

議員提出議案第29号

患者数が特に少ない希少疾病用医薬品（ウルトラ・オーファンドラッグ）の開発促進・支援のための法整備等を求める意見書

難病といわれる疾病には有効な治療薬・治療法がなく、患者数が特に少ない希少疾病用医薬品（ウルトラ・オーファンドラッグ＝患者数1,000人未満）は医療上の必要性が高く、他の医薬品と同様、その開発を円滑に進めることが重要です。

そのため、希少疾病関係患者団体はこれまでに「特定疾患への指定、及び治療薬開発の推進」を求める署名活動や「ウルトラ・オーファンドラッグ開発支援と我が国の創薬・難病対策に関する要望」を提出するなど、政府・関係省庁への積極的な要請活動を行ってきました。その結果、厚生科学審議会医薬品等制度改正検討部会など政府・関係省庁においても前向きに検討が進められましたが、未だ創薬実現に向けた確実な前進には至っていません。

例えば、近年、独立行政法人国立精神・神経医療研究センターは、世界に先駆けて縁取り空胞を伴う遠位型ミオパチー（DMRV）治療における「シアル酸補充療法」の開発研究を進め、患者団体の要請に応えた製薬企業が独立行政法人新エネルギー・産業技術総合開発機構の助成事業を活用して医薬品の開発に取り組み、東北大学病院において医師主導によるDMRV治療薬の第Ⅰ相試験を終了しました。その後も独立行政法人科学技術振興機構の研究成果展開事業（A－STEP）の助成を受けて開発が図られているものの、今後、第Ⅱ・第Ⅲ相試験を行うなど更なる開発研究を進めなければならないだけでなく、医薬品として承認されるまでには、費用面や技術面、時間面などで解決しなければならない多くの課題が残っています。

難病と闘っている希少疾病患者は、日々進行する病状を抱え、もはや一刻の猶予も待てない深刻な状況であり、計り知れない不安を抱きながら一日も早い希少疾病の治療法の確立を待ち望んでいます。

よって、国においては、以下の事項について早急に対応されるよう強く求めます。

- 1 患者数が特に少ない希少疾病用医薬品（ウルトラ・オーファンドラッグ）の開発を促進・支援するための法整備を行うこと。
- 2 遠位型ミオパチーをはじめとする希少疾病治療に関する研究開発事業の更なる充実強化を図ること。

3 患者の精神的・経済的な負担感を緩和するために、希少疾病用医薬品の迅速な承認が行われるよう基本的な制度の見直しを含め必要な措置を講じること。

以上、地方自治法第99条の規定により意見書を提出します。

平成24年12月21日提出

提出者	さいたま市議会議員	萩原章弘
	同	神崎功
	同	高橋勝頼
	同	細沼武彦
	同	山崎章
賛成者	さいたま市議会議員	新藤信夫
	同	高柳俊哉
	同	小森谷優
	同	土井裕之
	同	加川義光