

## 患者数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）開発促進・支援のための法整備等を求める意見書案

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あり、最近では遺伝子診断の進歩により国内1,000人とも推定される希少疾病である。多くは20～30歳代で発症の後、手足の筋力から低下し、歩行困難になるとともに、日常生活全般に介助を要し、やがては寝たきりになる可能性の高い病気である。

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。

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おり、もはや一刻の猶予も待てない深刻な状況にあることから、一日も早い治療法の確立が求められている。

よって、本県議会は、国において、下記の事項を早期に実現されるよう強く要望する。

### 記

- 1 患者数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。

以上のとおり、地方自治法第99条の規定により意見書を提出する。

平成 年 月 日

三重県議会議長 山本 教和

(提出先)

衆議院議長

参議院議長

内閣総理大臣

厚生労働大臣