

厚生労働大臣 長妻 昭 殿

要 望 書

発作性夜間ヘモグロビン尿症を、高額療養費における高額長期疾病(特定疾病)の特例として新規認定し、本人及びその家族の療養生活にかかる精神的、経済的負担の軽減に特段の御高配をいただきたくお願い申し上げます。

記

発作性夜間ヘモグロビン尿症(以下「PNH」)は、造血幹細胞の PIG-A 遺伝子の後天的な突然変異により補体系の攻撃から細胞を保護する膜表面蛋白が欠損した血液細胞が産生され、特に、赤血球は、補体により容易に破壊されてしまうため、溶血が引き起こる疾患です。PNH の予後は良好とはいえず、5 年死亡率は約 35%と報告されています[1]。慢性溶血によって、慢性腎臓病、貧血、疲労、QOL(生活の質)の低下、血栓症、肺高血圧症など生命を脅かす症状を引き起こします[2]。また、男女を問わず発症年齢が様々であり、病気の進行による全身症状の悪化に伴い、身のまわりのことや、家事・子育てなども自力ではできなくなるなどの日常生活の著しい質の低下や、重症化し職を辞することを強いられるなど、患者とその家族は治療費、生活費の調達のために奔走しなければならないケースがあり、その精神的、経済的負担は多大なものとなります。

2007 年 3 月米国にて、2007 年 6 月欧州にて優先審査品目の指定のもと PNH 治療薬としてエクリズマブが承認されました。本邦では 2007 年 7 月に、本会より厚生労働大臣 柳澤伯夫氏宛に「PNH 治療薬(エクリズマブ)の早期保険適用要望書」を提出し、今年 4 月厚生労働省の承認をいただきました。先生方および関係者のご尽力より、今年 6 月には晴れて PNH の治療薬「ソリリス」が発売されました[3]。ソリリスの効果については、平成 20 年度厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究班の報告で「Eculizumab(ソリリス)は、安全かつ忍容性も良好で、PNH の溶血に対して極めて有効な薬剤であると言える。Eculizumab(ソリリス)は PNH の溶血を抑制するだけでなく、血栓症や腹痛、嚥下困難、勃起不全等の平滑筋緊張症状も緩和されることが期待されるので、本邦における早期の導入は患者さんに多くの福音をもたらすものと思われる。」と結論づけられています[4]。

しかしながら、ソリリスの費用については非常に高額で、薬価ベースで年間 4000 万以上の薬剤費がかかり、現行の高額療養費制度の下では、年間、70 歳未満で 327,600 円～1,289,501 円、70 歳以上では 96,000 円～528,000 円の薬剤費が生じます[5]。「血液難病 年 4,500 万円 首都圏で家 1 軒が買えるほどの高額な承認薬」と報道されているように[6]、患者・家族の経済的負担が非常に重く、この薬を使うことができずに命を落とす患者がいます。費用が著しく高額である上、さらに、著しく長期にわたって投与を継続しなければならないため[7]、経済的負担から治療を拒否したり、本当は使用したいと思いつつも、感染症のリスクを否定できない定期的な赤血球輸血による支持療法や、長期間にわたる大量のステロイド治療など、より安くて副作用の大きい薬の使用で、何とかその場をやり過ごす選択を余儀なくされることが考えられています。しかし、輸血やステロイドは一時的な対症療法にすぎず、PNH の病因である血管内容血をほとんど抑制しない、あるいは治療効果のエビデンスが無いが使用されているというのが現状です。

また、PNH は国の難治性疾患克服研究事業には該当しますが、特定疾患治療研究事業の対象疾患には含まれておりません。PNH 同様に高額な薬剤費がかかる稀少難病疾患の患者負担を比較した場合、ムコ多糖症やファブリー病などは特定疾患治療研究事業の対象疾患に認定され、結果的に医療費負担の軽減を受けているのに対し、PNH はその認定がされていません[8]。

平成 11 年度の「特定疾患治療研究事業未対象疾患の疫学像を把握するための調査研究班(主任研究者大野良之)」によると、全国で 430 名の PNH 患者がいると推定されています[9]。患者数が少ないがゆえに、疾患への認知度も低く、血液内科の専門医でさえ一度も治療に携わったことがないことがあります。また、慢性溶血によって、慢性腎臓病、貧血、疲労、QOL(生活の質)の低下、血栓症、肺高血圧症など様々な症状を呈するため、専門医のいない医療機関では PNH の診断がつけにくく、「診断までに 10 年、20 年を要した」という患者の話もお聞きます。そしてようやく診断がおり、病名が判明し、治療が始まっても、これまでこの病気で働けず収入が少ない患者にとって、このような高額な医療費を一生支払っていくことは困難な状況であり、仮に経済的理由で投薬を中止した場合には、ソリリスの添付文書の使用上の注意として記載されている【本剤を中止した場合に重篤な血管内溶血が認められるおそれがある】という最悪の事態を引き起こす事となります[10]。

このように、PNH 患者は、厚生労働省の承認をいただいた唯一の PNH 治療薬「ソリリス」が使えるようになったにも関わらず、その高額な治療費を支払うことができず、また支払えたとしても生涯にわたり使用しなければいけないため、患者が延命にどれだけのお金をかけられるかという深刻な状況に直面しています。PNH は遺伝性が無く、後天的に発症し、超稀少疾患であるため、患者の切実な現状が世の中に伝わりにくい疾患です。人工腎臓を実施する慢性腎不全、血漿分画製剤を投与している先天性血液凝固第Ⅷ因子障害及び先天性血液凝固第Ⅸ因子障害、抗ウイルス剤を投与している後天性免疫不全症候群の患者と同様に、国の特例により救っていただくほかに道がありません[11]。このような状況をご理解いただき、発作性夜間ヘモグロビン尿症を高額長期疾病(特定疾病)に新規認定し、高額療養費の特例の形で本人及びその家族の療養生活にかかる精神的、経済的負担の軽減に特段の御高配をいただきたくお願い申し上げます。

以上

2010 年 9 月 13 日

再生つばさの会

(再生不良性貧血・MDS・PNH 患者家族の会)

会長 市川賢司



〒259-1133

神奈川県伊勢原市東大竹 650-1-101

Tel: 090-9230-6756

添付資料（事務局注：[5]を除き省略）

[1] Hillmen P, Lewis SM, Bessler M, Luzzatto L, Dacie JV. Natural History of Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria THE NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE 1995; 333: 1253-1258.

[2] Hillmen P, Young NS, Schubert J, et al. The Complement Inhibitor Eculizumab in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. THE NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE 2006; 355: 1233-1243.

[3] 再生不良性貧血・MDS・PNHの患者・家族の会「再生つばさの会」パンフレット

[4] 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患克服研究事業 特発性造血障害に関する調査研究
平成 20 年度 総括・分担研究報告書

[5] 高額療養費制度を使った場合のソリスの自己負担限度額比較表

[6] 2010 年 8 月 29 日(日)毎日新聞「命を削る」上

[7] 審査報告書 平成 22 年 2 月 18 日独立行政法人医薬品医療機器総合機構

[8] 稀少疾患における医療費の比較(70 歳未満・一般)

[9] 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患克服研究事業 特定疾患治療研究事業未対象疾患の疫学像を把握するための調査研究班 平成 11 年度研究業績集

[10] ソリス点滴静注 300mg 添付文書

[11] 自己負担の軽減について要望がある疾病の例、PNHの治療について

[補] PNH患者の自己負担額(海外)

高額療養費制度を使った場合の自己負担限度額

70歳未満

	総医療費/月	3割負担額		自己負担額限度額/月		年間 総自己負担額
		月額	年額	3回目まで	4回目以降	
上位所得者(月額報酬53万以上)	3,463,374	1,039,012	12,468,146	179,634	83,400	1,289,501
一般	3,463,374	1,039,012	12,468,146	112,064	44,400	735,791
低所得者(住民税非課税者)	3,463,374	1,039,012	12,468,146	35,400	24,600	327,600

70歳以上

	総医療費/月	3割負担額		自己負担額限度額/月		年間 総自己負担額
		月額	年額	3回目まで	4回目以降	
現役並み所得者(月額報酬が28万円以上であり、世帯年収が520万以上、単身年収が383万円以上)	3,463,374	1,039,012	12,468,146	44,000	44,000	528,000
一般	3,463,374	1,039,012	12,468,146	12,000	12,000	144,000
低所得者(住民税非課税・年金収入80万円以下など)	3,463,374	1,039,012	12,468,146	8,000	8,000	96,000