

2016 年 5 月 17 日
米国研究製薬工業協会

米国研究製薬工業協会(PhRMA)と ALS^(※1)協会
**米国のバイオ医薬品研究企業が
希少疾患治療薬を 560 種類超開発中と発表**

※1 ALS: Amyotrophic Lateral Sclerosis 筋萎縮性側索硬化症

※当資料は、米国研究製薬工業協会米国本部が、現地時間 2016 年 5 月 9 日に発表した報道資料の抄訳を日本でまとめたものです。

ワシントン、2016 年 5 月 9 日: 米国研究製薬工業協会(PhRMA)と ALS 協会が本日発表した報告書によると、現在米国のバイオ医薬品研究企業が開発中の希少疾患治療薬は 560 種類を超えることが分かりました。

これら開発中の薬の中には、これまで治療法が皆無に等しかった多発性骨髄腫や嚢胞性線維症、筋萎縮性側索硬化症(ALS)、酵素欠乏症の治療薬も含まれており、患者に治癒への希望を与えることになります。

現在、米国で知られている希少疾患、すなわち患者数が 20 万人以下の疾患は 7,000 種類ありますが、患者数が比較的少ないうえ、疾病のメカニズムも複雑なことから、新たな治療法や薬の開発はなかなか進んでいません。

しかし、このような状況下でもバイオ医薬品の研究者たちは、多くの希少疾患に関して、少しずつ明らかになりつつある科学的情報や新たな技術を活用し、画期的な治療法を開発しています。

PhRMA の理事長兼 CEO であるスティーブン・J・ユーブル(Stephen J. Uhl)は次のように述べています。

「医療がまだ対処できずにいる患者のニーズ、特に希少疾患に悩む患者さんの期待に応える新たな治療法を開発するために、バイオ医薬品の研究者たちは現在もなお、様々な課題に取り組んでいます。これまでの進歩は大変に心強いものですが、現時点で 3,000 万人の米国国民が苦難にあえいでおり、治療法がほとんど確立されていない希少疾患に対処する新薬開発を促進していくためのエコシステムは、今後も維持していかなければなりません」

このたび発表された報告書「開発中の希少疾患治療薬([Medicines in Development for Rare Diseases](#))」では、対象となる疾患に新たなアプローチで治療を試みる 560 種類超の希少疾患治療薬について詳細に解説しています。

現在開発中の薬の事例は以下の通りです:

- 希少がんのための治療薬 151 種類と希少血液がんの治療薬 82 種類
- 嚢胞性線維症や脊髄性筋萎縮症など、遺伝性疾患の治療薬 148 種類
- ALS やてんかんなど、神経疾患の治療薬 38 種類
- 希少な細菌感染や肝炎などの感染症の治療薬 31 種類
- 全身性硬化症や若年性関節炎など、自己免疫疾患の治療薬 25 種類

ルー・ゲーリッグ病とも呼ばれる神経疾患の ALS もまた、治療法が存在しない希少疾患の一つですが、SOD1 遺伝子変異関連の ALS へのアンチセンス治療といった、現在開発中の治療法は、この病を克服しようと努力する患者やその家族の支援に向けた一歩と言えるでしょう。

ALS 協会の会長兼 CEO のバーバラ・ニューハウス氏(Barbara Newhouse)は次のように述べています。

「バイオ医薬品研究者、患者さん、そして私たちのような患者支援団体との協力体制こそが、ALS の新薬開発を進展させるのです。この消耗性疾患について、より多くのことが明らかになるにつれ、治療の実現も現実味を帯びてきており、患者さんや家族に新たな希望を与えていると言えるでしょう」

報告書の全文はこちらでご覧いただけます。(英文のみ)

<http://phrma.org/sites/default/files/pdf/medicines-in-development-report-rare-diseases.pdf>

●米国研究製薬工業協会(PhRMA)

PhRMA は、米国で事業を行なっている主要な研究開発志向型製薬企業とバイオテクノロジー企業を代表する団体です。加盟企業は新薬の発見・開発を通じて、患者さんがより長く、より健全で活動的に暮らせるよう、先頭に立って新しい治療法を探索しています。加盟企業の新薬研究開発に対する投資額は、2000 年からの累計では 6000 億ドル以上に達し、2014 年単独でも推定で 512 億ドルになりました。

●米国研究製薬工業協会(PhRMA)日本オフィス

PhRMA 日本オフィスは、米国 PhRMA の会員である研究開発志向の製薬企業の日本法人で構成されており、画期的新薬が開発できる環境や患者さん中心の医療制度の確立に向けて 25 年以上に渡って活動を続けています。加盟企業は、アステラス・アムジェン・バイオフーマ株式会社、アッヴィ合同会社、MSD 株式会社、セルジーン株式会社、日本イーライリリー株式会社、バイオジェン・ジャパン株式会社、ファイザー株式会社、プリストル・マイヤーズ・スクイブ株式会社、ムンディファーマ株式会社、ヤンセンファーマ株式会社(五十音順)の 10 社です。

- PhRMA 日本オフィスホームページ <http://www.phrma-jp.org>
- PhRMA ホームページ <http://www.phrma.org>
- PhRMA 日本オフィス Facebook <https://www.facebook.com/phrmajapanoffice>

【本件に関するお問い合わせ】
米国研究製薬工業協会(PhRMA)広報事務局
(株式会社ジャパン・カウンセラーズ内)
TEL: 03-3291-0118 FAX: 03-3291-0223
E-mail: phrma_pr@jc-inc.co.jp