

要望文

一般社団法人日本筋ジストロフィー協会(本部・東京)は、1968年の創立以来「一日も早く」をスローガンとして筋ジストロフィーの原因究明と治療開発の促進、並びに患者 QOL の向上のための活動をしてまいりました。このたび、官学産界の絶大なる尽力のおかげで日本初の筋ジストロフィーの遺伝子治療薬 NS - 065/NCNP 01 (ビルトラルセン)の国内製造販売の承認申請を行ったとの発表が 2019 年 9 月 26 日に日本新薬株式会社からありました。この新薬の治療対象となるのはデュシェンヌ型筋ジストロフィー遺伝子のエクソン 53 に変異がある患者だけで、デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者の 7.7%に過ぎません。さらに、デュシェンヌ型筋ジストロフィーは筋ジストロフィー全体の中の 1 割前後に過ぎず、筋ジストロフィーという病気の遺伝子治療には変異遺伝子ごとの治療薬の開発が必要となってきます。今後も、筋ジストロフィー治療には数多くの臨床治験研究が行われることとなります。

さて、現在行われている筋ジストロフィーの臨床治験では、治験前後の筋生検、経過中の運動機能をはじめとする種々なる生体検査が繰り返し行われています。このような検査は身体機能に障害があり、種々な内科的疾患も併発していることの多い患者にとっては大変な負担です。また、ただでさえ萎縮している筋肉を治験前後 2 回も採取するという事は患者にとっておおきな心身の外傷となっています。また、これらの検査はすべて病院で行われることとなりますから、身体機能の低下した患者には年余にまたがる通院という大きな難儀も常につきまといまいます。

IT 技術の進歩した現代社会では軽便な生体機能測定機器が健康グッズとして数多く出現しています。生体の生理機能測定にウェアラブル機器を使用して行う臨床治験が既にヨーロッパでは始まったと聞きます。また、医療工学の発達した現在、過酷な筋生検に代わる新しい検査方法 — 例えば質量分析計を利用するような方法 — が必ずあると考えられます。

以上のことを鑑み、私共日本筋ジストロフィー協会会員は、患者の負担の少ない、さらにより客観的に効果の判定ができる最新技術を使用した治験が「一日も早く」実現するよう官学産界に謹んで要望いたします。

一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会 臨床治験研究促進機構
理事長 貝谷久宣