

**第3回 医療分野の研究開発に関する
専門調査会発表**

難病克服プロジェクト

平成25年11月13日

葛原 茂樹

鈴鹿医療科学大学 保健衛生学部

難病対策の背景と歴史

- 昭和39年以降 スモン (Subacute Myelo-Optico-Neuropathy) の集団発生が社会問題となる
 - ・当時は原因が不明で治療法未確立
 - ・疾患に対する社会的不安対策の原因解明と、スモン患者の救済
- 昭和44年 スモン調査研究協議会による大型研究班によるプロジェクト方式の調査研究開始
 - 臨床—基礎—疫学の専門家を網羅
- 昭和45年 研究班報告会で、スモンと整腸剤キノホルムとの関係について示唆、厚生省(当時)はキノホルム剤の販売等を中止。以後、新患者発生は激減し、終焉。
- 昭和46年 スモン調査研究協議会がスモン入院患者に対して月額1万円(当時)を治療研究費の枠より支出 ⇒医療費公費負担の始まり
- 昭和47年 スモン調査研究協議会の総括的見解の発表
 - ・「キノホルム剤の服用による神経障害」
 - ・成功を収めたスモン研究体制をひな型に、他の難病研究でも成果をあげる
 - ・国会において難病に関する集中審議
- 昭和47年 厚生省「難病対策要綱」
 - 難病プロジェクトチームの設置。その検討結果として総合的な難病対策の指針提示

日・米・欧における難病及び希少性疾患の定義と規定 0.05-0.1%

	日本	米国	欧州
定義	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性^{※1} (患者数が概ね5万人未満^{※2}) ・原因不明 ・効果的な治療法が未確立 ・生活面への長期にわたる支障（長期療養を必要とする） 	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性^{※1} (患者数が20万人未満) ・有効な治療法が未確立 	<ul style="list-style-type: none"> ・希少性^{※1} (患者数が1万人に5人以下) ・有効な治療法が未確立 ・生活に重大な困難を及ぼす、非常に重症な状態
関連法規	難病対策要綱（1972） 薬事法等の改正 ^{※3} （1993）	希少疾病医薬品法 Orphan Drug Act （1983）	欧州希少医薬品規制 Orphan Medicinal Product Regulation （1999）

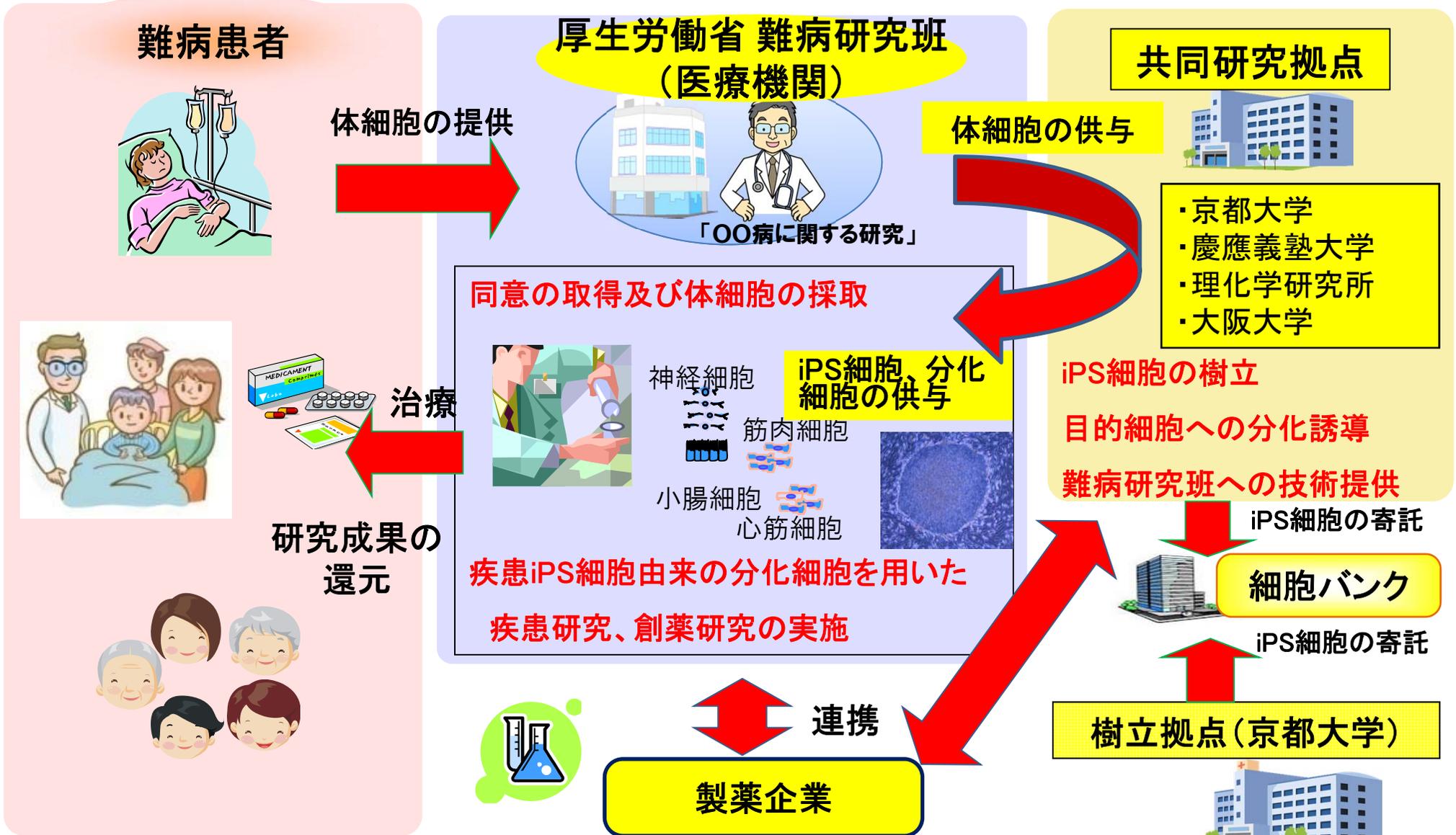
注1) 日本の人口にあてはめると：**米国約8.2万人未満、欧州6.4万人以下**

注2) 薬事法第77条の2において希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器と指定する要件として、「対象者の上限を5万人」とされている。

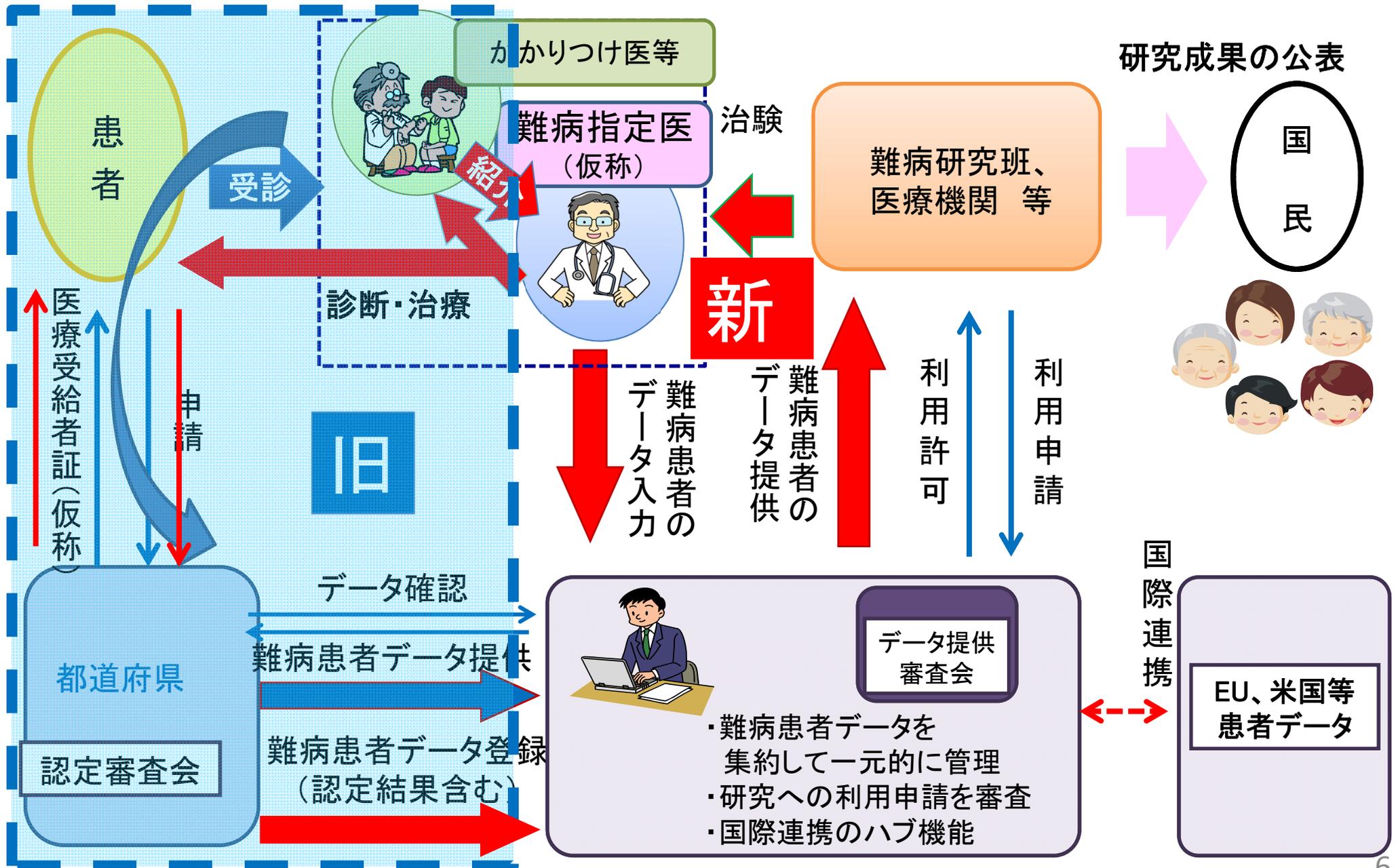
注3) 希少疾病用医薬品の研究開発促進を目的とした薬事法及び医薬品副作用被害救済・研究振興基金法の改正

疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究・創薬研究

厚生労働省難病研究班、文科省共同研究拠点、製薬企業で共同研究グループを形成



難病患者データの精度の向上と有効活用(新たな仕組みの全体イメージ)



難病の新規治療薬・医療器機開発に向けた取り組みと難病克服プロジェクト

新たな相談領域（薬事戦略相談）平成23年から実施



治験相談（現在実施中）



基礎研究

シーズ探索
開発初期段階

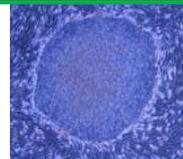
非臨床試験／治験実施に向けた
シーズの改善・改良・評価法確立

治験

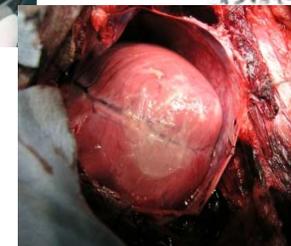
承認申請

難病克服プロジェクトにより支援

疾患特異的iPS細胞を活用した難病研究

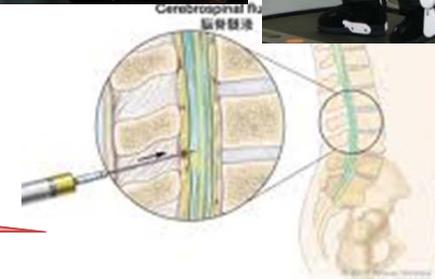


小児拡張型心筋症に対する骨格筋芽細胞シートを用いた再生治療



ALSに対するHGF髄腔内投与
神経・筋難病疾患に対する下肢装着型補助ロボット（HAL-HN01）

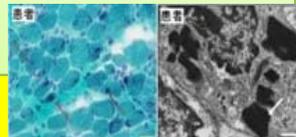
リンパ脈管筋腫症に対するシロリムス内服



連携

横断研究分野（仮称）

希少・難治性疾患（難病）に対する
遺伝子診断



難病患者データベース

難病について全国規模の患者データベースを構築し
治療法の開発・実用化を目指す研究を推進