

中の新薬を待望する声もある一方で、病態特異的な分子標的薬が必要との意見や神経の髄鞘再生を促すなど新しい基軸の治療方法に期待する意見も聞かれた。これらの意見は病態解明が進んできている中で、近年開発された免疫療法をきっかけに治療方法の拡大への期待が表れている結果と考えられる。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 治療法が出てきたが、患者にとってはまだ不十分と思われるので、さらに治療法の実用化が望まれる
- ・ 初期には免疫療法に反応する様に感じるが、長期的には、(一部の軽症例を除き) 十分な ADL、QOL を維持できなくなる場合も多い
- ・ 新規免疫治療は安全性の問題があり、解決が望まれる
- ・ 我が国でも患者数が増加しつつあり、それを抑制する方策が必要である
- ・ 若年層に多く、発病後、離職、離婚などを余儀なくされ、生活に困窮する患者も少なくない。本疾患罹患者が通常の世界生活を営めるよう、根本的治療が期待される

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 病態特異的な分子標的薬が必要 (2 件)
- ・ 免疫学的治療の実用化を図る必要がある
- ・ 新規の免疫治療が次々に開発されており、治療選択が増えるのは望ましい
- ・ 病態の解明が進んでおり、諸外国では続々と新規治療薬が開発されている。諸外国で臨床応用されている生物学的製剤などの日本への速やかな導入が期待される
- ・ 神経の髄鞘再生を促すなど新しい基軸の治療方法の開発が必要

14. 慢性疼痛

9 名が選択し、そのうち 7 名から意見があった。新規治療法開発が急務と考える理由としては、治療薬の効果がまだ満足できるものではないこと、潜在患者が予想よりはるかに多いことが挙げられた。

開発に向けた具体的な方策としては、直接的な減痛治療と並行して、心理社会的な研究をしてはどうかとの意見があった。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 現行の治療法の効果が不十分
- ・ 慢性疼痛患者に対しては鎮痛剤、抗うつ剤などいろいろ使われているが、長期的効果について満足できる薬剤がない
- ・ 患者自身にとって疼痛はもっとも苦痛であり、プレガバリン、SNRI より有効な薬剤の開発が望まれる

- ・ 難治性慢性疼痛患者は潜在的に予想をはるかに超え多い
- ・ 疾患概念としてどうかという考え方はあるが、線維筋痛症などは現在の治療薬ではほとんど無力に近い

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 個の閉鎖系で苦しむ方への救済として、直接的な減痛治療と並行して、psychosocial な背景をより重点的に研究するところから、治療的アプローチの開発を広く行うことがよい
- ・ 創薬標的、予防医学、バイオマーカー、画像診断

15. 封入体筋炎

8 名が選択し、そのうち 6 名から意見があった。新規治療法の開発が急務と考える理由としては、有効な治療法がないこと、患者数が今後増加するとの意見が複数あった。開発に向けた具体的な方策としては、疾患の認知度の向上、筋の再生が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 有効な治療法がない（3 件）
- ・ 高齢者の炎症性筋疾患ではもっとも頻度が高く、さらに患者数も増加しているが、全く治療法がない
- ・ 高齢者に多い疾患で、今後は患者数が増加すると思われる

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 様々な角度から病態機序が研究されている。知名度・診断率を上げて治療薬候補の試験を進める必要がある
- ・ 経過は緩徐であり、筋の再生が上回る治療薬がほしい

16. ミトコンドリア異常症

8 名が選択し、8 名全員から意見があった。新規治療法の開発が急務の理由として、若い患者が多く、疾患原因となる遺伝子が明らかになりながら、根本的かつ有効な治療法があまり開発されていない現状がある。今後、ミトコンドリア機能回復をターゲットとした iPS 細胞移植などを利用した治療、抗酸化治療への期待、タウリンなどの臨床試験を全国規模で検討など、新薬開発への加速が望まれている。また、パーキンソン病など他疾患にも応用できる可能性も期待されている。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 疾患関連遺伝子が明らかになりながら、根本かつ有効な治療法がない（6 件）

- ・ 若い患者が多い

開発に向けた具体的な方策等

- ・ ミトコンドリア機能回復をターゲットにした治療（2件）
- ・ iPS細胞移植を利用した治療法
- ・ 抗酸化療法
- ・ 臨床試験が予定されているタウリンなどの新規薬剤の効果を全国規模での検討

その他

- ・ パーキンソン病など多くの神経疾患の治療応用への期待

17. HTLV-1 関連脊髄症

7名が選択し、7名全員から意見があった。新規治療法の開発が急務の理由として最も多かったのは、有効な治療法の欠如に関する意見であり、回答者の7割以上が挙げていた。実臨床で使用されている薬剤は根本治療法ではなく、副作用や無効が理由で中断すると、元の状態に戻ってしまう実態が指摘されていた。次いで多かったのは、新規治療法開発への期待についての意見で、同定された原因ウイルスをターゲットにした治療法の開発や、疾患データベースを活用した新しい取り組みなど、具体的な期待が示された。疾患の重要性に関して、患者数が日本で比較的多いことに関する指摘があった。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 原因ウイルスが同定されているにも係らず有効かつ根本的な治療法がない（5件）
- ・ ステロイド無効例に対する有効な治療薬がない
- ・ 既存の治療で一時的に改善がみられるが、副作用などが問題で治療が継続できない
- ・ 我が国に比較的患者が多い

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 新規 HTLV-1 の治療薬の開発
- ・ 分子標的薬の開発
- ・ 疾患データベースとバイオマーカー探索に基づいた新しい治療法への試み

18. 視神経脊髄炎

6名が選択し、そのうち5名から意見があった。新規治療法開発が急務の理由として、患者数が多く症状も重症である、PSL（プレドニゾロン）の少量投与が再発予防として保険適用されているが、治療の満足度が得られていない現状が指摘された。現在、病態の解明が進んでおり、PAI-1（plasminogen activator inhibitor-1）阻害薬などの研究開発が進

行しているが、さらに生物学的製剤の導入や分子標的治療の開発が期待される。

新規の治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 患者が多い（3 件）
- ・ 失明や四肢麻痺などの後遺症も重度であり、発症予防に免疫抑制剤、保険適用の再発予防薬は PSL 少量投与のみで、症状の再発を抑える特効薬がない（3 件）

開発に向けた具体的な方策等

- ・ PAI-1 阻害薬など、現在研究開発を進行している
- ・ 臨床的に有用と思われるタクロリムスの治験実施
- ・ 抗 AQP4（アクアポリン 4）抗体陽性視神経炎を対象に行われている免疫グロブリン大量療法への期待
- ・ 病態の解明が進んでおり、生物学的製剤の導入や分子標的治療の開発

その他

- ・ 治験の推進、研究費の増額が必要

19. 片頭痛

7 名が選択し、7 名全員から意見があった。新規治療法開発が急務の理由としては、潜在する患者が多く、また生産年齢の患者が多いため経済損失が大きいことや、片頭痛の受診者の中でも難治かつ健康寿命が短縮している慢性患者が増加していることが挙げられた。具体的な方策として、これらの患者は十分な治療結果も得られず、治療薬トリプタンの無効な患者もいることから、新たな治療法や、頓挫薬と的確な予防薬の開発が望まれている。また慢性片頭痛に対しては、CGRP（calcitonin gene-related peptide）抗体、ボツリヌス毒素、神経刺激療法など研究段階の実験的治療法や、脳内病変などの解明とともに、神経原性炎症、脳内の痛みの感作に関与する物質の同定と治療薬の開発が望まれている。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 潜在する患者が多い（5 件）
- ・ 生産年齢の患者に多く経済損失が大きい、QOL に与える影響および ADL を大きく阻害している（4 件）
- ・ 難治かつ健康寿命を短縮している慢性片頭痛の受診者が増加している（3 件）
- ・ トリプタンの導入により大きく治療成績が改善しているが、十分満足すべき結果が得られていない。トリプタンが無効な患者がいる（3 件）

開発に向けた具体的な方策等

- ・ トリプタン以降の新たな治療法の開発（3 件）
- ・ 頓挫薬と的確な予防薬の開発（2 件）
- ・ 慢性片頭痛に CGRP 抗体、ボツリヌス毒素、神経刺激療法など研究段階の実験的治療法への期待
- ・ 脳内病変などの解明とともに、神経原性炎症、脳内の痛みの感作に関与する物質の同定と治療薬を開発

その他

- ・ 啓発活動が必要

20. 慢性炎症性脱髄性多発神経炎

6 名が選択し、そのうち 4 名から意見があった。新規治療法開発が急務の理由として、現在の治療法の効果が不十分で、初期には免疫療法によって回復する傾向がみられるが、長期的には、十分な ADL、QOL の維持ができない状況にあることが挙げられた。具体的な方策としては、生物学的製剤の導入や、分子標的治療の開発、既存治療に抵抗性を示す難治例に対する新規治療、適応外治療である程度の効果が得られている強力な免疫抑制薬の保険適用の促進が期待されている。また、電気生理学的診断以外の判りやすいバイオマーカーが望まれている。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 治療法の効果が不十分（2 件）
- ・ 初期には免疫療法によって回復する傾向がみられるが、長期的には、十分な ADL、QOL の維持ができない

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 生物学的製剤の導入や、分子標的治療の開発（2 件）
- ・ 既存治療に抵抗性を示す難治例に対する新規治療
- ・ 強力な免疫抑制薬の適応外治療で、ある程度の効果が得られており、これらの薬剤の保険適用の促進
- ・ 電気生理診断以外の判りやすいバイオマーカーが必要

その他

- ・ 恐らく多くの病態が入り交じっており、疾患概念が混沌としている

21. てんかん

6 名が選択し、6 名全員から意見があった。新規治療法の開発が急務の理由として、患者の約 30%は薬剤治療抵抗性の難治性であり、患者数が多く、かつ社会的損失の大きいことが指摘された。また、高齢化に伴い高齢者てんかんが大きな問題となっている。具体的な方策としては、新しい作用機序の抗てんかん薬の開発だけではなく、頭蓋内電極による大脳刺激療法の臨床応用やベッドサイドで簡便かつ正確に発作焦点を特定できるデバイスの普及、焦点発作に特異的な非侵襲的な治療法などが望まれている。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ てんかん患者の約 30%は、難治性てんかん（薬剤治療抵抗性）である。日本には約 30 万人の難治性てんかん患者が存在しており、患者数の多さからも新規治療法の開発が望まれる
- ・ 神経疾患の中で common disease であるとともに、高齢社会とともに高齢者てんかんは大きな問題である
- ・ 難治性てんかん患者の救済は医学的のみならず社会的にも長期のケアとそのコストは社会的損失に大きく影響する
- ・ 社会的にもてんかんコントロールを良好にすることが必要（2 件）

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 現在の抗てんかん薬は、一部のイオンチャネルに作用する薬剤であり、新しい作用機序（たとえば K チャネルに作用する薬剤）の創薬が必要である
- ・ 頭蓋内電極による大脳刺激療法の臨床応用が期待される
- ・ ベッドサイドで簡便かつ正確に発作焦点を特定できるデバイスの普及
- ・ 焦点発作に特異的な非侵襲的な治療法の開発
- ・ 抗てんかん薬の適応拡大

22. 遠位型ミオパチー

5 名が選択し、5 名全員から意見があった。新規治療法の開発が急務と考える理由として、根本的治療法の必要性が挙げられた。具体的な方策としては、シアル酸補充療法への期待と課題や、病型のタイプ別の病態解明と併せて筋幹細胞再活性化の機構解明の検討の必要性が指摘された。さらに、産学共同での筋活動補助デバイスの開発についても挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 動物モデルでは治療に成功しており、治療薬開発の可能性はある（2 件）
- ・ 根本的治療法の開発が必要

開発に向けた具体的な方策等

- ・ シアル酸補充療法の治験が実施されているが、患者数が少ないために苦戦している。研究開発の促進とともに、早期の許認可に係る行政機関への働きかけが望まれている
- ・ ミオパチー全体について、個々の病態解明と並行して、筋幹細胞再活性化のメカニズムを解明し筋再生促進の方策を考える
- ・ 個々の病変分布に応じて、きめ細かい筋活動補助デバイスの開発
- ・ 産学共同での研究開発

23. 脳出血

4 名が選択し、そのうち 2 名から意見があった。新規治療法の開発が急務の理由として、患者数も多く予後が極めて悪いため、社会的損失が大きいことが指摘された。また、発症直後の ADL 改善につながる治療法が開発が望まれている。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 社会的損失が大
- ・ 患者数が多く、予後が極めて悪い

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 発症直後の ADL の改善につながる治療法の開発

24. 細菌性脳炎・脊髄炎

4 名が選択し、4 名全員から意見があった。新規治療法の開発が急務の理由として、致死経過をたどることが多く、重篤な後遺症が残存する疾患であることや、抗生剤治療があるが、予後が不良で十分な治療効果が得られていないことが挙げられた。具体的な方策としては、髄内のサイトカインをターゲットにした治療薬の開発、髄内での動態（移行）に関する研究の必要性、抗菌薬治療に加えて併用される保護的治療の開発や、予防接種の段階からの対策が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 致死経過をたどることが多い（2 件）
- ・ 重篤な後遺症が残る
- ・ 抗生剤治療があるが、まだまだ予後不良で十分な治療効果が得られていない

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 髄内のサイトカインを直接抑制するような機序の治療薬が望まれる

- ・ 好中球エラスターゼを抑制する薬剤は肺をターゲットには開発されているが、ヒトでの髄内での動態（移行）に関する研究の必要性
- ・ 抗菌薬治療に加えて、併用される保護的治療の開発が望まれる
- ・ 予防接種の段階での対策

その他

- ・ 薬剤のコストと DPC（診療群分類別包括制度）の価値が釣り合っていない

25. ハンチントン病

4 名が選択し、そのうち 3 名から意見があった。新規治療法開発が急務の理由として、疾患の重篤性、常染色体優性遺伝の影響の大きさと、現在、対症療法しかないことから根治療法を望む意見があった。具体例としては遺伝子治療が挙げられた。治験における患者の協力体制を期待するという意見もあった。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 有効な治療法がない
- ・ テトラベナジンは不随意運動の抑制であって、病態、病勢を変化させる薬剤ではない
- ・ 疾患の本質にかかわる治療薬が具体化しているわけではないが、疾患の重症さと常染色体優性遺伝の影響の大きさから急務と考える

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 遺伝子治療が期待できる
- ・ 2013 年 2 月のテトラベナジンの承認は、患者や家族にとって意義深かった。これは、単に症候の軽減薬という意味だけではなく、将来、disease modifying な治療薬でも、同様に治験に応じられる患者側の体制があることを示唆している

その他

- ・ ポリグルタミン病であり、原因はポリグルタミンの蓄積である

26. アミロイドーシス

4 名が選択し、そのうち 3 名から意見があった。新規治療法開発が急務の理由として、肝移植以外に有効な治療法がないこと、生命予後にも関わる慢性進行性の難病であることが挙げられた。開発に向けた具体的な方策としては、難溶性のアミロイドを水溶性に変化させる手立てを考案する必要性が挙げられた。発売予定の新規治療薬の効果について、臨床データを集積することが今後有用であるとの意見もあった。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 肝移植以外に方法があまりない
- ・ 起立性低血圧、下痢などの慢性進行性の難病である
- ・ 有効な治療法がない全身性疾患であり、生命予後にも関わる

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 難溶性のアミロイドを水溶性に変化させる手立てを考案する必要がある
- ・ 新規治療薬が近日発売予定であるため、その効果について追跡調査を行い、臨床データを集積し解析することが有用

27. 血管性認知症

4 名が選択し、そのうち 3 名から意見があった。新規治療法の開発が急務の理由として、発症・進行機序が十分解明されておらず有効な治療に乏しいこと、社会的損失が大きく患者数も増加傾向にあることが挙げられた。開発に向けた具体的な方策として、脳血管障害との因果関係についてさらに検討すべきとの意見があった。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 頻度の高い病態だが、詳細な発症・進行機序が十分解明されておらず、また有効な治療に乏しい
- ・ 社会的損失が大きい
- ・ 根本的治療薬がない現状において、患者数増加という状況を考えると急務である

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 脳血管障害との因果関係についてさらに検討すべき

28. 起立性低血圧症

4 名が選択し、そのうち 3 名から意見があった。新規治療法開発が急務の理由として、適応とする薬剤はあるが十分な効果が得られていないことが挙げられた。開発に向けた具体的な方策として、原因疾患の病態分析、創薬標的の発見、バイオマーカーや画像診断、予防法の開発が求められている。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 適応薬剤があるが、十分な効果が得られていない

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 創薬標的、予防医学、バイオマーカー、画像診断

- ・ 多彩な原因の病態分析と有効な治療の開発が必要

29. 球脊髄性筋萎縮症

3 名が選択し、3 名全員から意見があった。新規治療法の開発が急務の理由として、現在、保険適用可能な治療法がないことが挙げられた。一方で、メカニズムが判明しているとの意見もあり、開発に向けた具体的な方策として、有効性が示唆されているホルモン療法に基づく治療法確立と保険適用を望む意見が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 疾患のメカニズムが判明しており、治療法の開発は他の遺伝性疾患治療の糸口となる可能性も秘めている
- ・ 現時点では保険適用されている有効な治療法がない

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 基礎研究で示されたホルモン療法の効果が、臨床試験についても一部示唆されている

30. 重症筋無力症

3 名が選択し、3 名全員から意見があった。新規治療法開発が急務の理由として、現在の治療法（免疫療法、ステロイドの長期使用）が十分でないことが指摘された。開発に向けた具体的な方策として、新たな免疫療法や病態に特異的な分子標的薬や生物学的製剤の開発が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 強力かつ速効性に免疫療法を行っても、患者の 1/4 は十分な QOL に到達しない。また、ステロイドの長期連用にて副作用も多くみられる
- ・ 現在の治療法では、難治例が多い

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 病態に特異的な分子標的薬や生物学的製剤の開発が必要
- ・ 有望な免疫療法

31. 痙性麻痺

3 名が選択し、3 名全員から意見があった。新規治療法の開発が急務の理由として、脳血管障害の後遺症として多く、他の疾患でもしばしば見られるため患者数が多いが、現状の治療法には効能に限界があることが挙げられた。開発に向けて、治療のガイドライン作成、バイオマーカーの確立が必要であるとの意見が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 患者数が多い
- ・ 脳血管障害後遺症として多く、他の疾患でもしばしば見られるので、患者数が非常に多い
- ・ リハビリと抗痙縮薬はあるが、効能に限界がある。ITB（バクロフェン髄注療法）が導入されて少し改善した
- ・ 現在有効な根治療法がない

開発に向けた具体的な方策等

- ・ バイオマーカーの確立が治験にあたり必要である
- ・ 治療ガイドライン作成が求められる
- ・ ボツリヌス療法など対症療法は進歩しているが、装具や器械補助による運動能力向上が患者の QOL を大きく高める

32. ギラン・バレー症候群/フィッシャー症候群

2 名が選択し、両名から意見があった。一般に予後の良い疾患と考えられている。しかし、後遺症を残す例もあることから、先行感染に対する取り組みが必要との意見が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 免疫グロブリン大量療法が著効しても後遺症を残すことが多い
- ・ 後遺症を残さない治療法が不十分

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 先行感染に対する取り組みが必要

33. POEMS 症候群

2 名が選択し、両名から意見があった。保険適用の薬剤がなく、治療指針も存在しない現状であり、開発に向けた要望としては、サリドマイドなどの保険収載が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 保険適用の薬剤そのものがない
- ・ 治療指針が存在しない

開発に向けた具体的な方策等

- ・ サリドマイドなどの保険収載

34. 糖尿病性ニューロパチー

2 名が選択し、両名から意見があった。有効な治療薬、原因療法がない現状で、治療ガイドラインの整備も必要との意見が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 効果のある治療薬がほとんどない
- ・ 患者数は多い疾患であるが効果的な原因治療がない
- ・ 現状における治療ガイドラインの整備も必要

35. ライソゾーム病/ペルオキシソーム病

2 名が選択し、両名から意見があった。遺伝子治療の検討も必要との意見が挙げられた。

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 単一酵素の障害による疾患も含まれており、遺伝子治療などの検討も必要である
- ・ 遺伝子治療が期待できる

36. 睡眠障害

2 名が選択し、両名から意見があった。睡眠薬の頻繁な使用が逆に害をなしている、対処的治療になりがちで慢性化しやすいとの意見が挙げられた。開発に向けては、個々の病態を明らかにすることによる選択的・特異的治療の可能性が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 高齢者の睡眠障害に頻繁に使われる睡眠薬、安定剤が逆に害をなしている
- ・ 睡眠障害を含め、頭痛、めまいその他 common disease に対しては対処的治療になりがちで慢性化しやすい

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 個々の病態を明らかにすることで選択的・特異的治療が可能になれば、通院・投薬の長期化を防ぐことができないか

37. ジストニア

2 名が選択し、そのうち 1 名から以下の意見があった。

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 書痙などは、日常生活、社会生活に大きな障害、支障を与える。しかし、ボツリヌス毒素療法は痙性斜頸に限定されており、書痙などには適応が認められていない。また、施注技術が他のジストニアよりも高度で難しいため、施注技術を含めてボツリヌス毒素療法の適応拡大が望まれる。

38. くも膜下出血

1 名が選択したが、意見の記載はなかった。

39. ウイルス性脳炎・髄膜炎

1 名が選択したが、意見の記載はなかった。

40. 真菌性脳炎・脊髄炎

1 名が選択したが、意見の記載はなかった。

41. 多発筋炎/皮膚筋炎

1 名が選択し、以下の意見があった。長期的には十分な QOL を維持できなくなるケースが多く、開発に向けては、病態特異的な分子標的薬が必要との意見が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 初期には免疫療法に反応するように感じるが、長期的には（一部の軽症例を除き）十分な ADL、QOL を維持できなくなる場合も多い
- ・ ステロイド長期連用の副作用も多くみられる

開発に向けた具体的な方策等

- ・ おそらく多くの病態が入り混じっており、筋病理診断と血清学診断の両者間で見えているもの、疾患概念が違う。病態特異的な分子標的薬が必要

42. 神経サルコイドーシス

1 名が選択し、以下の意見があった。

開発に向けた具体的な方策等

- ・ ステロイド治療以外の免疫抑制剤などのエビデンスの確立に期待したい

43. 傍腫瘍性神経症候群

1 名が選択したが、意見の記載はなかった。

44. 正常圧水頭症

1 名が選択し、以下の意見があった。

- ・ 髄液排除により効果を示さない群が存在する。結果は出ていないが、我々の施設では、効果を示す群と示さない群の違いを MRI、SPECT を用い比較しその特徴を検討する研究を進めている

45. 神経因性膀胱

1 名が選択し、以下の意見があった。高齢社会が進み患者数の増加が予想されるが、効果的な治療法が少ない。開発に向けては、病態機序の解明が重要との意見が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 多くの神経疾患で認められて QOL の障害の一因となっている
- ・ 高齢社会が進むにつれて患者数が増加することが考えられるが、効果的な治療法が少ない

開発に向けた具体的な方策等

- ・ 神経因性膀胱の機序の解明と治療検討
- ・ 産学連携の治療開発が必要

46. 眩暈

1 名が選択し、以下の意見があった。空間識失調に対する薬剤はあるが、眩暈に対する有効な薬剤がないとの意見が挙げられた。

新規治療法の開発が急務と考える理由

- ・ 患者数が多い
- ・ 空間識失調に対する薬剤はあるが、眩暈に対する有効な薬剤がない

(8) 自由意見

85 名から 101 件の回答があった。7 つのカテゴリーに分類したところ、最も多かったのは「行政への意見・要望」(43 件)であり、以降「各機関の連携やシステム構築に関する意見・要望」(15 件)、「大学や研究所への意見・要望」(13 件)、「製薬会社への意見・要望」(11 件)、「学会への意見・要望」(10 件)、「ドラッグ・ラグに関する意見・要望」(5 件)、「その他の意見・要望」(4 件)であった。

1) 行政への意見・要望

行政への意見・要望で最も多かったのは「予算・研究費に関する意見・要望」(11 件)と「臨床試験に関する意見・要望」(11 件)であった。「行政による支援、主導プロジェクトなどに関する意見・要望」も 8 件あった。

1)－a 予算・研究費に関する意見・要望 (11 件)

- ・ アメリカの NIH 並みの研究費を国が設定する。
- ・ 国として研究への予算の充実を図る必要がある。
- ・ 研究費の使途について、ある程度の範囲で翌年繰越を可能にする、他の研究費との合算を認めるなど、より有効に使えるようにすべきである。
- ・ 研究費は研究者の給与も払えるようにすべきである。生活のために研究をあきらめざるを得ないこともある。
- ・ 治療法開発のためにはさまざまなアプローチを行い、研究の多様性を確保する必要がある。そのためには研究費を一局集中するのではなく、広く浅く基盤研究費を配分し、自由な研究を推進すべきである。
- ・ 希少な疾患の研究には資金援助が出にくいので、国が積極的に支援すべきである。
- ・ 国際競争に勝つような主要疾患の病態解明、創薬などの大きなプロジェクトは重要であるが、希少疾患の病態解明や創薬についての地道な研究にも予算配分が望ましい。
- ・ 希少難病の治療薬開発には公的研究費助成が不可欠である。研究期間が 3 年では継続性の点で問題がある。また医師主導治験を行うには研究費助成額がまだまだ少ない。医薬品の開発レベルになると、どうしても企業の力が必要になるが、その体制がまだまだ十分に整備されていない。
- ・ 行政は神経難病の治療薬開発に十分な予算を付けてほしい。
- ・ 神経疾患では患者数が多くても、予後が不良なために、一見、患者数が少なく見える疾患が多い。日本には優秀な神経関連の研究者は多くいるが、マンパワー不足や予算不足にも悩んでいるところは多く、製薬メーカーや行政の協力を得て、集中的に研究開発費を投入してもらいたい。
- ・ 学会が、行政、医薬品メーカー、大学など研究機関との橋渡しをできるぐらいの体力をつけられるよう、医師以外の officer を多数雇用できるように国が援助して欲しい。

現場の医師を抱えている学会が、最も現状を俯瞰できる立場にいると思う。

1)－b 臨床試験に関する意見・要望 (11 件)

- ・ 神経難病に対する新薬の開発から市販までの期間短縮を希望する。
- ・ 神経疾患は common disease と比較すれば、圧倒的に症例数が少ない。臨床治験などのハードルをもう少し下げてみても良いと思われる。
- ・ 治験のスピードを速めて欲しい。特に、PMDA の審査が遅いのに加え、認可する際の縛りが多すぎる。
- ・ 他の疾患で安全性が確認されていたり、海外での使用が認められている薬剤については、より迅速に適応拡大が可能と思われ、そのためのシステムやルール作りの構築をお願いしたい。
- ・ 基礎研究から治験までの道のりがまだ長い。安全性は必要であるが、学会からの提言も必要である。
- ・ 臨床試験の支援体制の整備、CRC（臨床研究コーディネーター）の育成、大学、国立病院や公立病院の治験センターの整備や CRC の配置が必要である。
- ・ アジア、米国、欧州などの治験のプラットフォームの設立も必要である。
- ・ 医師主導臨床治験を日本でも施行しやすくする環境を整えて欲しい。
- ・ 学会や行政は、適応外使用について調査し、医療現場の実情に応じて前向きに対応することが必要である。そのためには製薬会社の協力も必要である。
- ・ 既に薬剤が存在している場合には、同一疾患への同種同効薬の治験を制限すべき。そこにかかる時間、労力、人を他疾患で治療薬が手薄な分野に振り向けるべき。
- ・ 莫大な開発費のかかる新薬開発を政府が重点的に補助することの意義が大きい。新規に上市された新薬の投薬を 1 年間は 2 週間に限ることは、副作用などの観点を考慮した後の薬事審議会承認を無視するものであり、意味なく患者のメリットを大きく減らす行為であり是正が必要である。治験のあり方についても学会、製薬会社でその独立性を保つべき方向性が示されるべきである。

1)－c 行政による支援、主導プロジェクトなどに関する意見・要望 (8 件)

- ・ 行政は、医療費抑制だけに働くのではなく、大学、研究機関、製薬会社に対して、新薬開発につながるような指導をお願いしたい。
- ・ 難病や希少疾患対策は、公的機関の initiative が重要と考えるので、積極的な関与をお願いしたい。
- ・ 希少疾患に対して、既存の薬剤が有効であるかもしれないとなったとき、製薬会社が臨床試験にかかわりやすくなるような国のサポートが望ましい。
- ・ 希少難治性疾患の研究も大事ではあるが、研究が分散しては疫学研究に終わってしまい、患者に対して治療開発というベネフィットが少ない。国民全体のことを考えると

有病率が高い common disease でかつ難治性疾患に対する大プロジェクトが必要ではないか。

- ・ 神経難病の治療薬の開発拠点を決めて、その拠点に対して集中的な資本を投資して整備を進めるべきである。
- ・ 神経疾患の新しい治療を目指すためには、基礎研究のなかでも、創薬を目指した研究を積極的に支援すべきである。特に知的財産権の獲得や産学連携の実現をサポートすること、さらにすでにそのようなステージにある研究を積極的に支援することが大切である。現在のように論文発表が第一目標となってしまうと、期待できる創薬シーズがあっても論文発表により公知となり、権利化できずそのまま埋もれてしまう。アカデミア発の創薬シーズをいかに産学連携につなげるかが今後の課題と思われる。
- ・ 行政、製薬メーカーがより重点を持って神経難病に対する治療開発を試みるべきである。一方、大学や研究機関はその病態解明を急ぐべきである。
- ・ ある程度対象を絞って資源を集中したほうがよい。5～10 年くらいの期間で評価をくだす。日本単独ではなく国際協力を考える。

1)－d 薬価、患者負担に関する意見・要望（4 件）

- ・ 新規医薬品が高額になるのは仕方がないが、薬価が高すぎると結局使えない患者もでてくる。
- ・ 新自由主義経済下、患者の自己負担がどんどん増えないようにお願いしたい。セイフティネットが保険会社による医療保険のサポートでは寂しすぎる。
- ・ すでに有効な治療薬があっても以下の理由で使用できない現状を放置して、どんどん新規の治療薬を開発することに予算を投ずるのは不公正である。①地域格差（有効な治療があっても享受できない患者はたくさんいる）、②薬価が高い。たとえば生物製剤などを慢性的に使用する際の負担の現状をもっと理解すべき。有効な治療薬があるにもかかわらず金銭的余裕がないために治療断念した結果、障害が遺ってしまうのは社会的な大きな損失である。現在進行形の難病対策の改革に大変な懸念がある。高額療養費制度での対応は不公正である。生活習慣病や喫煙が原因の肺がんなどへの対策と難病患者への対策を同じに考えるべきではないと強く感じる。
- ・ パーキンソン病は難病指定 3 以上の重症度でないと認定されない現状に不満がある。発症早期から治療介入していく必要があるが、治療薬が高価なためある程度の収入がないと困難な状態である。このため選択の幅が狭い。ADL 維持のためにデイサービスなどの介護サービスや、リハビリテーションが重視されているが、上記理由で認定されない限り、若年の場合、介護サービスも受けられない。薬剤が有効な数少ない変性疾患であり治療対象者を広げるためにも重症度にとらわれず認定してほしい。

1)－e 技術に関する意見・要望 (2 件)

- ・ 医師の技能、診断力などの個人的能力への評価が低い。特に、ボツリヌス毒素療法は、施注技術が高度であるため、現在の施注時の資格認定ではなく、施注技術に対する何らかの資格認定が必要と考える。資格に応じて、技術料の支払いがなされる必要がある。このことは、医師の評価として技術評価法の再検討を意味している。高度の技術を反映して、薬剤の治験開発が進むように思う。
- ・ 行政の許認可をもっとフレキシブルにすべき。だいぶ改善されたといっても、まだまだ日本初の技術を認めてもらうのは非常に困難（海外で実績があることが求められることが多い）。

1)－f その他の意見・要望 (7 件)

- ・ 後発品ばかりにとらわれず、新薬開発を産学共同で望む。
- ・ 薬剤は 15 年間くらいの特許期間があってもよい。すぐにジェネリックが出てしまうと、せっかく苦心して新薬を開発しても報われないから。さらに、患者数の少ない疾患に関する新薬開発が遅れると思われるため。
- ・ 各種遺伝性疾患の患者由来 iPS 細胞を多くの研究施設で利用できる環境が整備されるといい。
- ・ 細胞移植治療だけでなく、遺伝子治療を推進していただきたい。
- ・ 診療報酬を DPC で請求することで、大学病院など総合病院が外来診療中心、早期入退院を行っている。神経疾患では薬剤調整などを含めて困難な状況にあると思われる。入院治療、若手育成・教育から考えても早期に改善すべきと思われる。
- ・ 海外のメーカーが国内での利益を本国で使用しているので、国内での利益還元に何かよい方策はないか。
- ・ 大学の医師は忙し過ぎ、かつ、報酬があまりに安い。臨床・教育・研究それぞれを分業すべきである。

2) 大学や研究所への意見・要望

大学や研究所への意見・要望で最も多かったのは「研究体制に関する意見・要望」(8 件)であった。

2)－a 研究体制に関する意見・要望 (8 件)

- ・ 大学間の研究を強化する。縦割りや学閥の影響を排除する。
- ・ 今や、研究を各大学ごとにしている時代ではなくなって久しい。海外の多くの優れた論文は、久山町研究と同じレベルの内容を各疾患において、国中の症例を登録して解析して得られている。ビッグデータなしにこれからの医療研究は進まないため、大学、拠点病院を横断する、データベースの構築が今回挙げられた各疾患ごとすべてに必要な

と思われる。そのため、①入力を容易にする電子カルテの開発（今の電子カルテはどれも機能が貧弱すぎるため、データベース入力に割かれる医師の時間が膨大）、②MRIなど医療機器の互換性の向上、③医療補助事務スタッフ雇用の充実、彼らの教育体制の充実（膨大な事務作業が必要）、④髄液、血清、遺伝子などを長期間保存し、いつでも症例と突き合わせられるシステムの構築、が急務と考える。

- ・ 研究グループを疾患単位のみではなく、基礎医学研究者も含めて変性、炎症、機能性など病態を横断的に見渡せる研究グループの促進を促して欲しい。
- ・ 神経疾患およびその症候の病態機序の解明および治療法の開発に関して、分野横断的かつ専門的な研究体制（人材、研究費、設備など）の構築が重要と思われる。
- ・ 再生医療、遺伝子医療などを用いても、近い将来に（短時間で）神経難病に対する薬剤（特に発症・進行予防薬）が開発されるものとは思われない。臨床に根差した地道な臨床研究が望まれる。大学や研究所においては、個別に研究を行うのではなく、集約的な臨床研究体制の構築が望まれる。
- ・ 治療薬開発に向けて共同研究体制の整備、特に、臨床研究体制の整備が望まれる。全国協同研究体制を構築しないと、国際競争に立ち向かっていけない。これらの活動に向けて、財政的な支援も必要である。COI（利益相反）を明らかにし、オープンな活動で進めることが肝要である。制限が過ぎるとうまく進まないし、精度の高い臨床研究が進む体制の構築が必要である。
- ・ 治療法の開発には研究の重点化が必要で、幾つかの拠点を決めて、人材と研究費を集中するシステムが望まれる。その際どこを拠点とするかについてはきちんとした評価システムの構築が望まれる。一部のボスが研究費の配分を決めるようなことがあれば研究の進展はおぼつかない。人材の集中については研究機関の間での人材の移動がしやすい環境を整える必要がある。プロジェクト毎に機材が整っている施設にそれを活用できる人材が集中し、そのプロジェクトが終われば他へ移るようなキャリアパスができれば良いのではないか。施設間の移動が身分の不安定化になるようではこのようなことは実現できないと思われる。
- ・ 大学は、研究を主に行う組織に変えて行ったほうがよいと思う。

2)－b 研究対象に関する意見・要望（3件）

- ・ 神経変性疾患の多くは、オートファジー系の機能障害、toxic RNA など共通した分子機構があるので、そこに焦点を絞った研究は、複数の疾患の治療法として役立つ可能性がある。
- ・ 脳梗塞の治療に関しては、最近血栓溶解療法（t-PA）や新規血栓回収デバイスによる治療などの進歩が話題をよび、華やかではあるが、その恩恵を受けることのできる患者は脳梗塞患者のほんの一部分であり、大多数の患者に対する治療は旧態依然としていることを認識する必要がある。より根本的で、多数の患者のためになる治療法の開

発をめざし、動物実験や基礎的な研究を地道に積み重ねていく必要がある。

- ・ iPS 細胞を使った研究を早急に進めて欲しい。

2)－c その他の意見・要望 (2 件)

- ・ COI が厳密な意味では守られておらず、少なくともガイドライン委員は、中立な人選が必要である。
- ・ 神経疾患に関して、遺伝子検査や酵素活性測定、特殊な神経抗体の測定など多くの大学で施行されていると思うが、ホームページなどで探すのが難しく、大学ごとに依頼の方法が異なるため、できれば検査方法や依頼方法を統一していただけるとありがたい。CJD のプリオン病の診断シートなどは統一されていてさらに分かりやすかった。

3) 学会への意見・要望

学会への意見・要望で最も多かったのは「臨床試験に関する意見・要望」(7 件)であった。

3)－a 臨床試験に関する意見・要望 (7 件)

- ・ 学会には、臨床試験の支援、疾患毎の治験支援グループの整備、臨床試験に参加している医師に対するインセンティブ（脳卒中学会などの専門医更新単位の付与）を期待する。
- ・ 学会が中心となって臨床試験、registration の仕組みを作ることが必要である。正確な患者数や動向の把握、中立的な立場での臨床試験による治療法の開発を期待したい。
- ・ 日本神経治療学会は、症例報告や少数例のまとめに終わっているのが現状だが、医師主導の臨床試験など、もっとエビデンスを作る動きに出るべきである。
- ・ 学会主導で医師主導型臨床試験などを行うべき。臨床試験の質の担保が必要と思われる。ディオバンで失墜した日本の臨床試験の名誉回復が急務と思われる。
- ・ 学会主導の臨床治験を増やすために、システムの構築を希望する。
- ・ それぞれに相談するのではなく、神経疾患に関しては、日本神経治療学会がまとめ役となり、窓口を一本化できれば、協力してくれる医師も増え、軌道に乗ってくと思う。
- ・ 大学や研究施設では個々に治験をして、その情報をホームページに掲載しているが、神経内科疾患の治験に関しては学会でもまとめて、どのような治験をどこでやっているのか一目瞭然で分かるように日本神経治療学会のホームページに載せられないか検討して欲しい。

3)－b その他の意見・要望 (3 件)

- ・ 学会は、行政、製薬会社、医療機器メーカー、大学や研究所同士が、自由闊達にコミ