

選択と集中から多様な病気へ患者と市民が求めること

筋強直性ジストロフィー(DM1)とは?

- 筋ジストロフィー1病型
- 心臓 (心臓)
- 筋肉だけの病気ではない
- 理解力ない
- 症状に気づかない...
- 医師から言われる
- 患者・家族
- 意欲なし
- 疲れやすい
- 知らない、気づかない患者と家族

DM1薬開発状況 選択と集中の対象外??

24
日本での開発

6
日本企業

3

選択と集中の対象外?

2017 DM1に向けた開発品が中断
↓
2019 アンチセンス細胞に送り届ける研究が発表
たった2年で...? しかも2社!!

その研究は複数の
難病を治せる
本当に患者数は少ないと云う?

患者と家族の素朴な疑問

知っていくと、考えていくと自分だけじゃなく

みんなのために

みんなが良き社会を目指す!

創り薬エコシステムと、患者・市民

妹がDM当事者です。



特定非営利活動法人筋強直性ジストロフィー患者会、妹尾みどり先生

ドラッグロスの解消と患者主体に考える薬剤の運用

・ドラベ症候群とは

乳児重症シオクロニー症候群

1人 発生率:希 難治
40,000

てんかん重積発作
(脳症・後遺症・死亡リスク)

2015年 ドラベ症候群

患者家族会発足
ミダゾラム口腔液 早期承認
要望をきっかけに!

アンケート

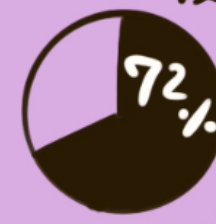
てんかん重積状態に要請した回数



レスキュー薬をのめば
症状が安定しても
ロザはないといけな

急性脳症

後遺症
有



実現
したいこと

てんかん発作減

・重積発作の



・成長・発達

効果のある



スムーズに
使えることが
Point

Drug lossの解消と ・治験

Protocolは患者の実態に合っているか?
日本の生活習慣と照らし合わせるか?
患者の移動・拘束時間 負担にならない?

・普及



適切な運用のために

厚生省へ

医療上の必要性の高い未承認薬・

適応外薬の要望書

・薬剤の使いやすさを
考慮してほしい



離島の人達は...?

ドラベ症候群患者家族会

黒岩ルビー先生

指定難病 341 疾患

希少神経難病 創薬力強化
臨床試験計画
小悩み
Data 要否の整理



希少疾病

小悩みも多く...例 評価指標 etc.

未承認薬の解消
に向けた薬事上の
措置と
承認審査体制

ドラッグ ラグ・ロス 解消へ

ドラッグラグ・ロスの対策



希少疾病

指定の早期化 (取消も含)



開発への
サポート体制

希少疾病用



指定

早期化・拡大



治験システム早期導入の 推進と目指す

育薬にも患者さまと
そのご家族の
理解と協力は欠かせない

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

新薬審査第3部

朝倉渡 先生



希少疾患・難病に対する革新的医薬品の創薬に向けた課題について

病気と共に不自由なく生きることができる社会



創薬エコシステム



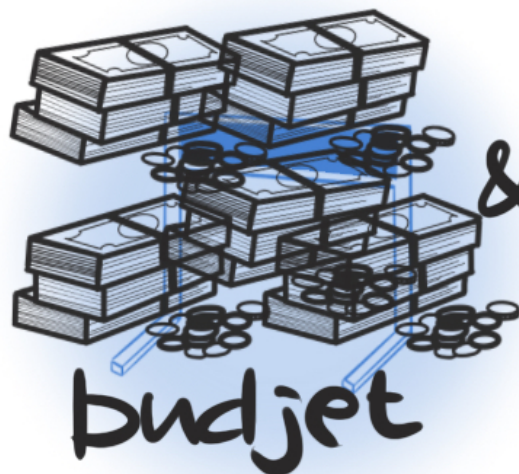
ASAP
action required
in Japan

自社製品で
日本の

Bio医薬品
開発が遅れている

Global化
Pharma (欧米)
更に垂直統合型
↓
水平分業型の
事業構造転換

- 3500億円予算
- 34社採択



budget



基礎研究
大学

人材
不足

はまた課題...

国民の理解のもと、
英知を結ぶ
合わせ治療へつなぐ

- 新規モデルの研究整備不十分
- 専門人材
- 希少疾患に対する認知
- 早期診断にも目を向けるべき



Graphic Recording

Kanna Yoshikawa

学校法人自治医科大学遺伝子治療研究センター

C4U株式会社創薬企画室

三木秀夫先生