

患者数が特に少ない（遠位型ミオパチー等）希少疾病用医薬品
（ウルトラ・オーファンドラッグ）開発促進・支援のための
法整備等を求める意見書

遠位型ミオパチーは、体幹部より遠い部分から徐々に筋力が低下していく進行性の筋疾患で、国内400～500人ほどの希少疾病である。多くは20～30歳代で発症の後、手足の筋力から低下し、やがては寝たきりになる可能性の大きな病気である。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しているという深刻な状況におかれている。

この病気には、現在、有効な治療薬や治療法がなく、医薬品の開発が急務となっているが、患者数が特に少ない希少疾病用医薬品については、臨床試験の困難さや市場規模の小ささ等により開発が進まない現状がある。

よって、国においては、患者数が特に少ない希少疾病用医薬品の開発を促進・支援するため、速やかに次の措置を講ずるよう強く要望する。

- 1 患者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・支援するための法整備を行うこと。
- 2 遠位型ミオパチーをはじ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 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。

平成24年10月11日

衆 議 院 議 長
参 議 院 議 長 あ て
内 閣 総 理 大 臣
厚 生 労 働 大 臣

福島県議会議長 齋藤健治