

一日も早く薬を

若宮 有希（わかみや ゆき）

■プロフィール

中学では運動部に所属し普通に生活していたが、約10年前19歳の時に遠位型ミオパチーと診断される。現在は日常生活全般に介助を要するが何とかパソコンで仕事を続けている。

■要旨

遠位型ミオパチーは、体の中心部から遠い手先・足先から徐々に筋力が低下していく進行性の筋疾患です。多くは20代で発症し歩行困難となりやがて寝たきりとなります。

私が遠位型ミオパチーと診断されたのは、約10年前19歳の時でした。その時の病気の説明は、「原因・治療法は一切分からない、また特定疾患にも指定されていない」ということでした。

しかし2009年に遠位型ミオパチーの1つの型であるDMRVについて、日本の研究者が実験動物（マウス）で初めて治療効果を示しました。同時に患者数が推測で国内300人から400人とされる「超希少疾患」であるため、人での実用化に必要な治験の実施が非常に困難な状況であることを知りました。徐々に筋力低下が進行し車椅子生活になっていた身に、希望と失望の両極端の感情があふれ出てきました。

日本には日本発のウルトラオーファンドラッグ（超希少疾患の治療薬）開発が進められる環境が無いようです。希少疾患であっても未承認薬・適応外薬については数年の国の対策で開発環境が改善されてきていますが、全くの新薬については取り残されたままです。

2010年11月には第Ⅰ相治験がようやく開始され、治験実施施設であった東北大学病院が東日本大震災の直撃を受け治験中断を余儀なくされつつも無事終了しましたが、続く第Ⅱ相治験にも国の公的資金助成が不可欠です。民間の市場原理だけでは解決できない問題に対しては国が目を向けてほしいと思います。