力している』旨の趣意書を作成し、上記5-②の文書と共に協力候補者に、実施施設の医師、あるいは当会から協力を要請することは可能である。

以上

(資料4)

日本骨髄腫患者の会
サリドマイド使用実態に関するアンケート調査(2007年8月実施)結果
総括

日本骨髄腫患者の会
2007年11月

序言

日本骨髄腫患者の会が1999年から厚生労働省に対して繰り返し多発性骨髄腫の治療薬として早期に承認されるよう陳情してきたサリドマイドは、2006年に製薬メーカーから承認申請がだされ、現在承認審査中である。

サリドマイドの輸入量から算出すると、年間数百～千人近い多発性骨髄腫患者が『個人輸入』という緊急避難的措置によりサリドマイド治療を受けている。

この状況が一日も早く改善され、早期に承認薬となるべく、日本骨髄腫患者の会では会員を対象に個人輸入によるサリドマイド使用に関するアンケート調査を行い、実態を明らかにした。

同時に、地方における治療実態に関する専門医の意見を求めた。

総括

次のとおり結果を総括する。

詳細は添付資料をご参照頂きたい。

1. 早期承認

コスト面、施設面等、現状未承認薬であるがゆえの問題が、アンケート調査によって明らかとなった。これらは早期承認によって改善が期待できる問題であり、早期承認が最優先事項であることがゆるぎない結果となった。

2. 承認条件について

現在治療中の患者が承認条件によって治療中断を余議なくされることがない配慮が必要であること、サリドマイド治療のために転院を余議なくされるのは不合理であることが浮き彫りとなった。

全群において、90%以上の回答者が転院に対する懸念を表明している。

主なものは以下の通り。

- サリドマイドで治癒はない。効果が約束されたものでもない。サリドマイド以外の治療も考える必要がある中、この薬の為だけに転院を強いられるのは理不尽。
- 骨髄腫は全身的な治療を要する。複数の診療科を受診しており、転院は非現実的。
- 骨病変や付添家族の負担から、長距離通院は不可能。

- 一から医師、病院との信頼関係を築き直す精神的負担は大きい。

所見

骨髄腫に造詣が深い専門医のもと、認定研修施設で治療に臨むのが本来のあるべき姿。

しかし、様々な理由によりそれが適わない患者は多く存在する。

多発性骨髄腫という疾患は経過が長く、日常生活の中に存在する。

他の抗がん治療と同様、専門医、または専門医との連携により、認定研修施設以外で治療が行われている現実もある。

そのような現実を則した、サリドマイド使用環境を整える努力をお願いする。

1. 数年に亘って当局に対し陳情を繰り返しているとおり、早期承認によって解決される問題が明らかとなり、偏に早期承認の必要性が改めて確認された。
2. 過去に薬害の経緯がある薬であるがために、その取り扱いには細心の注意が必要なことは誰もが認めるところである。教育・安全管理のシステムは必要不可欠であり、それが機能する施設での治療が可能となるよう、環境を整える努力をしていただきたい。
3. 既に欧米で承認薬として標準治療に組み込まれていることから、本邦で未承認ながら広く臨床応用されている。これは、他の薬剤にはない特殊な事情である。現実問題として、数百から1,000人近い骨髄腫患者がサリドマイドによって現在治療を行っている。その事実を鑑み、スムーズな(薬を必要とする患者に不利益が生じない)移行を含め、最大限の配慮をお願いしたい。

(資料5)

患者と家族の声

2006年6月に患者の会会員を対象に実施したサリドマイドとボルテゾミブ(2006年10月承認)の早期承認を求める『声』募集より一部抜粋(『声』全文は患者の会ホームページに掲載)。

患者の声 :

患者の痛み、苦しみ、不安、恐怖、悲しみ。この1%でも本当の気持ちがわかりますか？自分の子供、両親、もしくは自分が、救われる可能性が目の前にあっても、伸ばした手が届かない気持ち、わかりますか？私達にすれば、わずかな望みが、生きる最大の可能性になるのです。差し伸べた手を振り払わずに、どうか握り返して、可能性を与えてください。

患者の娘の声 :

母も父もまだ日本が豊かとは言えない時代の生まれです。二人とも医師すらいなかった貧乏村にそだち、子供の頃は薬といっても富山の行商の頓服という言葉しか知らない世代です。父の年金だけではとてもサリドマイドの薬代を支払うことはできません。もちろん、それは私が支払っていますが、この薬の値段を知ってしまった母は、毎日一錠のむようとされていたところ、自分では「飲んだよ」とは言っていました。隠して何日か間を空けて飲んでいました。節約するためです。サリドマイドは確実に母には効果があったのですが、下がっていたIgGも上がり始めました。その事実を知ったとき、本当に心の底で泣きました。母は私に負担をかけたくなかった一心だったことは、疑いありません。でも、サリドマイドの管理の問題はもちろん、母の具合はどうなってしまうんだろうと、とても悩んだり、悲しんだり、薬価を疎んじたりしました。母の世代、貧しい時代を知っている方は、こんなことをしてしまうかもしれません。どうか、はやくサリドマイドがちゃんとした薬として扱われ、必要な人には、どんな人にもすぐに処方できるようになることを、心から願っています。

患者とその夫の声 :

私達は、多くの方々のご協力によってやっとサリドマイドにたどり着きました。県境を二つも超えてです。その様な地域があるのです。そして極めてよく反応しました。もちろん薬の管理は完璧にやっております。求めてもいろいろな事情で使えない方がまだまだ大勢いると思います。どうか必要とする方に、等しく使える環境を与えてください。

遺族の声 :

自家移植後、再発し、サリドマイド治療のために紹介された病院が豊橋にありました。2週間ごとに患者の妻を自動車の助手席に乗せて、片道約2時間半の道程は疲れました。毎

月の費用も家計を圧迫しました。もっと近くで、そして保険適用で使えたら、とどんなに思ったかしれません。どうか一日も早くそのような環境を整えてください。

患者の息子の声 :

サリドマイド治療を病院側から進められました。高額な治療とは聞いていましたが、少しでも良くなればと思い治療を開始しました。定年退職したばかりの父には病気の心配よりもやはりお金の心配もあり、仕事帰り、顔を見に行くたびに「お金、大丈夫かな・・・」と、ばかりでした。同じ病室でサリドマイドの治療をしている方もいましたが同じ心配があり、「どこかで安く手に入るのかな」などの噂も出るほどでした。長く付き合っていかなければならない上、高額な治療費には父、家族とも悩みはたくさんです。サリドマイドの次はと言う大切な新薬ベルケードも同様で沢山の方の命を救うことができる可能性の高い薬だと思います。この未知な病気に苦しんでられる多くの方が使用出来るよう、ぜひ保険適用をお願いいたします。

患者の娘の声 :

「そう簡単に死なせないから。私が何とかする。最後はサリドマイドがあるから」自分の病名を知った父が、病室で私に分からないように涙をぬぐった時、私がかけた言葉です。再発後に自家移植、そして予想以上に早かった再再発。あちこち問い合わせサリドマイドが使えるかも・・・と期待していると、最後の最後で目の前から消えていきました。休みなく続く治療で父は体力が落ち、サリドマイドを求め私は精神的に疲れました。同じ日本に住んでいて、サリドマイドが使える人と、どう頑張っても使えない人がいるのはどうしてでしょうか？使える医療機関を選ばなかったのが悪いのでしょうか？使える医療機関がない地域に住んでいることが不運だったのでしょうか？・・・悔しいです。効く薬がない父の命は、承認までつながっているのでしょうか。こんな辛い気持ちで毎日を過ごす人達がいなくなるように、また、皆が同じ治療を公平に受ける事ができるように一刻も早く承認してください。「お父さん、もう少し頑張れる？私も頑張るから」

患者と家族の声 :

2000年6月の多発性骨髄腫診断から、抗がん剤治療を暫らく行ったのち、今は定期的なサリドマイド服用で小康状態を保ち続ける事ができています。過去に不幸な事故があった事は承知していますが、医師の適切な指導のもとに服用を続ける必要がある患者も多数存在する事も事実です。今後もこの薬に頼って、一日でも長く家族との時間を過したいと思っておりますので、これら新薬の早期承認を心から願っています。

患者の声 :

一日でも長く生き、働き、子供たちの成長を見守り、家族を支えるために働き、いずれは訪れるそれができなくなる日のために、少しでも多くのことを残したい。延命効果・QOLの維持ともに期待できるこれら新薬をまだ間に合ううちに承認してください。

患者の娘の声 :

私達は、残された時間に多くの事を望みません。ただ、穏やかに、静かに日々を暮らして行きたい。それだけです。しかし病気は、そのささやかな願いさえも、私達からはぎ取っていきます。残された時間を大切に生きていく上にも、新薬の力が大きいのです。どうか残りの時間が消えてしまわないうちに、新薬の承認をお願いします。

患者の声 :

3年前「サリドマイドをこの病院で使わせてください」と訴えながら同朋は亡くなりました。亡くなる前「あなたがサリドマイドを必要とする頃にはきっとすぐに使えるようになっていくわ」と言ってくれましたが3年経っても私の病院では使用許可は下りません。全国的にも医療水準は高い県です。最先端手術を受けに全国から患者が集まります。でもサリドマイドは使用できません。遠くの病院へ行くのではなく、いつもの病院であたりまえに治療を受けられるように医療格差を無くして、どこでも同じ治療が受けられるようにしていただきたいと願います。

患者の声 :

この薬は、完治無き今の、頼みの薬なのです。欧米や近隣諸国では、既に承認をされ人々は命を貰っています。日本の骨髄腫の患者にも承認をくださいますよう切に切にお願い申し上げます。私達は、素晴らしい日本に生まれたと思いたい。明日の命を信じて、もう少し日本の地を踏ませていただけないでしょうか。もう少し家族と友と語り合いをさせて頂けないでしょうか。それほど長く時間を残されていない私達のために、もっと時間をくださいませんか。良い医療を受けられますように格別のご配慮を賜ります事を心からお願い申し上げます。

患者の会ボランティアの声 :

患者の会で相談係を担当していて、「私が生きていたら薬代がかさんで仕方ない。早く私が逝った方が家族に迷惑がかからない」という趣旨の言葉を何度も聞きました。そのたび「そんなこと言わないで生きてください。この薬の骨髄腫への効果は明らかなのだから、もう少しで国が承認してくれますから。」と話してきました。経済的な理由で薬に全く届かない患者さんもいます。どうか、生きる道を閉ざさないでください。

患者の声 :

再発した時はベルケード、サリドマイドも含めて治療を考えていきたいと思っています。早く、一刻も早く承認して下さい。まだもう少し生きていきたいです。主人、子ども達、孫達とまだまだ別れたくはありません。