



月刊発行
薬事日報社

東京本社 〒101-8648
東京都千代田区神田和泉町1
☎ (03) 3862-2141
FAX (03) 5821-8757
大阪支社 〒541-0045
大阪府中央区道修町2-1-10
☎ (06) 6203-4191
FAX (06) 6233-3681
購読料 半年19,764円
(税込) 1年36,234円

きょうの紙面

- 費用対効果で好結果
- カボメティクス…②
- 18品目を薬価収載
- 厚労省………③
- グランドデザイン改訂
- OTC薬協……⑥
- 3新薬上市、高成長へ
- アストラゼネカ…⑦

本号8ページ

製販後調査で患者会と連携

PMDA 第1弾はライソゾーム病

希少薬の開発促進へ

医薬品医療機器総合機構(PMDA)は今年度から、患者会と連携した医薬品の情報提供・収集活動を試行的に実施する。第1弾として「日本ライソゾーム病患者家族協議会」と連携し、今後発売されるライソゾーム病新薬の有効性・安全性に関する情報提供を迅速・確実に行えるよう患者向け資料を共同開発する計画だ。安全性情報の収集に向けては、同協議会が薬剤使用後の安全性情報を収集し、患者の声を組み入れた市販後のエビデンス構築を検討する。今回の試行結果を踏まえ、ライソゾーム病に限らず他の疾患にも協力対象の拡大を検討していく方針。

患者向けの医薬品情報提供では、PMDAホームページ、メディア、患者向け情報提供資料などの媒体を用いているが、多様な医療現場に依存しているのが現状。ターゲットとなる

PMDAは、患者会との連携を通じて、患者への迅速で正確な情報提供・収集を目指す。患者の属性は多岐にわたり、多様な患者全体を対象にしたアプローチには限界があるため、まずは小規模でネットワーク化

が進む希少疾患の患者会との連携を模索。同協議会から協力が得られた。ライソゾーム病は約60種の疾患数があるが、治療法が確立されている疾患はゴシエ病やファブリー病、ボンペ病、ムコ多糖症などに限られる。

PMDAと同協議会は、ライソゾーム病の新薬1製品について、製造販売する製薬企業への理解を得た上で、有効性・安全性に関する分かりやすい情報を提供していくための患者向け資料を共同開発する方針だ。また、副作用などの安全

薬剤を待ち望んでいる現状を説明してきたが、希少疾患治療薬の承認には信頼性を担保するだけの必要患者数を集めることが求められ、採算の見込みが低いだけに日本で開発に乗り出す企業も出てこなかった」と、「患者参画の重要性がようやく理解され始めた」と評価する。

製造販売後調査に患者会が参画する意義については、「希少疾患治療薬は医学的エビデンスが不足しており、疾患を診る専門医は限られた情報の中で目の前の患者に対応しなければならぬ。自身が罹患し、病気を良く知っている患者・家族のネットワークを活用すれば、希少疾患治療薬の早期開発・承認につながる可能性がある」と期待感を示している。

患者会と研究者の協働による製造販売後エビデンスを別の開発薬剤の治験実施計画や承認申請資料に活用できれば、「希少疾患治療薬の早期開発・承認につながる可能性がある」と期待感を示している。

同協議会の秋山武之副代表理事は、「PMDAとの連携は希少疾患のドラッグラグ解消に向けた重要な一歩になる」と歓迎。「これまで、われわれが厚生労働省やPMDAに足を運

び、治療手段がない患者が