



### ◆目次

- 平成 26 年度日本肺胞蛋白症総会・第 6 回勉強会開催のおしらせ。
- 平成 26 年度予算案の補足
- 難病対策の動向
- 特集：GM-CSF 吸入療法の話

(新潟大学医歯学総合病院生命科学医療センター・中田 光 教授)

### ◆平成 26 年度日本肺胞蛋白症総会・第 6 回勉強会開催のおしらせ

- 日 時 平成 26 年 11 月 23 日 (日曜日)  
患者会総会 11:00~12:00  
第 6 回 PAP 勉強会 13:00~16:00
- 場 所 品川インターシティホール&貸会議室 (地図参照)  
(〒108-6105 東京都港区港南 2-15-4 TEL: 03-5479-0723 )
- 内 容 (予定)

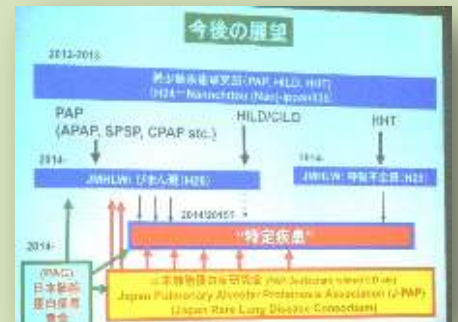
肺胞蛋白症が指定難病となるためには？

肺胞蛋白症に対する治療法開発の現状

(平成 26 年度厚労科研委託業務難治性疾患等克服研究事業、難治性疾患等実用化研究事業 (難治性疾患実用化研究事業))

『肺胞蛋白症、遺伝性間質性肺疾患に関する研究：重症難治化要因とその克服 (H26-委託 (難) 一般-077) 』

(研究代表 井上義一)



### ◆平成 26 年度予算案の補足

- 収入を見ていただくとおわかりですが、患者収入より広告や寄付金で運営している状況です。今後は会員数の増加して行く必要があります。
- 皆様のご了解が得られることができれば、現在行っています患者会事務業務を一部外部委託することを検討しています。主に会報の発行や文書作成、ホームページ管理です。
- 陳情など交通費・諸経費の一部補助を計上しています。今までは、陳情などすべて交通費を「手弁当」で行っていましたが、予算に余裕ができましたので一部計上させていただきました。ご理解をお願いいたします。

### ◆難病対策の動向

平成 26 年 8 月 5 日の新聞等でご存じの方もいるとおもいますが、「難病医療法の成立に伴い、医療費助成の対象となる指定難病を審議していた厚生労働省の検討委員会は 4 日、来年 1 月に助成を先行実施する 110 疾患を大筋で了承し、現行の疾患を 64 疾患に細分化させ、新規に遠位型ミオパチーなど 46 疾患を加えた。」と発表されました。この度認定されたリストをみますと、安部総理も力をいれていると思われる「小児の難病」と患者会の活動が盛んな「遠位型ミオパチー」などの疾患が認定されているようです。厚生労働省は「医療費助成対象は現行の 56 疾患から約 300 疾患 (約 150 万人) に 2 段階で拡大する。秋以降に残りの約 190 疾患を選定し、これらについては来年夏以降の助成開始を目指す」と言われているように、当患者会も何らかのアクションを再度起こす必要があり、現在各方面で情報収集をしております。

## 特集：GM-CSF吸入療法の話

新潟大学医歯学総合病院生命科学医療センター 中田 光 教授

1960年代から、肺胞蛋白症の標準的な治療として、全身麻酔をかけて、気管に左右の気管支に二股に分かれる気管チューブを挿管して、片肺ずつ20リッターの生理食塩水で洗うという『全肺洗浄法』が半世紀以上行われています。患者さんも大変ですが、洗浄を担当する医療スタッフは何時間もかけて、生理食塩水の注入と排水を繰り返さなければなりません。

そういった『荒療治』に代わる治療が、GM-CSF吸入療法です。これは、1999年にアメリカのMayo Clinicのグループが最初に試した治療ですが、どういいうわけか、米国では普及しませんでした。2000年12月、東北大学の貫和教授、田澤助手らが重症の患者さんに試して、大変な効果があることがわかり、続いて東北大学で1例、近畿中央胸部疾患センターで1例が行われ、いずれも大成功でした。それから、厚生労働省や文部科学省の予算をいただいて、新潟大学が中心となって、50例以上を治療してきました。62%の患者さんが治療に反応して、呼吸状態がよくなります。

治療は、いたって簡単です。GM-CSFは、凍結乾燥という方法でバイアルの中に粉になっています。それを生理食塩水2ccで溶かします。その溶けた液をジェットネブライザーという吸入器に注射器を使って移します。最初の6週間は、8日間続けて朝夕20分くらい吸入します。その後6日間は、吸入しません。そのサイクルを6回繰り返します。後の6週間は、4日間吸入して10日間休みます。そのサイクルを6回繰り返します。

いままで、我が国では、100人以上の患者さんに対して、沢山の病院の先生方が、いずれも臨床研究として、GM-CSFを外国から個人輸入して、治療に使って、有効であることを確かめてきました。しかし、このやり方だと、いつまで経っても、国が薬として認めてくれま

せん。薬として認めてもらえなければ、もちろん、健康保険が使えません。薬として正式に認めてもらうことを薬事承認と言います。その薬事承認のためには、『治験』という手順を踏まなければなりません。さらに治験には、企業が行う企業治験と医師が自発的に行う医師主導治験があります。



肺胞蛋白症の患者さんは、全国で1000人から2000人くらいいると推定されますが、このような稀少疾患に対しては、通常は企業が治験に乗り出さないのが普通です。治験にかかる費用がかさむため、仮に成功して発売にこぎ着けても赤字となるのが目に見えているからです。しかし、運悪くその1000人から2000人に入ってしまった患者さんには、この企業の論理は、とても酷に思えます。そこで、登場するのが、企業でなく医師が治験を実施する制度-医師主導治験です。

今、肺胞蛋白症の患者さんを診ている医師が中心となって、医師主導治験を始めようとしています。ジェンザイム社という製薬会社がGM-CSFを提供してくれる予定です。GM-CSF吸入療法の安全性を確かめるために、すでにサルを使った試験を終えています。治験は、3年間の予定で、40人の患者さんに参加してもらい、GM-CSFを6ヶ月間吸入してもらって、どの程度肺胞蛋白症がよくなるか、副作用が起こらないかを調べるという内容で行われます。患者会の皆様には、大変お世話になるとと思いますが、どうぞよろしくお願い致します。

連絡先・情報は URL : <http://pap-net.jp/> e-mail: [info@pap-net.jp](mailto:info@pap-net.jp)

～編集後記～

今年の夏は水不足どころか、全国のあちらこちらで豪雨による水害は発生しておりますが、皆様は被害などあわれていませんか？ 国の政策もまさに激流のごとく変化しています。この流れに流されるのではなく、しっかりと受け止め良い流れになるようがんばります。

日本肺胞蛋白症患者会会報 第6号

平成26年9月1日発行

発行所 日本肺胞蛋白症患者会

発行および編集 小林剛志

事務局〒254-0051 神奈川県平塚市豊原町30-13

