

出典: EUROPA (> European Commission > DG Health and Consumer Protection > Public Health > Threats to health > Rare diseases)

[http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/rare\\_3\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_3_en.htm)

### 2.3.5 希少疾患のための行動ネットワークを構築する EU プロジェクト

既存の欧州内の情報ネットワークを介して、希少疾患に関する情報交換を改善し、より良い分類法を促進し、希少疾患患者、ボランティア、専門家間の意見交換のための戦略ならびに仕組みを構築し、関連健康指標を規定し、EU レベルで同等の疫学データを構築し、最善の治療法の情報交換を支援し、患者グループに対する対策を構築するため、1999 年 1 月 1 日から 2003 年 12 月 31 日までの間は、希少疾患 EU 対策プログラム、2003-2008 年は EU 保健プログラムの枠組みのもとでプロジェクトが支援された。

- **EU EUROCAT** プロジェクト(欧州先天異常サーベイランス)、Ulster 大学(北アイルランド、英国)のコーディネーションのもとで実施されている、先天異常の疫学サーベイランスのための、28 カ国、51 登録システムの欧州ネットワーク。現在、年間 100 万件以上の出生例のサーベイが行われている。その目的のいくつかは以下の通り:
  1. EUROCAT Guide ならびに EUROCAT Data Management Programme (EDMP) に規定され、加盟登録団体がデータ入力/インポート、妥当性検証、ならびに中央登録機関に対する年 1 回の登録に用いている共通コーディングによる共通のデータセットに基づき、欧州内での先天異常に関するエッセンシャルな疫学情報を提供する、
  2. クラスター、暴露、あるいは危険因子に関して、一般の人々、医療専門家、保健担当者の情報ならびにリソースセンターとなること、
  3. 先天異常の原因や予防、罹患した小児の治療やケアに関する研究の共同ネットワークやインフラストラクチャーとなること、
  4. 妊娠前後の葉酸サプリメントに関する方針や実践について調査すること。

最近、葉酸に関する政策および実践の文脈の中で、欧州 18 カ国での神経管閉鎖障害(NTD)発症率に関する報告を EUROCAT は更新した。EUROCAT ウェブサイトで閲覧できるこの報告は、妊娠前後に葉酸を服用するよう女性に助言し始めている国が多くなってきていることを示している。食品の葉酸強化を義務づけている国はまだないが、数カ国でその方針が諮問されている。NTD の発症率の低下状況は、依然として望ましくない状態である。

このプロジェクトは、最新の共同体保健プログラムで常に支援されている。

- **EU ENERCA プロジェクト**(欧州希少先天性貧血ネットワーク) Hospital Clínic i Provincial de Barcelona (カタロニア、スペイン)のコーディネーションのもとで実施されており、以下のものを含む希少先天性貧血の情報源となっている。

1. この疾患を専門とする医療機関の詳細なリスト、
2. 希少先天性貧血全ての定義:先天性赤血球酵素欠損症、先天性赤血球膜異常、先天性異常血色素症、先天性赤血球形成異常など、
3. プロジェクトに参加している各国の国内および国際組織に関する情報、
4. 正しい検査が実施され、適切な診断がなされるようにするための、これらの疾病についての標準化したサービス。

先天性貧血に加え、ENERCA-II プロジェクトでは、遺伝性、後天性のものを含む貧血の希少原因全てをカバーする予定である。その他の目標としては以下のものがある:

1. 専門的支援ならびに情報提供を行うための、紹介検査施設や専門家を確立する、
2. 患者が容易に利用できる疾病についての情報提供を行う、
3. 緊急時の即時対応を促進する(personal MAC)、
4. 公的に認定したウェブサイトと、アクセスを制限するデータベースを提供し、専門家にオンラインフォーラムを提供し、会員ニュースレターを発行する、
5. 疫学データ研究を実施し、国家および地方レベルでの先天性貧血の出現をモニターし、希少先天性貧血に関する登録システムを構築する、
6. 既存のデータベースのないEU加盟国での体系的な新生児スクリーニングを実施する、
7. 希少先天性貧血の分子ならびに遺伝的機序への理解を深めるため、様々な研究グループ間の情報交換を促進する、
8. 希少先天性貧血の診断および臨床管理法のための欧州ガイドラインを策定する、
9. 貧血の臨床診断、およびサラセミア形質診断のための品質管理システムを構築する。検出にかかる時間を改善し、希少先天性貧血の予防、診断、治療に統一的なアプローチをとるようになる。

このプロジェクトは、最新の共同体保健プログラムで常に支援されている。

- **EU SCN プロジェクト**- 重症慢性好中球減少症の疫学、病態生理ならびに治療に関する欧州ネットワーク、 Medizinische Hochschule Hannover (D)のコーディネーションのもとで、重症慢性好中球減少症の疫学、病態生理ならびに治療に関する欧州の活動を結合し強化するために設立された。このプロジェクトの主な目的は、包括的な欧州情報ネットワークを構築し、重症慢性好中球減少症(SCN)ならびにその病態生理や治療法のあらゆる側面についての解明を大きく進めることで

あった。SCN の患者は、様々なタイプの好中球減少症に罹患している。主な亜型は、先天性好中球減少症、周期性好中球減少症、特発性好中球減少症である。ネットワークのコア設備は、重症慢性好中球減少症に関する共通のインターネットからアクセス可能なデータベースであり、このプロジェクトの活動の中で設立され、欧州ネットワーク内の全てのパートナーに提供されている。新しいデータベースシステムは、重症慢性好中球減少症国際登録システムのうち、欧州のデータに基づいている。好中球減少症に関する欧州データベースは、一般情報に加えて、悪性への形質転換や骨髄移植、アウトカムなどの特定の情報も収集している。重症慢性好中球減少症国際登録システムの欧州ブランチにあるデータベース内の全ての情報を、いわゆる"Local Liaison Physicians" (LLP)と呼ばれるネットワークメンバーに提供し、欧州ネットワークパートナーの専門スキルを最新ものに保つようにしており、そのベネフィットは、参加国の他の医師にも伝えられることになる。

- **EU 希少型痲ほうプロジェクト**, Alzheimer Europe (L)のコーディネーションのもと、希少型治療についての情報を一般に提供するデータベースである。データベースに掲載されている情報は、疾病別の項目、疾病名、異名、疾病の記述、症状、原因、疫学データ、治療法、臨床試験、診断法、手順および、さらに詳しい情報源のリストからなる。この情報は、専門家から提供され、定期的に更新される。これらの希少型痲ほうの分類法も作成している。
- **EU EUROMUSCLENET プロジェクト** - 筋疾患 - 希少性で重い障害となる疾病のプロトタイプ: Charité 大学病院神経科 (ベルリン、ドイツ)のコーディネーションのもとで構築した欧州情報ネットワークは、インターネットを介して、筋疾患の欧州情報ネットワークを欧州で使われる全ての言語で提供すること、ならびに、各国や、様々な研究グループ間の既存の小さなネットワークを統合して大きな一つのネットワークを構築することを目標としている。筋疾患 (別名: 神経筋疾患、未オパシー)は、およそ 200 の遺伝疾患あるいは後天性疾患を扱っている。対象としている疾病の範囲は、幼児重症型筋ジストロフィーから、症状が極めて少なく、正常な余命が期待される未オパシーまで多様である。診断には、高度に専門的な形態検査、生化学検査、分子遺伝学検査を必要とし、欧州のごく少数の臨床機関でしか行えない。神経筋疾患に関する情報ネットワークは、共同体の次元で重要なものである。この分野の容易にアクセスできる包括的な情報をもたらすからである。
- **EU CAUSE プロジェクト** - Charge Association and Usher Syndrome in Europe は Sense International (英国)のコーディネーションのもとに、盲ろう疾患に関するプロジェクトである。ユニークで孤発性の高い障害であり、視覚障害と聴覚障害がただ単に複合したもの以上のものである。盲ろう者は、無数の困難に直面しており、一般の人々の原因や機能に及ぼす影響についての関心が欠落していることで、その状況はしばしばより悪化したものとなる。CAUSE プロジェクトでは、アッシャー症候群と CHARGE の盲ろうの 2 つの原因について焦点を絞った。このプロジェクトの主な目的は、CHARGE ネットワークと欧州アッシャー症候群ネットワークの間で情報や経験、最善の治療法について意見交換することで、これらの疾病に対する関心をより広く高めることであった。Deafblind International ウェブサイトの CAUSE のホームページ

(<http://www.deafblindinternational.org/default.htm>)から全てのファクトシートがダウンロードできる。

- 小児リウマチ疾患欧州情報ネットワークプロジェクト、IRCCS Istituto Giannina Gaslini, Genova (IT)のコーディネーションのもとで実施されるプロジェクトで、その主な目的は、小児リウマチ疾患 (PRD)に関する欧州情報ネットワークの構築を推進することである。21 カ国(加えて、EU 外の 30 カ国)のネットワークにより、若年性慢性関節リウマチ、小児性ループス腎炎、エリテマトーデス、小児皮膚筋炎、強皮症、脈管炎、希少型関節炎、ならびに骨関節症状を訴えるその他の多くの希少疾患についての情報を提供する予定である。このネットワークは、医療専門家、研究者、欧州内外の PRD についての情報を求めている患者を支援しようとしている家族ならびにボランティア団体の有用な参考サイトとなることを目標にしている。このプロジェクトは、小児リウマチ学国際臨床試験機構および欧州小児リウマチ学会の間での共同事業の結果、PRINTO ならびに PRINTO-Pediatric Rheumatology サイトの構築も支援している。
- EU EDDNAL プロジェクト - Centre de Génétique Humaine - PG (Institut de Pathologie et de Génétique), Lovreval-Gerpennes (B)のコーディネーションのもとで構築している欧州のDNA検査施設データ集は、専門家が使用できるよう意図した非営利登録システムである。EDDNAL に含まれる情報は、オンライン臨床リソースとして公開されている。EU 加盟国 14 カ国ならびにスイス、ノルウェイ、ポーランドの臨床検査施設が提供する遺伝性症候群ならびに疾患の診断サービスに関する標準化された情報が含まれている。現時点では、データ集には 337 の臨床検査施設、906 項目の遺伝的状态、756 例の連絡担当者の情報が掲載されている。2000 年に始まった更新作業で、各臨床検査施設が実施する診断法、品質評価スキームへの参加状況、および、検査の手順に関する詳細に関するより詳しい情報が掲載されるようになった。データ更新では、各臨床検査施設で行われている研究に関する情報も取得している。従来の EDDNAL ウェブサイトでは、もしあれば情報を公開できるであろう、いくつかの機能パラメータを欠いていた。新たに更新された臨床検査施設情報には、過去のウェブサイトと比較してより詳細な区分や情報がもたらされているので、医療コミュニティがこの情報にアクセスするには、より高度なウェブアプリケーションが必要であった。EDDNAL の執行機関は、コンピュータ会社と協議し、新しいサイトが 2002 年 10 月の公式に立ち上げられた。科学界からの反応はおおむね肯定的であった。
- 欧州神経線維腫症レイグループネットワークを設立する EU プロジェクト。欧州における神経線維腫症(NF)の健康増進、医療情報ならびに知識の改善プロジェクト 欧州神経線維腫症協会連合(B)のコーディネーションのもとで行われているプロジェクト。主な目的は以下の通り:
  1. 既存の神経線維腫症レイグループを結びつけ、それらの協力関係を改善させることで、欧州 NF ネットワークを構築すること;
  2. 患者および家族のニーズを調査し評価すること;
  3. EU ならびにその他の欧州諸国の新たなレイグループを統合し、ノウハウと情報を提供する;

4. 患者がより良好な社会参加を達成し、疾病に対処できるようボランティアのトレーニングプログラムを構築する;
  5. 専門家、関係者、欧州社会に焦点を絞った欧州レベルでの NF に関する関心を高める(啓発活動、キャンペーン、NF に関する最新情報を提供するウェブページのデザイン);
  6. 関係者(患者、ソーシャルワーカー、教師、医療専門家)向けの教材を作成する;
  7. 経験を共有することで、患者の医学的社会的ニーズを調べ、NF の様々な側面でのエビデンスをもとにした管理法についての推奨法やガイドラインを策定する。
- EU 免疫不全症情報ネットワークプロジェクト Institute of Medical Technology, University of Tampere (FIN)のコーディネーションのもと、免疫不全症に関する包括的知識ベースを構築することを目的としている。ImmunoDeficiency Resource (IDR)と呼ばれているサービスにより、ヒトの免疫系に障害をもたらす希少疾患である原発性免疫不全に関して、様々な関心グループのための情報を提供している。全体で 100 項目を超える免疫不全症が知られている。ユーザーフレンドリーなインターネットデータサービスを介して情報が提供されている。全ての IDR データが専門家による妥当性評価を受けることになる。全加盟国およびいくつかの非メンバー国が関与している。IDR には、免疫不全症の分類と診断基準に関する情報が含まれている。ゲノム情報も増えつつある。免疫不全症に関連する遺伝子、およびゲノム上のローカス、3 レベル(ゲノム、RNA、タンパク質レベルでの)参照配列、マーカーなどである。
  - EU TEAM プロジェクト - Department of Internal Medicine (University Medical Centre) Utrecht (NL)のコーディネーションのもとで成人の希少性代謝疾患の専門情報を移転するもので、希少代謝疾患の患者に対する専門家の知識の質を高め、広くデータを提供することを目的としている。従来は、これらの疾病に罹患した患者は、成人まで生存できないことが多かった。

#### 2005 年に新たに選定したプロジェクト

当時の保健プログラムのもとでの DG SANCO のプロジェクト公募(締め切り:2005 年 4 月 15 日)で、広い範囲の希少疾患から 3 件のプロジェクトが選定され資金提供された:

- 欧州重症筋無力症ネットワーク

EuroMyasthenia プロジェクトは、欧州全体におよぶ重症筋無力症ネットワークを立ち上げ、重症筋無力症に関する情報や知識を改善させ、より良い分類法を推進し、治療戦略や支援アクションを至適化させ、ケアの不平等性を低減させようとしている。EuroMyasthenia では特に、EU 域内の生物学的、臨床的、組織学的判定基準を標準化すること、重症筋無力症の診断や分類、治療を改善させるための新たなバイオマーカーを特定すること、疾病の発症と増悪に及ぼす心理社会

的、社会経済的因子の影響を明らかにすること、疫学研究の基礎となるよう欧州データベースを構築すること、重症筋無力症患者のための特別な欧州医療カードを確立し、EU の医療ポータルに接続したウェブサイトと通じて、データを普及させることに主眼を置いている。

参照: Euromyasthenia ウェブサイト (<http://www.euromyasthenia.eu/>)

- 欧州自閉症情報システム

このプロジェクトの総合的な目的は欧州での自閉症スペクトラム疾患(ASD)についての体系的で信頼性が高く、一貫したデータを取得する仕組みを構築すること、ならびに早期診断を改善させることである。ASD に関して現在行われている現在のサーベイランスの初期解析を行い、欧州内での異なる症例定義の利用状況について分析し、ASD の領域での専門家や利害関係者のネットワークを構築し、ASD に関する欧州共通の情報システムを構築するための勧告を行い、倍ロット試験で妥当性を検証することで、これらの問題に対して対処することになっている。

参照: European Autism Information System ウェブサイト (<http://www.eais.eu/>)

## 2006 年に新たに選定されたプロジェクト

当時の保健プログラムのもとでの DG SANCO のプロジェクト公募(締め切り:2006 年 5 月 19 日)で、広い範囲の希少疾患から数件のプロジェクトが選定され資金提供された。そのうちのいくつかは、欧州紹介センターネットワークの構築および希少疾患の特定に関するものであった。その他の選定されたプロジェクトは以下の通りである:

以下に示したプロジェクトは、資金助成のために選定されたものであり、欧州委員会との協議に成功し、助成契約に署名した場合にのみ同時資金助成を受ける。

- 希少疾患ポータル

Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale がコーディネートしている。

このプロジェクトは、既存の Orphanet ウェブサイトを、新たな希少疾患ポータルに向けて進展させるものである。

このサイトは、広く社会に対して、6 つの言語を用いて希少疾患に関する包括的でユーザーフレンドリーな情報を提供することで、そのような疾患の診断、ケア、治療の改善を支援するようデザイン

されている。特徴としては以下のものがある：

1. 希少疾患の総合百科事典；
2. 35 カ国の専門サービスの案内；
3. 欧州の紹介センターの目録；
4. 希少疾患用医薬品データベース。開発段階、EU 諸国での発売状況についての情報提供；
5. 利害関係者それぞれに合わせたいくつかの他のサービス。

このサイトの目標は以下の通り：

1. 情報へのアクセシビリティを高める；
2. 希少疾患の疫学のより深い解明に貢献する；
3. 可能性のある診断のオンラインデータベースを提供することで、希少疾患の診断を改善させる；
4. 既存のコーディングシステムを使ってコードすることで、これらの疾病の分類に寄与する；
5. そのような分類を行うことで、専門サービスに関する妥当性を検証した情報を全ての欧州の人々に提供する；
6. 欧州の紹介センターの位置を地図上に表示する。

参照：Rare Diseases Portal (<http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php>)

- 欧州希少がんサーベイランス(RARECARE)

Istituto Nazionale per lo Studio e la Cura dei Tumori, イタリアがコーディネートしている。

このプロジェクトは、希少がんに関する指標を規定し、関連データの収集と解析を持続可能な長期間にわたって行えるよう支援することを意図したものである。集学的国際的な同意のもとに、「希少がん」の暫定的な定義付けを行い、その定義に合致するがんのリストを作成する予定である。このプロジェクトでは、必要なら、希少がんとの境界線を推定するのに、好発がんに使われている統計的方法の妥当性を評価し、必要なら採用する予定にしている。RARECARE では、集団ベースの癌登録システムからのデータを値受かって、癌の負荷指標を提供し、ECHI 戦略およびモニタリングやサーベイランスに関する EUROSTAT 標準を考慮に入れて、欧州全体の希少がんに関する情報を作成する。RARECARE では、欧州諸国の希少がんに関するデータの品質と同等性について評価する。優先順位が高いと思われる一部のがんについては、癌登録システムで現在収集されている情報を精査し、結果を普及させ、特別にデザインしたウェブサイトを通じて、多の情報源とリンクさせることで、データの品質を向上させる努力を行う。

参照: RARECARE ウェブサイト(<http://www.rarecare.eu/activities/activities.asp>)

- 欧州クッシング症候群登録システム(ERCUSYN)

Institut de Recerca de l'Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, スペインがコーディネートしている。

このプロジェクト提案の総合的目的は、欧州でのクッシング症候群患者のケアを改善させ、それによってアウトカムを高めることである。他の多くの希少疾患と同様、診断が遅れることが多く、経験や専門的知識の少ない医療施設で患者は治療を受けている。特に、クッシング症候群では、コーチゾルレベルの高値が持続することの精神衛生やクオリティーオブライフに対する長期の影響を評価できていない。このプロジェクトでは、診断が遅れる理由を明らかにし、(i)至適でコスト対硬化に優れた診断検査法を確立し、様々な治療法(すなわち、手術、放射線療法、内科治療)を提供する最善の手段を確定し、(ii)生化学およびクオリティーオブライフの両方の点で、治療の望ましいエンドポイントを明らかにすることを目的とする。汎欧州登録システムが、十分なデータを収集する唯一の手段であり、管理法についての地域間の違いについての洞察も得られ、それにより最善の医療が明らかになり、患者のベネフィットが高まるものと期待される。

これまでになされた活動に基づき、パートナーは、適切にデータを収集し、患者のクオリティーオブライフを評価し、生化学アッセイ法を標準化するための方法を開発する。この先行的経験が、ネットワークメンバーによる臨床、診断、クオリティーオブライフ、および予後データを含む、全欧州レベルでの、クッシング症候群の診断と治療のためのルーチンの欧州登録システムを維持するための道を拓くことになる。

参照: The European Register of Cushing Syndrome (<http://www.lohmann-birkner.de/ercusyn/>)

### 2007年に新たに選定されたプロジェクト

当時の保健プログラムのもとでの DG SANCO のプロジェクト公募(締め切り: 2007年5月21日)で、広い範囲の希少疾患から数件のプロジェクトが選定され資金提供された。そのうちのいくつかは、欧州紹介センターネットワークの構築および希少疾患の特定に関するものであった。その他の選定されたプロジェクトは以下の通りである:

以下に示したプロジェクトは、資金助成のために選定されたものであり、欧州委員会との協議に成功し、助成契約に署名した場合にのみ同時資金助成を受ける。

- 欧州血友病安全性サーベイランスシステム



プロジェクトリーダー: Sheffield 大学(UK)

欧州血友病安全性サーベイランス(EUHASS)プロジェクトは、血友病スアの治療の安全性をモニターするための医薬品安全性管理プログラムを設立することを目的としている。加えて、ヨーロッパの全ての血友病センターに関するデータベースを構築、維持し、良きせぬもしくは重篤な有害事象が発生した場合に迅速に通知する Rapid Alert System も構築する。血友病治療の安全性を確保することは、HIV や C 型肝炎ウイルスなどのウイルスを含む血液が過去に使われ、血友病者の多くが、これらのウイルスや他のウイルスにその結果感染したことから、公衆衛生での高い優先項目である。リスクを評価するには、十分な数の患者からデータを収集する必要がある。EUHASS は、血友病における健康情報および治療安全性のデータを新たに持続可能な方法でモニターし、広く情報交換するシステムとなり、発症、治療、危険因子、最善の管理法の評価に関する知識を共有することができる欧州全体のネットワークを構築できると期待され、最終的には、患者の安全性を高めるエビデンスを提供することを目的としている。

参照: European Haemophilia Safety Surveillance System (<http://eu Hass.org/information.htm>)

- 希少疾患国内プラン構築のための欧州プロジェクト  
プロジェクトリーダー: Istituto Superiore di Sanità (IT)

希少疾患領域では近年進展が見られたが、多くの EU 加盟国では、包括的でエビデンスに基づくアプローチがまだ行われておらず、RD に対処するのに不完全で、しばしば不適切な枠組みとなっている。この点から、このプロジェクトでは、RD の戦略プランをどのように規定すれば良いかの勧告を策定することを目標としている。そのような勧告には、RD に対する最善の実践法、および戦略プランを構築するための様々なステップに関する情報が含まれることになる。これにより、欧州全体での RD に対する公衆衛生戦略のハーモナイゼーションを支援することになる。加えて、将来の EU 委員会の RD に関する報告で、共通の政策ガイドラインがヨーロッパ各国で共有されるようになれば、このプロジェクトは、EU 加盟国内の国内プログラムの構築に貢献し、国内での背景を欧州レベルでの共通の戦略と結びつけることができるようになるであろう。

参照: European Project for Rare Diseases National Plans Development (EUROPLAN)ウェブサイト (<http://www.euoplanproject.eu/>)

- 小児自己炎症性疾患 PRES ネットワーク(EuroFever)  
コーディネーション: Istituto Giannina Gaslini (イタリア)

このプロジェクトの総合目的は、小児自己炎症性疾患に関するネットワークを構築することである。以下に示すインスルツメントを用いる予定である:(1)欧州の全ての小児リウマチ病センターでの自

己炎症性疾患の診断例ならびに疑い例の有病割合に関するウェブベースの調査、(2)ウェブベースのデータ収集法のないこれらの疾患全てについての国際登録システム — これらの疾病の治療の有効性に関する調査と、将来の治療臨床試験に備えた、アウトカム評価尺度の構築、(3)患者および医師向けのそれぞれの疾患に関する情報を多く掲載したウェブページ。

### 2008年に新たに選定されたプロジェクト

当時の保健プログラムのもとでの DG SANCO のプロジェクト公募(締め切り:2008年5月20日)で、広い範囲の希少疾患から数件のプロジェクトが選定され資金提供された。そのうちのいくつかは、欧州紹介センターネットワークの構築および希少疾患の特定に関するものであった。その他の選定されたプロジェクトは以下の通りである:

以下に示したプロジェクトは、資金助成のために選定されたものであり、欧州委員会との協議に成功し、助成契約に署名した場合にのみ同時資金助成を受ける。

- 欧州中枢性低喚起症候群ネットワーク:患者への医療の至適化(EU-CHS)

プロジェクトリーダー: Assistance Publique- Hôpitaux de Paris (FR)

このプロジェクトの主な目的は、欧州における中枢性低喚起症候群(CHS)患者に対する医療を至適化することにある。中核となる行動は、欧州 CHS 登録(EU-CHS register)システムを構築することである。質の高い疫学研究や臨床研究を行うには、多くの患者の情報が必要であるからである。11の参加国で CHS 患者を特定する。ウェブベースの登録システムを用いてデータを収集する。また、CHS の診断および治療に関する欧州の標準ならびにガイドラインを構築し、欧州での CHS に対する既存のサービスの現状についても明らかにする。多言語ウェブサイトを用いることで、患者と医療専門家の間の情報普及やコミュニケーションが促進されることになる。

出典: EUROPA (> European Commission > DG Health and Consumer Protection > Public Health > Threats to health > Rare diseases)

[http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/rare\\_4\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_4_en.htm)

### **2.3.6 希少疾患に関する国内プランもしくは戦略**

EU 理事会では、希少疾患領域でのアクションに関して 2009 年 6 月 9 日に理事会勧告を採択した。こ

の勧告は、希少疾患に対する国内プランおよび戦略を、2013年までに採用することを支援し強化することに重点が置かれている。理事会は、加盟国に対して以下のことを勧告している：

希少疾患の患者が、診断、治療、リハビリテーションを含む高品質なケアにアクセスし、できれば、有効な希少疾患用医薬品に対するアクセスが可能となるようにするため、適切なレベルで希少疾患に対するプランもしくは戦略を策定、実施するか、多くの公衆衛生戦略の中で希少疾患に関して適切な対策を探る、とりわけ：

(a) プランあるいは戦略を可及的速やかに構築、採択し、できれば、2013年末までに実施し、他の医療および社会システムの枠組みの中で、希少疾患の領域での関連するアクションの指針となり構造の基本となることをねらいとする。

(b) 地域、地方、全国レベルでの現在および将来行われるイニシアチブを、包括的アプローチのためのプランあるいは戦略の中に統合するための行動をとる。

(c) プランあるいは戦略の中で、いくつかの優先順位の高いアクションを規定し、その目標と追跡メカニズムを規定する。

(d) 公衆衛生の分野での最初の共同体アクションプログラムの中で、2008-2011年の資金助成に選定された希少疾患国内プラン構築のための欧州プロジェクト(EUROPLAN)が現在進めているプロジェクトの枠内で、国内の関連行政機関が、希少疾患に対する国内アクションを構築するためのガイドラインや勧告が構築されていることに留意する。

#### 希少疾患国内プラン構築のための欧州プロジェクト(EUROPLAN)

このプロジェクトは Istituto Superiore di Sanità (IT) が主導して行っている。希少疾患領域では近年進展が見られたが、多くの EU 加盟国では、包括的でエビデンスに基づくアプローチがまだ行われておらず、RD に対処するのに不完全で、しばしば不適切な枠組みとなっている。この点から、このプロジェクトでは、RD の戦略プランをどのように規定すれば良いかの勧告を策定することを目標としている。そのような勧告には、RD に対する最善の実践法、および戦略プランを構築するための様々なステップに関する情報が含まれることになる。これにより、欧州全体での RD に対する公衆衛生戦略のハーモナイゼーションを支援することになる。加えて、将来の EU 委員会の RD に関する報告で、共通の政策ガイドラインがヨーロッパ各国で共有されるようになれば、このプロジェクトは、EU 加盟国内の国内プログラムの構築に貢献し、国内での背景を欧州レベルでの共通の戦略と結びつけることができるようになるであろう。

参照: European Project for Rare Diseases National Plans Development (EUROPLAN)ウェブサイト  
(<http://www.europlanproject.eu/>)

参照: Summary of the EUROPLAN Conference 'National Strategies & Action for Rare Diseases in Europe'、フランスの理事会議長国のもとで - 2008年12月  
([http://www.ue2008.fr/webdav/site/PFUE/shared/import/1118\\_Conference\\_maladies\\_rares/Rare\\_diseases\\_Summary\\_EN.pdf](http://www.ue2008.fr/webdav/site/PFUE/shared/import/1118_Conference_maladies_rares/Rare_diseases_Summary_EN.pdf))

加盟国が採用した希少疾患に関する国内プランあるいは戦略

### フランス

- Plan National Maladies Rares (2005-2008)  
([http://www.orpha.net/actor/Orphanews/2006/doc/plan\\_national.pdf](http://www.orpha.net/actor/Orphanews/2006/doc/plan_national.pdf))
- フランス希少疾患国家プラン (2005-2008)  
([http://www.orpha.net/actor/EuropaNews/2006/doc/French\\_National\\_Plan.pdf](http://www.orpha.net/actor/EuropaNews/2006/doc/French_National_Plan.pdf))

新規プラン2010-2014が採択される前に、プラン2005-2008の評価を行っている。  
([http://www.hcsp.fr/docspdf/avisrapports/hcsp/20090317\\_maladiesRares.pdf](http://www.hcsp.fr/docspdf/avisrapports/hcsp/20090317_maladiesRares.pdf))

### ブルガリア

- 希少疾患に関する国家プラン2009-2013(非公式英文版)  
(<http://www.raredis.org/pub/events/NPRD.pdf>)

### ポルトガル

Programa Nacional para Doenças Raras / 希少疾患に関する国家プログラム2008-2015(ポルトガル語のみ)  
([http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/docs/portugal.pdf](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/portugal.pdf))

### スペイン

Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud / 国民健康保険システム、希少疾患戦略(スペイン語)  
(<http://www.msc.es/organizacion/sns/planCalidadSNS/docs/enfermedadesRaras.pdf>)

出典: EUROPA (> European Commission > DG Health and Consumer Protection > Public Health > Threats to health > Rare diseases)  
[http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/rare\\_11\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_11_en.htm)

### 2.3.7 希少疾患に関する欧州コンファレンス 2007

2007年11月27-28日、リスボン([http://www.rare-diseases.eu/home\\_en.php](http://www.rare-diseases.eu/home_en.php))

### 2.3.8 希少疾患に関する欧州コンファレンス 2005

- 希少疾患コミュニーのための困難さから解決法へ

希少疾患に関する欧州コンファレンスが、2005年6月21-22日にルクセンブルクで開催される。欧州希少疾患機構(Eurordis)が主催し、欧州理事会と Luxembourg Presidency of the Council of Ministers が講演し、このコンファレンスには、患者や医療専門家から、行政政策立案者、産業界の代表まで含む、多様な利害関係者が参加する予定である。

2日間にわたる会議のプログラムでは、希少疾患の人々が直面している現在の問題点について検討し、解決法を探ることになる。参加者は、希少疾患に対処するための国内およびEUの対策についても検討し、また、研究や資金援助についても話し合うことになろう。

- 寄稿

希少疾患に関するヨーロッパの活動

([http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/docs/ev\\_20050620\\_co01\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/ev_20050620_co01_en.pdf))

欧州委員会、公衆衛生ディレクターMr. Fernand Sauer による講演

希少疾患に関する報告。これらのプロジェクトは、EU 希少疾患プログラムで支援され、EU の公衆衛生活動の枠気味の中で実施された：

- 希少疾患に対する EU アクション

1999-2003年希少疾患に対するEUアクションが、希少疾患の関連してEU市民の高レベルの健康保護を担保する方向に貢献することを目的として制定された。この行動計画のもとで、これらの疾患に関する知識を深め、情報へのアクセスを促進することに重点がおかれた。

希少疾患はEU保健プログラム2003-2008の優先事項の一つであり、いくつかのプロジェクトに対して資金提供がなされ、EUレベルでの情報交換を改善し、コーディネーションを支援し、希少疾

患を取り扱う際の国を超えた強力と活動の継続性を推進している。

出典: *EUROPA* (> *European Commission* > *DG Health and Consumer Protection* > *Public Health* > *Threats to health* > *Rare diseases*)

[http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/ev\\_pre2005\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/ev_pre2005_en.htm)

### 2.3.9 希少疾患ならびに希少疾患用医薬品に関する国際会議 (ICORD)

- ミッション

ICORD のミッションは、知識、研究、ケア、情報、教育、啓蒙を高めることを通じて、世界希少疾患の患者および家族の福祉を増進させることである。

ICORD は、医療関係者、研究者、大学、産業界、患者組織、行政機関、厚生当局、ならびにパブリックポリシーの専門家など、希少疾患ならびに(もしくは)希少疾患用医薬品に関して活動している人々のための国際団体である。

出典: *International Conferences on Rare Diseases and Orphan Drugs*

<http://www.icord.se/index.php>

### 2.3.10 欧州委員会希少疾患タスクフォース

欧州委員会保健プログラム 2003-2008 の枠組みの中で、健康情報アクションの構築に関して、欧州委員会 DG SANCO に諮問するため、関連領域にいくつかの作業グループやタスクフォースが作られた。有病率死亡率作業グループ(MMWP)は、国内、地方、欧州レベルでの有病率や死亡率の領域に関する情報や知識を交換し検討するフォーラムである。したがって、MMWP は、公衆衛生を改善するのに必要な情報や知識を向上させるのに役立つ。欧州委員会が医療情報システムの構築ならびにコーディネーションを行うのを支援し、主要疾患、慢性疾患、希少疾患の指標を確立し、他の必要な情報を満たすのに必要な技術的科学的バックグラウンドを補完することになる。

希少疾患の領域でのアクションの重要性をより強調するため、MMWP は希少疾患タスクフォースを設立した。

タスクフォースへの委任事項が採用されている(<http://www.orpha.net/testor/doc/RDTFmandate.pdf>).

希少疾患タスクフォースの主な目的は、希少疾患の有病率および死亡率指標を明らかにし、希少疾患の公衆衛生分野での共通の枠組みを構築し、電子ニューズレターを発刊することである。

タスクフォースは、Scientific Secretariat (科学審議官) が支援する。以下の活動を通じて、希少疾患領域における公衆衛生の進展に寄与するように設けられたものである:

1. サービスの組織 (副次的);
2. 臨床検査ならびにクリニック (紹介センター);
3. 品質管理;
4. 最善実地医療ガイドラインの構築;
5. スクリーニング、診断、ケア;
6. 希少疾患の疫学的サーベイ;
7. EU 登録システム / ネットワーク / ad hoc サーベイ;
8. EU レベルでの政策立案の支援。

**ORPHANews Europe** は EC の希少疾患タスクフォースが発行する月刊電子ニューズレターである。毎月、欧州内での希少疾患ならびに希少疾患用医薬品に関するニュースや論点を掲載しており、内容としては、研究、EU、国内および国際政策、疾病サーベイランス、希少疾患用医薬品の承認状況、助成情報、患者団体からのニュース、イベントなどを扱っている。

英語で刊行されるこのニューズレターは、ヨーロッパの希少疾患ならびに希少疾患用医薬品のコミュニティー全てに読まれ、関係者全てが、この領域での新たな進展や新たなイニシアチブに関して情報が得られるようになっている。

*出典: EUROPA (> European Commission > DG Health and Consumer Protection > Public Health > Threats to health > Rare diseases)*

[http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/rare\\_5\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_5_en.htm)

### 2.3.11 希少疾患用医薬品に関する戦略

「希少疾患用医薬品 (オーファンドラッグ Orphan drugs)」は、地域内の人口 1 万人に 5 例未満の人々が罹患する生命に危険のある、あるいは極めて重症の疾患の診断、予防、あるいは治療を目的とした医

薬品である。これらの医薬品は、通常の市場環境では、極めて稀な疾患に罹患するごく少数の患者のために、医薬品を開発し市販することに、製薬業界はほとんど関心を持たないため、「orphans 孤児」呼ばれている。製薬企業にしてみれば、希少疾患の医薬品を市販することにかかるコストを、製品の予想される売り上げ額ではまかなえないことになろう。そのため、政府や希少疾患患者を代表する団体では、多くの無視され「孤児」となった希少疾患患者のための医薬品を製薬企業が開発し市販するよう、金銭的および規制に関してインセンティブを与えることが必要であると強調しているのである。

希少疾患用医薬品規則(規則(EC) No 141/2000、希少疾患用医薬品に関する 1999 年 12 月 16 日、欧州議会、欧州委員会)が欧州委員会から 1998 年 7 月に提案され、2000 年までに実施される。この規則には、EU 内での希少疾患用医薬品の判断基準を示し、希少疾患の治療、予防、あるいは診断のための医薬品の研究、開発、販売を助長するためのインセンティブ(例、10 年間の排他的販売、プロトコール支援、市販承認のための中央一括処理へのアクセス)について記述している。この規則は、アクセスや研究には主眼を置いていない。

加えて、欧州委員会は、委員会規則(EC) No 847/2000、2000 年 4 月 27 日を採択し、希少疾患用医薬品の判断基準の条項を示し、「類似医薬品 similar medicinal product」と「臨床的優位性 clinical superiority」の概念の定義を行っている。

欧州共同体企業・産業総局は、希少疾患用医薬品の価格に関する独立研究の結果を発表した。Alcimed が実施したこの研究では、EU で認可された希少疾患用医薬品の価格について調べ、どのようにしてこの価格が設定されたかについて調べた。加えて、この研究では、「十分な利益 sufficient profitability」をどのように評価し判断するかについても検討している。後者は、希少疾患用医薬品規則の Article 8(排他的販売)の運用に関係するものである。

希少疾患のための医薬品を開発しようとする個人や企業の希少疾患用医薬品指定申請を審査するため 2000 年に希少疾患用医薬品委員会(COMP)が欧州医薬品庁(EMA)に設立された。希少疾患用医薬品委員会は、希少疾患用医薬品指定申請について検討し、指定に関する意見書を提出し、希少疾患用医薬品に関する欧州委員会での検討に諮問や支援を行う任務を担っている。

希少疾患用医薬品と認定された医薬品は、希少疾患用医薬品の Community Register に登録される。

*European Register of Designated Orphan Medicinal Products*  
(<http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/orphreg.htm>)

*欧州で市販認可を受けている希少疾患用医薬品の Orphanet リスト*  
([http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list\\_of\\_orphan\\_drugs\\_in\\_europe.pdf](http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list_of_orphan_drugs_in_europe.pdf))



*Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens - Final Conclusions and Recommendations of the EU Pharmaceutical Forum -2008 年10月*  
([http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/pricing\\_orphans\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/pricing_orphans_en.pdf))

規則適用から3年後に出されたアネックスI、II、IIIを含む欧州医薬品庁 EMEA 報告によると、スタートは成功であった:2005年12月現在で342件の医薬品が希少疾患用医薬品に指定され(それ以前には、EU内で開発された医薬品はほぼ皆無であった)、22の希少疾患用医薬品が市販承認を受けた。

希少疾患用医薬品の指定に関する公募意見のサマリーインデックスが公開されている。一般の人々に、指定に関してこのような情報提供を行うことが、患者の医師の間のコミュニケーションの良い実例であり、透明性とコミュニケーションに関する欧州の方針を示す良い例である。

患者は、開発した製薬企業が市販承認を受ける前の医薬品に対して早期アクセスすることができる場合がある。多くは第III相臨床試験の段階であり、安全性と有効性が確実に推測できる段階になってからである。2つのケースがあろう:

1. その国での市販承認申請を製薬企業がすでに提出済みか、提出直前である場合。当該国で一定期間有効な、ある患者グループに対して compassionate use(人道的使用)に関する申請書を規制当局に提出する[フランスとイタリアでは cohort temporary regulatory approval (コホート一時規制承認:ATU)と呼ぶ]、あるいは
2. 医師が規制当局に対して、当該国での特定の患者に特定の機関有効な nominative approval を求める。法制度に違いがあるため、EMEA チャートに示されているように、希少疾患用医薬品へのアクセスの容易さと迅速さは、欧州25カ国で一様ではない。

規則(EC) No 141/2000:希少疾患用医薬品の排他的販売期間に関する審査の申請に関する2008年ガイドライン(2008年9月)には、希少疾患用医薬品の排他的販売期間の審査の一般原則と手順が示されており、6年まで短縮される可能性がある。

世界の他の地域での希少疾患用医薬品の方針に関する情報、米国、日本、オーストラリア、シンガポール、および第三世界での希少疾患用医薬品、および世界の比較についての詳しい情報が、Orphanet あるいは OrphanXChange 上にある。

• **2006年6月26日委員会新規報告:5年間での22種の新規希少疾患用医薬品**

5年間に、欧州委員会、欧州医薬品庁(EMEA)ならびに加盟国は、がん、代謝疾患、免疫、心血管疾患ならびに呼吸器疾患の分野で、希少疾患用医薬品の研究、開発、市販を行うために、製

薬業界にインセンティブを提供してきた。通常のマーケットの状況であれば、そのような医薬品は開発されなかったであろう。2006年6月26日付けの報告では、希少疾患用医薬品に対するEUの政策が機能していることが示されている。2000年4月から2005年4月の間に、インセンティブプログラムによって、450もの医薬品が希少疾患用医薬品の指定申請を受けることになった。20の異なる生命に危険を及ぼす、あるいは慢性的に重症の希少疾患の治療のための、最初の22種の新規希少疾患用医薬品がすでに市販承認を受けている。加えて、およそ270件の医薬品がすでに希少疾患用医薬品の指定を受けているが、まだ臨床試験の実施段階である。

5年報告およびその他の情報については、希少疾患用医薬品に関する規則(EC) No 141/2000の適用結果として経験した経験および、得られた公衆衛生上のベネフィットに関する委員会スタッフワーキングドキュメントを参照のこと(規則(EC) No 141/2000のArticle 10をもとにした文書)。

- 欧州委員会ならびに加盟国のインセンティブ目録

EUで希少疾患用医薬品に適用されるインセンティブの目録を欧州委員会が作成している。

希少疾患用医薬品の研究、販売、開発、供給を支援するための欧州委員会ならびに加盟国のインセンティブ目録(Rev. 2005) (欧州委員会)を参照

([http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/inventory\\_2006\\_08.pdf](http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/inventory_2006_08.pdf))

- 欧州における希少疾患用医薬品に対する不平等アクセスに関する Eurordis 調査

Eurordis (欧州希少疾患機構)は欧州での希少疾患用医薬品の利用可能性に関する第四回調査の結果を2008年1月に発表した。この調査は、希少疾患用医薬品に対する患者の実際のアクセス状況について調べ、状況の改善策を見つけることを目的としていた。この調査は、拡大前の25 EU諸国ならびにアイスランド、ノルウェイ、スイスで2006年1月1日以前に承認された22種の希少疾患用医薬品をカバーしていた。この調査から希少疾患用医薬品に対する患者のアクセスは、患者が住んでいる国によって異なることが示されている。希少疾患用医薬品の指定や、プロトコール支援、市販承認は、中央で一括されて処理されるものであるが、医療技術評価(HTA)ならびに価格や健康保険適用についての判断は、まだそれぞれの加盟国に任されている。

欧州における希少疾患用医薬品に対するアクセスに関する Eurordis 第4回調査の結果を参照

(<http://www.eurordis.org/IMG/pdf/2007ODsurvey-eurordis.pdf>)

- 小児用医薬品

小児用医薬品に関する欧州議会規則(EC) No 1902/2006ならびに、欧州理事会2006年12月20

日規則改訂 1901/2006 は、小児に対して使用するよう特別に合わせて承認を受けた医薬品の利用可能性を高めるとおう主な目的の一つを満たすよう法制の枠組みを確立することを目的としている。規則には以下の内容が含まれている:

1. 欧州医薬品庁 (EMA)に新しい組織、小児委員会を設立する;
2. 新製品や患者保護で依然としてカバーされている製品の市販承認のある種の変更に関して;
3. 小児研究プラン(PIP)に基づく小児データの必要性
4. 終了した PIP から得られた情報が、製品特性サマリーに盛り込まれた場合には、補助保護証明書を6ヶ月延長;
5. 終了した PIP から得られた情報が、製品特性サマリーに盛り込まれた希少疾患用医薬品については、排他的販売の2年間延長。

希少疾患用医薬品委員会—小児用医薬品 参照

(<http://www.emea.europa.eu/htms/human/paediatrics/introduction.htm>)

出典: EUROPA (> European Commission > DG Health and Consumer Protection > Public Health > Threats to health > Rare diseases)

[http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/rare\\_6\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_6_en.htm)

### 2.3.12 希少疾患に関する EU の他の活動:

#### 希少疾患の治療法の研究ならびにヒト組織エンジニアリング製品

研究、テクノロジー進展ならびに実証活動に関する第6次フレームワークプログラム(2002-2006) (FP6) 7つのFP6 優先テーマの一つで、「健康に関するライフサイエンス、ゲノミクス、バイオテクノロジー」に関するプロジェクトを支援している。この優先テーマになったことで、ゲノム情報をヒトの健康に応用する能力を探る集学的基礎研究が刺激され、活動が維持される。応用の領域では、基礎知識を応用段階に移行させる研究(翻訳的アプローチ)に重点がおかれ、欧州レベルでの医療の実際の一貫し調和のとれた進歩を可能にし、クオリティーオブライフが改善されることを意図している。この優先事情は2つあり、そのうちの1つは、重大な疾患に対する戦いであり、以下のものを含む:

1. 心血管系疾患、糖尿病ならびに希少疾患:欧州での死亡や不健康の重要な原因の予防と管理法を改善し、希少疾患と戦う欧州の研究リソースをプールすること;
2. FP6 の中間時点で、29 のプロジェクトが契約し、総予算は約1億ユーロであった。
3. 抗生物質その他の医薬品に対する耐性;

4. 神経系疾患と戦うための脳研究;
5. ヒトの発生と加齢プロセスに関する研究。

FP6 が支援した ERA-NET プロジェクトは、共同研究活動や多国間活動の構築に関する RD (E-Rare) のためのものである(国内プログラム、RD に関する国内研究プログラム間のギャップならびに重複の特定)。E-Rare では、加盟国パートナー間の持続的長期的な協力関係を構築し、RD に関する研究の分断化を克服し、集学的アプローチを促進するため、国内研究プログラムのコーディネーションを行い、参加国の国内ならびに(もしくは)地域の研究プログラムの間のハーモナイゼーションを行い、共同活動を育成し、RD に関する共通の研究方針を作成し、北米やアジアなどの世界の他の地域での RD の調査に関する競走で有利な立場を保持することを期待している。

- 先の欧州共同体フレームワークプログラム(FP5)

研究、テクノロジー進展および実証活動に関する先の欧州共同体フレームワークプログラム(FP5)は、4 つのテーマプログラムと 3 つの広範囲の水平プログラムに分かれていた。テーマプログラム「クオリティオブライフの向上ならびに生活のためのリソースの管理」では、中でも、希少疾患領域での基礎研究と臨床研究に資金助成することに主眼が置かれていた。希少疾患の他国間研究に支援がなされ、最新テクノロジーを診断、治療、予防、ならびに疫学研究を通じたサーベイランスに適用された。45 件のプロジェクトが総額 6200 万ユーロの支援を受けた。

このプログラムに関する情報は、希少疾患研究の領域への Cordis 共同体支援プロジェクト 1998-2002 に記載されている

([ftp://ftp.cordis.europa.eu/pub/lifescihealth/docs/reprint\\_rec48300\\_rare\\_dis\\_060207.pdf](ftp://ftp.cordis.europa.eu/pub/lifescihealth/docs/reprint_rec48300_rare_dis_060207.pdf))

- 欧州共同体フレームワークプログラム(FP7)

第 7 次フレームワークプログラムの提案は、協力、アイデア、人々、能力の 4 つのエレメントから構成され、同時に SME の支援、国際協力、研究の EU 政策への貢献、ならびに社会への影響の検討を含めることなどの、クロスカットな問題点が示されている。希少疾患の研究は、健康の見出しのもの、「協力」のエレメントに提案された 9 つのテーマの一つである。協力プログラムは EU 内および世界の他の地域との大学、産業界、研究センター、行政機関の協力関係を支援することで、重要な科学、テクノロジー領域のリーダーシップを獲得するようデザインされている。特に、FP7 での希少疾患の研究は、自然史、病態生理に関する汎欧州的研究と、予防、診断、治療法の開発に主眼が置かれることになろう。このセクターには、好発疾患の希少メンデル遺伝型表現型が含まれる予定である。

「アイデア」プログラムでは、全く新しいアプローチがとられることになっている。年間活動プログラムの準