

# 希少・難治性疾患領域における 今後の国際連携のありかたについて(提案)

2011年11月14日

厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会

ICORD2012 事務局

NPO法人 知的財産研究推進機構(PRIP Tokyo)

東京大学 先端科学技術研究センター

西村 由希子



# ICORDとは

*International Conference of Orphan Drugs and Rare Diseases*  
(国際希少・難治性疾患創薬会議)

- 目的: 世界と地域の希少・難治性疾患の患者とその家族の健康状況を、よりよい知識・研究・治療・情報・教育・認知の提供により改善すること
- 参加者属性: 基礎系研究者・臨床系研究者・医者・治験関係者・患者・患者関係者・官公庁関係者 等

→一つの疾患・一つの属性等ではないことが大きな特徴

→異なる背景を持つ人たちの様々な声(情報)を聴くことができる

- 1 本領域における総合的かつ国際的な情報共有と議論を同時に実施することが可能
- 2 国際連携の提案・議論・共通理解を経ての円滑な実装・整備

# ICORD2012

～ C<sup>3</sup> : Connection + Collaboration = Creation ～

- アジア初開催 (ICORD2013は中国開催)
- 会期: 平成24年(2012年)2月4日(土)・5日(日)・6日(月)  
(3日(金)はプレミーティング)
- 会場: 東京大学 駒場リサーチキャンパス コンベンション・ホール  
(東京都目黒区駒場4-6-1)
  
- 予定されているセッション:  
研究・診断・治療・オーファンドラッグ・希少難治性疾患関連医療政策・倫理・社会認知・国際連携・患者会/患者ニーズ 等
- 国内からは、患者会・大学・企業・行政機関(厚労省・PMDA・保健医療科学院)の口頭発表を予定

ICORD2012開催実行委員長: 金澤一郎

ICORD2012開催事務局長: 西村由希子

# 今後の国際連携のありかたについて(提案)

## 1: 研究推進に向けた検討会への積極的参加

- 今日の限られた科学予算の中で、できるだけ患者側のニーズを反映した研究への支援が求められる

*Hair Cut*のようにすべてを平等に削るほど、愚かな方法はない  
(Francis S. Collins, NIH)

→技術的ブレイクスルーが期待される研究や、患者の疾患情報・ニーズを的確に拾い上げるシステム構築への重点投資が重要

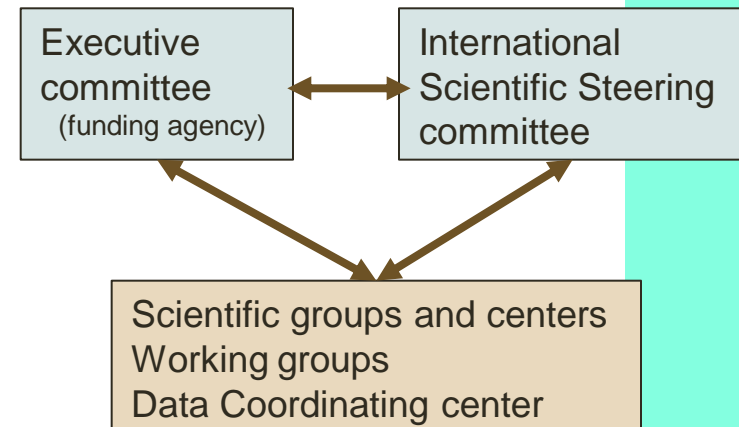
→ターゲット研究分野推進のため、欧米にて検討会が発足している  
(Directorレベル、実務者レベル)

- 日米欧の公的機関が助成している希少疾患研究領域は重複している  
→日本にとっても協調する価値は高い

検討会に参加し、海外の情報収集に努め、各国との協調を図ると同時に日本発の提案を検討会にて行うことは重要

# 事例) International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC)

- 欧米研究機関・資金提供機関らが中心となって設立した、実務者レベルの研究推進委員会
- 希少疾患分野研究推進のため、資源をより効果的に配分し、研究者連携を深めることが目的
- 2020年までの達成目標
  - 第一目標
    - 希少疾患に対する200の新規治療法の確立: 基礎研究支援・患者疾患情報集約・治験推進・規制枠組みの改定
    - すべての希少疾患に対する診断テストの確立
  - 第二目標
    - より良い疾病分類および一般体系化
    - 患者情報ネットワークの確立
    - 希少疾患研究・助成のベンチマーク設定
    - 患者支援
- 現在日本にも参加依頼がなされている(保健医療科学院が対応)
- しかし、議論内容が関係部署に周知され、十分な検討がなされることは少ない



効果的な研究推進のため、国内一部署ではなく、  
複数部署による情報共有・検討が必要

# 今後の国際連携のありかたについて(提案)

## 2: Rare Disease Communityの形成

- 個々の希少疾患用医薬品市場は小規模だが、全体市場はグローバル規模であるため、情報へのアクセスは世界共通であるべき
  - 今後は、**従来の医師—患者間コミュニケーションにとどまらない、希少疾患に関わる国内外関係者(患者・医師・大学・企業・行政・NPOら)が密接に関わるコミュニティーの形成が重要**
  - それぞれの立場(ニーズ・目的)を理解することで、**より効率的・効果的に研究推進・システム構築が進み、社会理解が促進される**
- 例) データベースシステム設計・運用を主軸としたコミュニティー形成(Orphanet Japanプロジェクト)
  - 希少疾患に関する正しい情報や知識を集積し、ネットを通じて広く周知できるようインフラ整備を行う。研究機関との連携も考慮し、患者・医師だけでなく、上流(基礎研究)から下流(製薬販売)までの情報をうまく網羅
    - 製薬協等企業側協力の取り付けが重要
- 国が関与することで信頼性が見込める
  - コミュニティーの有効活用のためのハブとなる機関(部署)もしくは人材(異分野専門家含)の必要性

# 今後の国際連携のありかたについて(提案)

## 3: 患者会国際連携

- 一人の患者、一つの組織、一人の立場では、Rare Diseaseを取り巻く環境を克服することは困難

昨今の経済状況はかなり深刻であり、今後一層険しい山がそびえたっている  
(Peter Saltonstall, president of NORD)

→ 今後は個々の患者会活動にとどまらず、連携・協調することによるさらなる社会発信を目指すことが重要

- ここ数年で、各国患者会(協議会レベル)が積極的に連携開始
- 日本も、海外連携事例に学び、国際連携に向けたアクションを早急にとる必要がある

→ 今後対等に議論することで、日本の患者の立場をアピールしていくことにもつながる

→ また、日本の患者会へのアクセスが容易ではない海外企業・研究者らに目を向けてもらう機会の増えることも期待される

# 世界の著名な患者会の連携状況

(個別疾病ではなく協議会レベル)

## EURORDIS (EU)

2009年10月: EURORDIS-NORD (戦略的パートナーシップ契約締結)  
以降、Rare Disease Dayや企業への提言等で連携実施  
2011年10月: 共催シンポジウム初開催

2010年4月: TFRD-EURORDIS  
(意見交換開始)

TFRD (台湾)

NORD/GA  
(アメリカ)

2010年3月: GEISER-NORD  
(パートナーシップ契約締結)

GEISER  
(南米)

NZORD (NZ)

Copyright (C) T-worldatlas All Rights Reserved



# 日本患者会との連携を多くの海外患者会が期待

- しかし・・・(海外からの視点)
  - ✓ 知り合う機会がない
  - ✓ 日本がこういった連携に興味があるかわからない
  - ✓ 定期的に意見交換をおこなう機会がない
  - ✓ 日本語がわからない(ので、情報共有ができない)
  - ✓ 日本の状況がわからない
  - ✓ 薬事制度などのルールが理解できない

# 日本患者会との連携を多くの海外患者会が期待

- そこで・・・(海外からの視点)(日本側に求められるアクション)
  - ✓ 知り合う機会がない・日本がこういった連携に興味があるかわからない
    - まずは機会をつくる・育てる・続ける。
    - そのうえで、日本にとっての連携の必要性・重要性を伝える
  - ✓ 定期的に意見交換をおこなう機会がない
    - 直接対話だけでなく、インターネットを利活用
  - ✓ 日本語がわからない(ので、情報共有ができない)
    - 英語でのコミュニケーション・情報提供を検討
  - ✓ 日本の状況がわからない
  - ✓ 薬事制度などのルールが理解できない
    - 患者会だけで回答するのではなく、説明ができる外部人材を積極的に利活用したうえで情報提供を実施  
(患者だけでなく、政府機関や企業・大学との連携・協調が重要)

Rare Disease Community  
からのサポート

患者会側からのフィードバック



# 今後の国際連携のありかたについて(提案)

## 3: 患者会国際連携(患者会運営知識の共有)

- 患者組織の在り方について、予算の使い方や会計方式、広報、fund raisingについて学ぶ機会を設ける
- 関連する国際学会・研修への参加を支援
  - 2010年度難病フォーラムにて各国患者会の予算案を紹介した際、かなりの患者会が興味を示す
  - 各国患者会組織の詳細をヒアリング調査するとともに、定期的なフィードバックを行うことはとても効果的
  - アジアネットワークについては、遺伝性疾患分野でまずとりまとめをしたい、等の考えがすでにあり、日本も協力の問い合わせがきている。一方で、海外対応が可能な部署がない・対応できる常駐者がいない・患者以外の識者がいない、というのが日本の現状。
  - 海外患者会はOD開発まで見据えている場合が多いため、患者会活動の視野を広げるという意味でも重要(fund raisingは社会認知度向上のためだけでなく、創薬開発にも大切という視点を学ぶ)
  - 3年程度の公的支援が必要。その後は徐々に自立運営にシフト(自立のための支援制度であることを患者側も理解する必要がある)
  - キーワード: 自立的(協調的)運営・情報発信・国際連携・協調提言

# 今後の国際連携のありかたについて(提案)

## 4: 関係機関連携企画への積極的参画

- Rare Disease Community全体として、国内外で実施されている各種企画への参画

例)

- 海外患者協議会Annual meeting(多くの患者団体・行政・企業が参加)
- 患者会共催企画(2011年度DIA Meeting(欧米共催)等)
- Rare Disease Day(希少・難治性疾患分野の認知度向上を 目指し、毎年2月末に開催。日本では2010年から実施。2011年は56カ国が参加)
- ICORD(世界各国からステイクホルダーが参加し、幅広い議論を展開し、提言をおこなう)
  - 海外に出向かずとも参画できる企画の増加→機会を積極的に利活用
  - 患者会患者会ごとの活動に出すのではなく、患者会が集まるような企画ごとに予算を与えるという視点
  - 患者だけではなく、ほかのステイクホルダーも参加するためのサポート・仕掛けを検討

# ICORDを日本で開催する意義

## 【世界共通の課題】

- 希少・難治性疾患の領域は、患者数が少数であり地理的に分散  
→研究や創薬、社会などから取り残される傾向があり、結果として専門知識が不足/分散化
  - しかし近年では、
    - 希少・難治性疾患全ての患者数の総和を考えると全世界人口の数%にもなると言われ、決して無視できない存在であると考えられはじめた
    - これら希少・難治性疾患が、患者数の多いいわゆる“コモンディーズ”と病態生理を共有しており、コモンディーズそのものが、病因に基づく新たな疾患概念の提唱により、より患者の少ないセグメント化された疾患へと細分化されている
    - →これまで以上に、世界共通の医療関連問題としてとらえる必要性が生じる
- 各国状況や研究・政策などの情報共有・協働がより強く望まれる状況
- ICORD2012は、世界中から多くの患者・関係者が参加するため、**領域を超えた国際連携・交流を促進させるまたとないチャンス**
  - 日本からの参加者を増やすことも、海外へのアピールの一つにつながる

# まとめに代えて

- 希少・難治性疾患分野における各種国際連携は、日本ではほとんどが個人・個別ベースにとどまっている状況
- 限られた資源・人材を最大限に活用し、希少疾患分野の研究開発推進・発展のためには、さらなる大規模連携が大切
- 先に述べた検討会や各種会議にて、日本の患者会もしくは行政からの参加・意見は強く求められている
  - 本分野の連携は海外でもはじまったばかりであり、開始時期としては適切
  - 連携担当人材の登用/育成・長期関与が重要
  - 今後は、企業も巻き込むための仕掛けを海外事例から学ぶことも重要（海外では企業人材が積極的参加することが多い）
  - これらの海外連携を定着させるまでの人的・金銭的サポートが重要（目的ベースの助成）。また、コミュニティー全体で海外からの知見を利活用するための仕組みづくりも大切

・ヒト・カネ・チエ（人材・資金・国内に向けたフィードバックのありかたの検討）、そして継続なくして、本分野の国際連携はなし、

# ご清聴ありがとうございました

西村由希子

[yucko@ip.rcast.u-tokyo.ac.jp](mailto:yucko@ip.rcast.u-tokyo.ac.jp)

ICORD2012 Website

[http://www.prip-tokyo.jp/icord2011\\_jp/](http://www.prip-tokyo.jp/icord2011_jp/)

\*多数の皆様のご参加をお待ちしております。

Acknowledgement

池田和由、寺田央 (PRIP Tokyo) 児玉知子 (保健医療科学院)