

難治性疾患克服研究におけるパーキンソン病に関する研究成果

【神経変性疾患に関する調査研究班（主任研究者）へのアンケート】

（調査期日：平成18年5月）

1. 初代研究班発足から現在までの間の研究成果について（特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究事業として公表したもの。なお、原則他の研究事業等に依存していないもの。）

（1）原因究明について（画期的又は著しく成果のあったもの）

	時期 及び 班長名（当時）	内容	備考
1	1998 年度 田代邦雄	常染色体劣性若年性パーキンソニズム(ARJP)原因遺伝子 Parkin 発見	別添 (最終項) 1
2	2002 年度 葛原茂樹	常染色体優性パーキンソン病 (Park8, 相模原家系) 原因遺伝子座の決定	別添 (最終項) 2
3	2002 年度 葛原茂樹	孤発性パーキンソン病の発症リスク遺伝子多型の探索	別添 (最終項) 3
4	2005 年度 葛原茂樹	α - synuclein は孤発性パーキンソン病の感受性遺伝子である	別添 (最終項) 4

※他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

（2）発生機序の解明について（画期的又は著しく成果のあったもの）

	時期 及び 班長名（当時）	内容	備考
1	2000 年度 田代邦雄	Parkin 蛋白がユビキチンリガーゼであることの発見. 神経細胞内蛋白分解障害が発生機序であることを示唆.	別添 (最終項) 5
2			
3			

※他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

(3) 治療法（予防法を含む）の開発について

ア 発症を予防し、効果があったもの

	時期 及び 班長名（当時）	内容	備考
1			
2			
3			

※他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

イ 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

	時期 及び 班長名（当時）	内容	備考
1	2001 年度 田代邦雄	パーキンソン病の定位脳手術の適応と手技の確立に 関する多施設共同研究	別添 (最終頁) 6
2			
3			

※他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

ウ その他根本治療の開発についてもの

	時期 及び 班長名（当時）	内容	備考
1	2002 年度 葛原茂樹	MPTP 投与パーキンソンモデルザルに対するアデノ 随伴ウイルス(AAV)ベクターを用いたドパミン合成酵 素遺伝子導入治療	別添 (最終頁) 7
2			
3			

※他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

2. 「1」以外で、国内、国外を問わず、研究成果の現在の主な状況について

(1) 原因究明について (画期的又は著しく成果のあったもの)

	時期	内容	文献
1	1997年	常染色体優性遺伝パーキンソン病 (イタリア・ギリシャ由来) の原因遺伝子 α -synuclein の発見	別添 (最終項) 8
2	2002年	常染色体劣性遺伝パーキンソン病の原因遺伝子 DJ-1 の同定	別添 (最終項) 9
3	2004年	常染色体優性パーキンソン病 (相模原) の原因遺伝子 LRRK2(dardalin) の同定	別添 (最終項) 10

(2) 発生機序の解明について (画期的又は著しく成果のあったもの)

	時期	内容	文献
1	1998年	α -synuclein がレビー小体の主要な構成要素であることの証明	別添 (最終項) 11
2	2000年	ユビキチンリガーゼとしてのパーキン蛋白の基質として CDCrel-1 を同定	別添 (最終項) 12
3	2001年	パーキン蛋白リガーゼでパーキン代謝に関与する Pael 受容体を同定	別添 (最終項) 13

(3) 治療法 (予防法を含む) の開発について

ア 発症を予防し、効果があったもの

	時期	内容	文献
1			
2			
3			

イ 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

	時期	内容	文献
1	1967年	L-ドパ大量投与がパーキンソン病症状に著効することの発見	別添 (最終項) 14
2	1978年	ドパミンアゴニストがパーキンソン症状を改善することの確認と適用	別添 (最終項) 15
3	1993年	MAO-B 阻害薬のデプレニルが MPTP 中毒パーキンソンモデル動物の発症を防止することを発見	別添 (最終項) 16
4	1987年	脳深部刺激がパーキンソン症状を改善することの発見と治療法確立	別添 (最終項) 17
5	1990年	ヒト胎児中脳神経細胞のパーキンソン病患者脳への移植により症状が改善	別添 (最終項) 18
6	1994年	パーキンソン病患者脳への自己交感神経節移植による改善	別添 (最終項) 19
7	2001年	ヒト胎児脳移植の効果の検証	別添 (最終項) 20

ウ その他根本治療の開発についても

	時期	内容	文献
1	2000年	ES細胞からのドパミン分泌細胞への分化誘導	別添 (最終項) 21
2			
3			

【別添】

1. Kitada T, Asakawa S, Hattori N, Matsumine H, Yamamura Y, Minoshima S, Yokochi M, Mizuno Y, Shimizu N; Mutations in the parkin gene cause autosomal recessive juvenile parkinsonism. *Nature*. 392:605-608, 1998.
2. Funayama M, Hasegawa K, Kowa H, Saito M, Tsuji S, Obata F; A new locus for Parkinson's disease (PARK8) maps to chromosome 12p11.2-q13.1. *Ann Neurol*. 51:296-301, 2002.
3. Momose Y, Murata M, Kobayashi K, Tachikawa M, Nakabayashi Y, Kanazawa I, Toda T; Association studies of multiple candidate genes for Parkinson's disease using single nucleotide polymorphisms. *Ann Neurol* 51:133-136, 2002.
4. 戸田達史, 水田依久子, 佐竹 渉, 齋藤祐子, 村山繁雄, 岡 晃, 猪子英俊, 山本光利, 服部信孝, 村田美穂; α - synuclein は孤発性パーキンソン病の感受性遺伝子である. 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 神経変性疾患に関する調査研究班 (主任研究者・葛原茂樹) 2005 年度研究報告書. p169-162, 2006
5. Shimura H, Hattori N, Kubo S, Mizuno Y, Asakawa S, Minoshima S, Shimizu N, Iwai K, Chiba T, Tanaka K, Suzuki T; Familial Parkinson disease gene product, parkin, is a ubiquitin-protein ligase. *Nat Genet*. 25:302-305, 2000.
6. 湯浅龍彦, 片山容一, 大本堯史, 葛原茂樹, 中野今治, 大槻泰介, 藤本健一; パーキンソン病の定位脳手術の適応と手技の確立に関する多施設共同研究—3年間のまとめとその後の経過—. 厚生科学研究費補助金特定疾患対策研究事業 神経変性疾患に関する研究班 (主任研究者・田代邦雄) 2001 年度研究報告書. p19-21, 2002
7. Muramatsu S, Fujimoto K, Ikeguchi K, Shizuma N, Kawasaki K, Ono F, Shen Y, Wang L, Mizukami H, Kume A, Matsumura M, Nagatsu I, Urano F, Ichinose H, Nagatsu T, Terao K, Nakano I, Ozawa K; Behavioral recovery in a primate model of Parkinson's disease by triple transduction of striatal cells with adeno-associated viral vectors expressing dopamine-synthesizing enzymes. *Hum Gene Ther*. 13:345-354, 2002.
8. Polymeropoulos MH, Lavedan C, Leroy E, Ide SE, Dehejia A, Dutra A, Pike B, Root H, Rubenstein J, Boyer R, Stenroos ES, Chandrasekharappa S, Athanassiadou A, Papapetropoulos T, Johnson WG, Lazzarini AM, Duvoisin RC, Di Iorio G, Golbe LI, Nussbaum RL; Mutation in the alpha-synuclein gene identified in families with Parkinson's disease. *Science*. 276:2045-2047, 1997.

9. Bonifati V, Breedveld GJ, Squitieri F, Vanacore N, Brustenghi P, Harhangi BS, Montagna P, Cannella M, Fabbrini G, Rizzu P, van Duijn CM, Oostra BA, Meco G, Heutink P; Localization of autosomal recessive early-onset parkinsonism to chromosome 1p36 (PARK7) in an independent dataset. *Ann Neurol.* 51:253-6, 2002.
10. Zimprich A, Biskup S, Leitner P, Lichtner P, Farrer M, Lincoln S, Kachergus J, Hulihan M, Uitti RJ, Calne DB, Stoessl AJ, Pfeiffer RF, Patenge N, Carbajal IC, Vieregge P, Asmus F, Muller-Myhsok B, Dickson DW, Meitinger T, Strom TM, Wszolek ZK, Gasser T; Mutations in LRRK2 cause autosomal-dominant parkinsonism with pleomorphic pathology. *Neuron.* 44:601-607, 2004.
11. Baba M, Nakajo S, Tu PH, Tomita T, Nakaya K, Lee VM, Trojanowski JQ, Iwatsubo T; Aggregation of alpha-synuclein in Lewy bodies of sporadic Parkinson's disease and dementia with Lewy bodies. *Am J Pathol.* 152:879-84, 1998.
12. Zhang Y, Gao J, Chung KK, Huang H, Dawson VL, Dawson TM; Parkin functions as an E2-dependent ubiquitin-protein ligase and promotes the degradation of the synaptic vesicle-associated protein, CDCrel-1. *Proc Natl Acad Sci U S A.* 97:13354-13359, 2000.
13. Imai Y, Soda M, Inoue H, Hattori N, Mizuno Y, Takahashi R; An unfolded putative transmembrane polypeptide, which can lead to endoplasmic reticulum stress, is a substrate of Parkin. *Cell.* 105:891-902, 2001.
14. Cotzias GC, Van Woert MH, Schiffer LM; Aromatic amino acids and modification of parkinsonism. *N Engl J Med.* 276:374-379, 1967.
15. Factor SA; Dopamine agonists. *Med Clin North Am.* 83:415-443, 1999.
16. Vizuete ML, Steffen V, Ayala A, Cano J, Machado A; Protective effect of deprenyl against 1-methyl-4-phenylpyridinium neurotoxicity in rat striatum. *Neurosci Lett.* 152:113-116, 1993.
17. Benabid AL, Pollak P, Louveau A, Henry S, de Rougemont J; Combined (thalamotomy and stimulation) stereotactic surgery of the VIM thalamic nucleus for bilateral Parkinson disease. *Appl Neurophysiol.* 50:344-346, 1987.

- 1 8. Lindvall O, Brundin P, Widner H, Rehnström S, Gustavii B, Frackowiak R, Leenders KL, Sawle G, Rothwell JC, Marsden CD, et al; Grafts of fetal dopamine neurons survive and improve motor function in Parkinson's disease. *Science*. 247:574-577, 1990.
- 1 9. Itakura T, Nakai M, Nakao N, Ooiwa Y, Uematsu Y, Komai N; Transplantation of autologous cervical sympathetic ganglion into the brain with Parkinson's disease: experimental and clinical studies. *Cell Transplant*. 3:43-45, 1994.
- 2 0. Freed CR, Greene PE, Breeze RE, Tsai WY, DuMouchel W, Kao R, Dillon S, Winfield H, Culver S, Trojanowski JQ, Eidelberg D, Fahn S; Transplantation of embryonic dopamine neurons for severe Parkinson's disease. *N Engl J Med*. 344:710-9, 2001.
- 2 1. Kawasaki H, Mizuseki K, Nishikawa S, Kaneko S, Kuwana Y, Nakanishi S, Nishikawa SI, Sasai Y; Induction of midbrain dopaminergic neurons from ES cells by stromal cell-derived inducing activity. *Neuron*. 28:31-40, 2000.

IBD ネットワークの藤原と申します。

本日は、潰瘍性大腸炎の医療費公費補助対象見直しに関して、発言の機会をいただき、ありがとうございます。

さて、今回の見直しにつきまして、私たちは 8 月 9 日のマスコミ発表で初めて知りました。日本難病・疾病団体協議会(JPA)から、「希少性 5 万人は、新規対象とする疾患に対して適用するもので、既存指定疾患に対しては 5 万人を超えても適用しない」と説明を受けていたので、正に「寝耳に水」の話でした。

その後、JPA・パーキンソン病友の会・IBD ネットワークの 3 団体により、8 月 11 日に抗議表明(別紙 1)、8 月 30 日に厚生労働省大臣宛の要望書(別紙 2)提出を実施しています。

そして、本日のヒアリングとなった訳ですが、なぜこのように急いで開催されるのか疑問を感じています。IBD ネットワーク内では「今回のヒアリングが終われば、一気に見直しが進むのではないか」という心配や疑問の声が数多く出ています。

こういった点から、今回のヒアリングは、対象患者の足切りをするための形式的なものとして処理されず、私たちの心配や疑問に対して納得できる十分な説明をしていただくとともに、私たちの意見が幅広く反映されることを希望します。

では、これから事前にいただいた意見聴取項目に沿って、IBD ネットワークの意見を述べさせていただきますが、

- 8 月 9 日の発表以降、十分な検討・分析時間がなかったこと
- 8 月 19 日、厚労省 HP 第 1 回特定疾患対策懇談会の資料掲載以降、十分な検討・分析時間がなかったこと
- 9 月 5 日、厚労省から意見聴取項目をいただきましたが、十分な検討時間がなかったこと
- 9 月 6 日 7 日、厚労省へ質問状(別紙 3,4)を提出していますが、まだすべての回答をいただけていないこと

以上の理由により、十分な意見表明とはなっていません。懇談会事務局である厚労省が求められた「聴取項目」に適う内容をご提示、ご検討いただくため、再度のヒアリングの機会を設けていただく必要性をご指摘させていただきます。

(1) 各団体の概要について

① 概要：会員数など

IBD ネットワークは、全国各地にある 46 の炎症性腸疾患の患者会の連絡組織です。会員数はクローン病を含め約 4,400 名です。(別紙 5)

② 難治性疾患克服研究事業への協力について

患者は特定疾患申請時にデータ提供受諾の誓約書を提出しております。

各地の患者会が開催する講演会や相談会に、研究班の先生方を講師としてお招きし、患者のみならず

ドクター、栄養士、地域保健師へ研究成果の広報の一助としております。先生方も快く引き受けてくださっています。

平成 13 年度の難病対策見直しの際、潰瘍性大腸炎では IBD ネットワーク世話人の萩原が意見表明をしました。

研究面では、「特定疾患の疫学に関する研究 平成 15 年度総括・分担研究」への協力があります。

(2) 難治性疾患克服研究事業について

難病研究として発症以来約 30 年の実績があり、潰瘍性大腸炎及びパーキンソン病の研究についても約 30 年近くが経過し、治療法なども進歩してきている。患者団体として治療法の進歩などを実感することはあるか。また、今後どのような研究を望むか。

私が発症したのは 23 年前ですが、当時と現在を比較すると、診断が早期に確定できるようになりました。そして、決定打は無いものの対症療法を選択肢が増えたことにより、これをうまく組み合わせることで、社会生活を維持できるようになった人が増えたように思います。また、手術における安全性や術式の発展は、クオリティオブライフの向上に寄与していると考えます。

一方、根治法や増加を食い止める方策は無く、わが国では年間約 5,000 人も新たな患者が発症しています。特に発症のピークが 20 歳前後の若年者であるため、就労や結婚など、その後の社会生活に多大な影響を受けており、これらの対策の遅れを感じています。

また、10 年以上の長期経過で問題となる発がん性に関しては、定期検査での発見以外にこれといった解決策は無く、患者はがんの不安を持ちながら日常生活を送っています。

不利益という面では、都市部と地方との医療格差は払拭されておらず、専門医の偏在や技術力の差は、特に地方に在住する患者の悩みとなっています。

欧米で 10 年以上前から使われている薬が、わが国では未だに使うことができなかつたり、ようやく治験の段階にあたりしています。こういった欧米との医療格差が患者の不利益になっていることを実感しています。ちなみに免疫抑制剤は、10 年以上前からこの病気に使われていますが、今年になりようやくイムランが潰瘍性大腸炎の治療薬として正式に認可を受けました。

また、白血球除去療法など新しい治療法が非常に高価であることも気になります。もし、3 割負担となると、患者の支払い能力(収入)によって、必要な治療法の選択ができないことも予想できます。

以上のことから、私たちが今後の研究事業に望むことは、

- ・ 発症原因を早期に究明し、根本的治療法の開発と新たな発症者の予防
- ・ 海外で実績のある薬剤等の利用促進
- ・ 都市部と地方の医療格差の是正
- ・ 専門医の育成と認定プログラムの開発、専門病院(専門医)の公表
- ・ 支援プログラムの導入やカウンセリング等、社会復帰のための施策やメンタル面でのフォローや研究(患者会はこういった面でノウハウの蓄積や強みがあり、共同での取り組みが可能と思われます)

(3) 対象範囲の見直しについて

① 希少性の要件 5 万人を大幅に越える疾患を対象疾患から除外するという意見がある。この意見についてどのように考えるか。

なぜこのような意見が出るのか理由が不明なので詳しくお答えすることはできません。5万人を越えると難治性疾患克服事業は、その使命を終えるのでしょうか？

② 特定疾患対策懇談会において、疾患の除外ではなく対象者の範囲の見直しで対処する方向を前回示しましたが、対象範囲の見直しについてどのように考えるか。

そもそも希少性の要件 5万人には、どのような科学的根拠があるのでしょうか。それを明確に説明していただかないと、私たちは単に予算の問題から患者を足切りする、としか思えません。

平成 14 年 8 月 23 日に「厚生科学審議会疾病対策部会難病対策委員会」がとりまとめた「今後の難病対策のあり方について（中間報告）概要」の中では、

「なお、対象となった後で患者数が5万人を上回った疾患や、特定疾患に指定された当時と比較して治療成績等の面で大きく状況が変化したと考えられる疾患については、当該疾患に対する治療成績をはじめ患者の療養環境の改善等総合的な観点から、引き続き特定疾患として取り扱うことが適当かどうか定期的に評価を行うことについて検討する必要がある。」

と記されていますが、前回の特定疾患対策懇談会では、この点についてどのような協議がなされたのかも、合わせて説明していただく必要があると考えます。

潰瘍性大腸炎は、緩解と再燃を繰り返す特徴があり、今日は緩解であってもそれは定期的、継続的な観察や治療によるところが大きいと考えます。

また、第 1 回懇談会の参考資料 6「潰瘍性大腸炎 重症度分類による患者数の変化」では、約 66% が軽症となっていますが、その中には免疫抑制剤や副腎皮質ホルモン剤など副作用の強い薬剤の使用でどうにか緩解を維持している方も多く含まれると考えられ、そういった方たちを、軽症扱いにしてもいいものなのか、といった疑問があります。

そういった点から、今後どのような基準で見直しを予定されていくのか、判断基準の科学的合理性を含めて、説明いただく必要があると考えます。

③ 対象範囲の見直しについて何らかの考えはあるか

特定疾患の中には、患者数が毎年 5,000 人ペースで増加している疾患と、数人から 1,000 人にも満たない疾患があります。どこで線を引くかは別問題としても、この両極端にある疾患を同じのルールで見直ししようということ自体に、無理があるのではないのでしょうか。

もし、見直しにより対象から外れた場合、軽症者であっても受診抑制から体調を悪化させることが予想されます。また、近年開発された有効といわれる治療法はどれも高価であり、再認定までの医療費負担が大きいのしかかります。中には支払えない方がいるかもしれません。

潰瘍性大腸炎患者にとっては、医療費補助が唯一のセーフティネットになっています。いわば生命線と言っても過言ではなく、この制度のおかげで多くの患者が救済され、人生の「再チャレンジ」をしていると実感しています。

今回の対象範囲の見直しは、対象患者数・医療費の削減ありきではなく、治療成績、療養環境の改善等を総合的な観点からを評価していただいた上で、ご検討いただくことを希望します。

以上

20060811 抗議表明資料

医療費助成縮小に抗議声明、難病の患者団体(朝日新聞)

「特定疾患」として補助対象となっている「パーキンソン病」と「潰瘍（かいよう）性大腸炎」について、厚生労働省が軽症者を外すなど対象枠縮小の方針を示したことを受けて、患者団体は11日、「患者を切り捨てる非人間的な政策だ」などと非難する声明文を同省に提出した。

同省は9月にも患者側から意見を聞く予定だが、患者団体は「アリバイ作りのための意見聴取なら断る」として、同省に方針の転換を求めていく考えを示した。

「患者切り捨て」と抗議 難病の公費負担縮小めぐり(共同通信)

特定疾患に指定されているパーキンソン病と潰瘍（かいよう）性大腸炎について、厚生労働省の特定疾患対策懇談会が、医療費の公費負担の適用範囲を縮小する方針を決めたことに対し、患者らでつくる「日本難病・疾病団体協議会」は11日、厚労省で記者会見し「患者を切り捨てる非人間的な政策」などと抗議する見解を発表した。

厚労省は、2つの病気の軽症患者を適用対象から除外する方向で、今後患者団体の意見を聞くが、協議会の伊藤たてお代表は「まったく納得できない。方針を変えずに意見を聞くだけのアリバイづくりには協力できない」と話した。

同席した「全国パーキンソン病友の会」の斎藤博会長（71）は「薬代などの自己負担が増えれば生活への打撃が大きい。憤りを感じる」と批判。

特定疾患：補助縮小、見直しを 患者団体、厚労省に文書提出(毎日新聞)

「特定疾患」として医療費補助の対象になっているパーキンソン病と潰瘍（かいよう）性大腸炎について、厚生労働省が軽症患者を補助対象外とする方針を示している問題で2疾病などの患者団体は11日、同省に方針を見直すよう求める文書を提出した。難病患者を対象にした法整備の充実も求めている。

50以上の患者団体からなる日本難病・疾病団体協議会（伊藤たてお代表）は、難病対策予算の不足が背景にあるとしたうえで「患者を切り捨ててしまう非人間的な政策」と批判。「全国パーキンソン病友の会」の斎藤博さん（71）は「今、1カ月の薬代は9万円。今回の基準では会員の8割近くが切り捨てられる。みんな動揺しており、憤りを隠せない」と話した。また、伊藤代表は同省が9月に予定する患者団体とのヒアリングに関して、参加は同省の対応次第との考えを示した。

平成18年8月30日

厚生労働大臣 川崎 二郎殿

住所 〒607-8071 京都市山科区音羽千本町1-6

氏名 IBDネットワーク

特定疾患対策プロジェクト世話人 藤原 勝 ㊤

難病医療費公費助成適用範囲見直しに関する要望書

要望要旨

1. 潰瘍性大腸炎・パーキンソン病の医療費公費助成適用範囲見直しの撤回を要望します。
2. 難病対策予算を増額し、難病患者全員の救済を要望します。

要望の理由

国は平成18年度第1回特定疾患対策懇談会の検討で、パーキンソン病と共に潰瘍性大腸炎を①希少性がなく（5万人を越えている）、②予算不足等を理由に、医療費公費助成の対象者の絞込み（軽症者の切捨て）を行おうとしています。

日本難病・疾病団体協議会（略称：JPA）は、これに対し反対の見解を表明しました。私どもも主に以下のような問題を指摘して、見直しの撤回を要望します。

- (1) 潰瘍性大腸炎の診断基準や対症療法は、幾分開発されたものの、依然として毎年5,000人規模の患者が新たに罹患し、原因不明で根治にも至っていません。全年齢層で罹患しますが、特に生産年齢に達する若年者の発症が多く、就労等に支障をきたすなど社会全体の問題となっています。そのため、軽症者も含め問題解決に向けて、早期に特定疾患治療研究事業の目的を推進する必要があります。
- (2) 医療費公費助成適用範囲の見直しは、臨床調査個人票の「病期・重症度」により判断されると思われませんが、潰瘍性大腸炎のように再燃（中等症以上）と緩解（軽症）を繰り返す患者の実態をその時点（または短期間）での判断だけで適切に把握するのは困難な実態です。
また、そもそも用いられている重症度基準が患者の病勢を適切に評価できているか疑問も寄せられています。
- (3) 早期診断と治療は重症化を抑えると言われていますが、適用外となった場合の医療費の負担増大が、経済的自立への足かせとなり、治療の遅れ（重症化）を生じる懸念があります。さらに長期経過（10年以上）により、発癌性のリスクが高まるためにも定期的な検診は欠かせません。

特定疾患治療研究事業は、疾病の原因究明と治療法の確立が主目的であるものの、実際には難病患者にとって数少ないセーフティネットの役割も果たしています。

また、特定疾患治療研究事業の対象疾患数は、必要性がありながらも、平成14年度以降増加しておらず、同じ難病患者間で不公平感が生じており、私たちも心を痛めています。

以上のことから、私たちは、税金（予算）をもっと難病対策ひいては医療費対策にあてて、難病患者はもちろん、必要な医療が必要な患者全員に無理なく行き渡るよう訴えます。

以上

潰瘍性大腸炎患者を限定する動きに対する会員の具体的な反応

IBD ネットワーク(全国 46 潰瘍性大腸炎とクローン病の患者会団体)

- ・ 今回の報道は突然であり、また更新時期でもあり外されるかと不安が大きい。(沖縄)
- ・ 中学生の子供が発病しており、再発しないよう細心の注意を払っているが、その上再発したら進学就職がどうなるか心配。精神的経済的負担大きい。
- ・ 高校受験が引き金となり、病状が悪化し、受験も保健室で受けた。学校側への病状説明に何度も通った。なかなか学校に理解してもらうのも時間がかかった。学校生活をしながらの闘病はたいへんである。
- ・ 就職時に、病名を正直に書いたとき、不合格であった。次は病名を隠して就職試験を受けたところ、合格した。このとき、健康上の理由が就職にも影響することがわかった。就職後も、病気について隠して仕事をしている。
- ・ 無職なので、たとえ数千円でも医療費が増えると親に申し訳ないと思う。
- ・ 年中行事のやり直し(再燃=悪化)があって定職につけない。低賃金で我慢せざるを得ない中、特定疾患医療から外れたら、受診を減らさざるを得ない。
- ・ 理容師をしていたが直腸型のためか頻繁なトイレとなり、お客さんに迷惑をかけるので仕事をやめざるを得なくなり、収入にも困っている。
- ・ 急激な劇症化によって、パルス療法(ステロイド大量療法)・白血球除去療法をうけましたが、それも効果なく、大腸全摘手術を受けました。医療費が計5回の入院で、400万円ほどかかったと明細には書かれていました。公費負担のおかげで、私たち家族は、負担が少なく済みました。このまま継続を望みます。
- ・ 現場で働くとき、トイレが近くにないため、仕事を続けることができなかった。貧血や下痢などで、身体的にもつらいため、重労働ができない。
- ・ 大腸全摘出後も、回腸嚢炎が再三再燃(悪化)し、下痢が15回/日続くこともある。そのため、再度人工肛門の再建術をおこない、永久ストマになった。
- ・ ステロイド剤を少量にして治療できるようにして欲しいが、なかなか減らすことができない。ようやく結婚したので、子どももほしいが、病状が悪化するのではないかとずっと不安である。
- ・ ステロイド剤の副作用のため、精神的に不安定になり、かるいうつ状態になった。子育てができなくなり、主人が仕事を休んで子育てをしている。生活全般が影響を受けている。
- ・ 直腸炎タイプで軽症とされているが、出口に近いだけに粘液などでトイレ通いが頻繁なため就労ができない。親も年金暮らしになり月20万円そこそこで親子3人暮らす中、万一悪化してG-capをすれば家計が成り立たない。
- ・ 初期治療で用いる治療(薬)が高額化している。(血液浄化法は1回14.5万円で標準10回行なう)
- ・ 過去に入院費用を払って高額医療で3ヶ月、更に特定疾患で3ヶ月も償還に時間が掛かった。
- ・ 北海道大樹町の年配の患者は初発以来6年間ただプレドニンを与えられるだけだった。
- ・ 更新申請時、一人の専門医が数百枚の診断書を書いている。
- ・ 専門医が少なく、難病の専門病院もなく、なかなか診断してもらえなかった。2ヶ月後ようやく診断されたが、病状がかなり悪化していた。専門医の養成を支援する体制も整えてほしい。
- ・ 「過去1年間の重症度」はドクターによって思い浮かべる「時」が異なっているし患者の実感とも異なる。更新申請直前に退院したばかりであれば、再発の危惧は大きいのに「軽症」と判定されうる。
- ・ 数年前3年に一度の申請でよくなったのに猫の目のように制度が変わりすぎる。毎年の申請で変わらない項目は手続きを省けないか。診断書を書くための検査によって体調が悪くなる。(旭川)
- ・ いまだ地方のIBD医療格差は大きい。北海道では専門医は札幌、旭川、函館にしかおらず、毎月の通院は一日かかる。交通費だけで1回数万円。
- ・ 難病対策は、保健所の規模縮小でますます不十分となってきているのに、今後私たちの病気は誰が取り組んでくれるのか。
- ・ 根本的な治療ができないために、予防対策も不十分となり、患者数が増えている現実があるのに、なぜ除外されることになるのか。その理由がわからない。無責任すぎる
- ・ 特定疾患に指定して30年間たってもこの病気の原因すらいまだに明らかに、説明することができず、根治療法も見出せていない現状を厚生労働省はどう考えているのか。

厚生労働省疾病対策課 沢口係長殿

データ提供依頼について以下のように早急をお願いします。それを受けてヒアリング回答を検討します。(第一次)
IBD ネットワーク 萩原英司(北海道 IBD 会長)

<懇談会資料の基礎について>

- 1 懇談会資料に出た、参考資料2、参考資料3、(各疾患の患者数円グラフ)(各疾患のコスト)のデータ根拠をお知らせください。
- 2 上記参考資料6は平成3,12,17年と思われる実データのみが記載されていますが、毎年の実データによるグラフの詳細化と、何年度なのか明記願います
- 3 上記2で詳細化された毎年実データには全都道府県の登録患者が含まれていますか?含まれていない場合や年度がある場合、それらを明記して、理由をお知らせください。
- 4 3で含まれていないデータがある場合、そのことが全体のデータ傾向をゆがめている恐れがありますが、どのように判断されていますか、理由と共にお知らせください。
- 5 軽症、中等症、重症の判断基準は臨床個人調査票に記載されていますが、これと参考資料6の判断基準は同じですか?都道府県による差異はありませんか?
- 6 臨床個人調査票に記載の重症度判断データは、その臨床個人調査票で裏づけが取られて検証されていますか?(クローン病の場合、IOIBD 判定10項目は、全てその臨床個人調査票で確認できます)→(患者会で横並び比較してみますとの実体と異なる例が見られますので)
- 7 潰瘍性大腸炎では再燃と緩解を繰り返しますが、臨床個人調査票に記載する重症度は「最近1年の重症度」となっていますがこれは何時の時点をさすか、統一基準(例えば、記載にあたって医師へのガイドライン)はありますか?ある場合、その基準の提示を。ない場合、不要と判断した理由をお知らせください
- 8 30年で治療法が進歩した、と聴取項目にあります。どのように進歩したかご提示ください。
(私たちにとって治ることが進歩であり、何を持って治療法と捉えるか食い違いがあるといけませんので)
- 9 特定疾患対策懇談会においては、疾患の除外ではなく対象者の範囲の見直しで対処する方向を前回示した、とありますが、議事録をご提示ください。
- 10 上記質問に関連し、見直しする方向に決定した根拠と理由をお示しください。(頂いた懇談会資料では「2つの案にいかがか」となっていました)

<分析のため>

- 11 潰瘍性大腸炎では再燃と緩解を繰り返しますので、過去に軽症と判断されてもその後中等症、重症などに遷移した方がいると思われます。上記2で質問した過去10年間の追跡データの提示を求めます。(これは重症度が固定されたものかどうかの判断となる重要なことです)
その際、軽快者とされた人、申請を行なわなかった人への変遷もわかるようにお願いします(グラフ初年度の軽症者が、次の年にどの区分に行ったか。グラフ初年度、5年前、昨年と3つの年度の中での推移でも結構です)
- 12 グラフ初年度、5年前、昨年の3段階で、軽症、中等症、重症の方が処方されている薬・治療法をお知らせください。またそれぞれに実際に掛かったコスト(診療報酬)もお知らせください
- 13、症状のでる活動期と症状がでない緩解期はそれぞれどのくらいの期間となっていますか?治療法の進歩に伴いそれは良い傾向になっていますか?重症度ごとの平均値と標準偏差でも結構です。

<ヒアリングの開催時期>

- 13 懇談会が求める聴取項目に対応するには、上記のデータ提示の後、患者会会員への調査と全国での意見調整が必要ですのでデータ提示後数ヶ月の時間と、大変なコストが掛かります。今回のヒアリング日程は患者の意見を反映する重要な機会であるにもかかわらず、一方的に決定されています。患者の体力を慮られていません。それらを踏まえて、ヒアリングの日程を変更いただくか、改めて行なうことを求めます。

厚生労働省疾病対策課 沢口係長殿

データ提供依頼について以下のように早急をお願いします。それを受けてヒアリング回答を検討します。(第二次)
IBD ネットワーク 萩原英司(北海道 IBD 会長)

①パーキンソン病と潰瘍性大腸炎がターゲットになった真の理由は何か。

参考資料2 受給者件数では、1位:潰瘍性大腸炎、2位:パーキンソン病、3位:全身性エリテマトーデス

参考資料3 公費負担額では、1位:パーキンソン病、2位:全身性エリテマトーデス、3位:潰瘍性大腸炎

②資料 10 1.(3).ア。「発病を予防し効果があつたもの」の実績が皆無である。この結果、患者数は右肩上がりで増加し、8万人を超過した。このことを、どのように認識しているのか。また、軽症者を公費負担から外した場合、ますます難治性疾患克服研究に支障を来たすのではないか。

③資料 10 1.(3).ウ。「その他根治治療の開発」の実績が皆無である。患者は病気が完治することを願っています。継続中の研究、今後の研究予定について、教えてほしい。

④資料 1 平成 15 年度から事業評価制度を導入と記載されているが、特定疾患治療研究事業の疾患ごとの評価はどのようにになっているのか。

IBD ネットワークの紹介

IBD とは炎症性腸疾患の略で、主に潰瘍性大腸炎とクローン病という、共に特定疾患である消化管に起こる病気の総称です。

【経過】

IBD ネットワークとは、1995 年阪神大震災を契機に、激甚災害時の相互助け合いと日常の情報交換を目的として 1996 年に全国 22 の IBD 患者会で連絡組織として発足しました。

その後目的を「患者会相互の支援を基礎に IBD ネットワークを通じて病ならびに療養生活に関する情報の集約と交換を行い、患者のクオリティオブライフの向上及び共通の利益の増進に寄与することを目的とします。また緊急災害時に相互に支援し合います。」と変更し、2005 年に JPA に加盟しました。現在登録患者会は以下のように 38 都道府県の 46 会となっております。

【運営】

年 1 回総会。登録患者会より世話人を選出し各業務を分担しております。主な業務として、総会（議長）、会計、医療プロジェクト、広報、渉外などがあります。

都道府県	会名称	23	都道府県	会名称	23
北海道	北海道 IBD	1	岐阜	岐阜ちょう会	1
	腸寿会(北海道)	1		ANDANTE(愛知)	1
青森	青森 IBD 友の会	0	愛知	愛知医大 A.T.M.Look 友の会	1
秋田	こまちIBD患者会	1		名古屋 IBD	1
岩手	いわてIBD	1	三重	みえ IBD	1
山形	山形ひまわりの会	1	滋賀	稀少難病の会「おおみ」IBD部会	1
宮城	IBD 宮城	1	京都	京都IBD友の会	1
	仙台 UCD の会	1		奈良I・B・D友の会	0
新潟	新潟 CD の会	1	奈良	奈良県クローン病・潰瘍性大腸炎ネットワーク NARA FRIENDS	1
福島	IBD ふくしま	1	大阪	大阪IBD	1
茨城	いばらきUCD CLUB	1	兵庫	神戸クローン病:萌木の会(兵庫)	1
栃木	とちぎIBD患者会「ちょうちょ」	1		神戸 IBD 友の会	1
群馬	群馬IBD友の会	1	岡山	岡山えーで一会	1
埼玉	埼玉 IBD の会	1	広島	すこぶる快腸倶楽部(広島)	1
	千葉 IBD	1		山口	ななかまどの会(山口)
千葉	なの花の会	0	徳島	徳島クローン病友の会	1
	TOKYO・IBD	1	愛媛	愛媛腸疾患友の会	1
東京	ひまわり会(東京)	1	福岡	くるめ IBD 友の会	1
	CDフォーラム	1	大分	大分 IBD 友の会	1
神奈川	かながわコロソ	1	佐賀	佐賀 IBD 縁笑会	1
	北里腸炎友の会	1	長崎	チョウチョウ会(長崎)	1
	かながわCD	1	宮崎	IBD宮崎友の会	1
富山	富山 IBD	1	熊本	熊本 IBD	1
静岡	浜松 CDA	1	沖縄	沖縄 IBD	1
	浜松 UC 友の会	1			

○潰瘍性大腸炎の重症度分類

(重症度による分類)

	重症	中等症	軽症
1) 排便回数	6回以上	重症と	4回以下
2) 顕血便	(+++)	軽症と	(+) ~ (-)
3) 発熱	37.5℃以上	の中間	(-)
4) 頻脈	90/分以上		(-)
5) 貧血	Hb 10g/dl以下		(-)
6) 赤沈	30mm/時以上		正常

(厚生省特定疾患難治性炎症性腸管障害調査研究班平成5年度研究報告書より)

※但し、重症度の判定は登録・更新時の病勢で判断する。

※加療継続中の場合も、加療による結果の病勢で判断。

(参 考)

- ・ 現行の特定疾患治療研究事業における潰瘍性大腸炎の対象範囲は、重症度分類はあるものの、重症者に限定せずに全ての患者を対象。

○パーキンソン病の重症度分類

Hoehn&Yahr重症度

- 0度 パーキンソニズムなし
- 1度 一側性パーキンソニズム
- 2度 両側性パーキンソニズム。姿勢反射障害なし
- 3度 軽～中等度パーキンソニズム。姿勢反射障害あり。日常生活に介助不要
- 4度 高度障害を示すが、歩行は介助なしにどうにか可能
- 5度 介助なしにはベッド又は車椅子生活

生活機能障害度

- 1度 日常生活、通院にほとんど介助を要しない
- 2度 日常生活、通院に部分的介助を要する
- 3度 日常生活に全面的な介助を要し、独立では歩行起立不能

※更新の時点での、加療により得られた病勢で判断する。

(参 考)

- ・ 現行の特定疾患治療研究事業におけるパーキンソン病の対象範囲は、

Hoehn&Yahr重症度
生活機能障害度

3度以上
2度～3度