

意見書案第 26 号

ウルトラ・オーファンドラッグの開発の促進及び支援のための法整備等を求める意見書

国内の患者数が 1,000 人に満たず、有効な治療薬や治療法がない疾病用の医薬品であるいわゆるウルトラ・オーファンドラッグは、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことから臨床試験が困難であり、市場規模も小さいため開発がなかなか進んでいないのが現状である。

そのため、ウルトラ・オーファンドラッグが必要とされる代表的な疾病である遠位型ミオパチーの患者団体は、これまでに特定疾患への指定と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書の提出など、政府への要請活動を積極的に行い、その結果、政府は、開発を促進するための施策を強化したところである。

しかしながら、財源不足のために研究機関や製薬会社による遠位型ミオパチーの治療薬の研究が進まなくなってしまうなど、いまだ創薬実現に向けた明確な前進は見られず、これらの疾病と闘っている患者は、日々進行する病状に計り知れない不安を抱きながら生活するという深刻な状況に置かれ続けており、一日でも早く治療薬が開発され、治療法が確立されることを待ち望んでいる。

よって、国におかれては、次の事項について早急に実現されるよう強く要望するものである。

- 1 ウルトラ・オーファンドラッグの開発の促進及び支援のための法整備を行うこと。
- 2 遠位型ミオパチーを始めとする希少疾病に関する研究事業の更なる充実強化と継続的な支援を行うこと。
- 3 ウルトラ・オーファンドラッグを含む希少疾病用医薬品の早期承認と医療費補助を含む患者負担軽減のための措置を講ずること。

以上、地方自治法第 99 条の規定により意見書を提出する。

年 月 日

議会議長名

衆議院議長

参議院議長

内閣総理大臣 宛て

総務大臣

厚生労働大臣