

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

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）については、薬事法第77条の2の規定に基づき、対象患者数が5万人未満であること、医療上特にその必要性が高いもの等の条件に合致するものを、厚生労働大臣が指定し、開発の支援等がなされている。

しかしながら、遠位型ミオパチーをはじめとする希少疾病には有効な治療薬や治療法がないことから、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）については、医療上の必要性が高く、その開発を円滑に進めることが重要となっている。

これまで、希少疾病関係の患者団体は、「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」の提出など、政府及び関係省庁への積極的な要請活動を行ってきた。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では、治療薬の開発を促進し支援するよう、前向きに検討されているものの、いまだ創薬の実現に向けた明確な前進は見られていない。

希少疾病と闘っている患者は、日々進行する病状にはかり知れない不安を抱きながら、一日も早い治療薬の開発と治療法の確立を待ち望んでいる。

よって、国におかれては、下記の事項を早期に実現されるよう強く要望する。

記

- 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）の開発を促進し、支援するための法整備を行うこと。
 - 2 遠位型ミオパチーなどの希少疾病に関する研究事業のさらなる充実を図り継続的な支援を行うこと。
 - 3 希少疾病用医薬品の早期承認と医療費補助を含む患者の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。

平成25年3月21日

熊本県議会 議長 馬場 成 志

衆議院議長	伊吹文明様
参議院議長	平田健二様
内閣総理大臣	安倍晋三様
文部科学大臣	下村博文様
厚生労働大臣	田村憲久様
経済産業大臣	茂木敏充様