

2024年12月23日

厚生労働大臣 福岡 資麿 様
厚生労働省医政局長 森光 敬子 様
厚生労働省医政局研究開発政策課長 長谷川 学 様
厚生労働省医政局研究開発政策課治験推進室長 飯村 康夫 様

一般社団法人日本希少がん患者会ネットワーク
理事長 大西啓之
小児がん患者会ネットワーク有志一同

臓器横断的治療薬の迅速な承認への要望

平素より、日本のがん医療の発展に尽力いただき、深く感謝申し上げます。本要望書は、希少がん患者が臓器横断的な治療薬により適切な治療を受けられるよう、政策的なご支援をお願い申し上げます。

要望の背景

私ども日本希少がん患者会ネットワークは、希少がんを適応とする薬剤の開発推進、希少がんの治療環境の改善を願い、所属する20団体と共に活動しております。活動の一つとして、国立がん研究センターと協働して、MASTERKEYプロジェクトの推進にもあたっております。小児がん患者会ネットワークは、小児がん関連59団体が参加し、2022年には4万筆余りの署名とともに小児がん治療薬剤の開発促進に関する要望書を提出しています。ともに希少がんのゲノム医療を進展させ、新薬を届けることが目標です。

希少がんの特性と患者が抱える課題

- 希少性と発症する年代: 希少がんは患者数が少なく、小児を含む若年層にも発症するため、がん種毎に十分な臨床試験を実施することが難しい状況にあり、他の罹患者数の多いがんに比べて治療薬の開発が進んでおりません。その結果、患者が適切な治療を受ける機会が限られています。
- 診断の難しさと進行期での発見: 希少がんは診断が難しく、多くの場合、進行期で発見されるリスクが高いとされています。このため、迅速かつ適切な治療が求められる場面が多く、早期の対応が重要です。
- 限られた治療選択肢: 希少がんの患者は、既存の治療法で十分な効果が得られない場合も多く、特に遺伝子異常が特定されていても適用可能な治療がないケースが存在します。これにより、患者は効果的な治療法へのアクセスを望みつつも、十分な対応が得られない

い状況にあります。

- 治療へのアクセスの課題: 遺伝子異常に基づく標的治療の可能性が示されながらも、具体的な治療へのアクセスが制限されている患者は、精神的・身体的な負担と共に絶望感を抱えることが少なくありません。
- 医療へのアクセスと治療負担: 希少がん患者は、治療へのアクセスが限られ、治療選択肢の少なさに直面しています。このため、長期間の治療に伴う経済的負担や、将来に対する不安と向き合わざるを得ない状況に置かれています。

臓器横断的な治療薬の必要性

包括的アプローチの重要性: 特定の遺伝子異常を有する患者においては、標的治療が治療選択肢の 1 つとなり得ることが期待されますが、その希少性から、臓器単位での治療薬の開発や承認では限界があり、臓器横断的な治療薬の開発が必要です。こうしたアプローチによって、より多くの患者が新しい治療法にアクセスできるようになることが期待されます。臓器横断的な治療薬が希少がん患者の未来を拓く重要な手段であることを確信し、貴省のさらなるご支援をお願い申し上げます。

要望事項

- 臓器横断的な治療薬の迅速な承認: 遺伝子異常に基づく新たな治療薬の承認プロセスを柔軟かつ迅速に進めていただき、希少がん患者が早期に適切な治療を受けられる環境整備をお願い申し上げます。
- 今後の治療薬の承認につきましても、臓器横断的な承認の重要性に鑑みて、格別のご配慮を賜りたくお願い申し上げます。
- 政策的支援の強化: 希少がん治療の推進に向けた政策的支援をさらに強化し、治療選択肢の拡大を図る体制の構築をお願いいたします。

以上

参考: 日本希少がん患者会ネットワークホームページ

<https://rarecancersjapan.org/>

小児がん患者会ネットワークホームページ

<https://ssj-gan.net/>