



日本肺胞蛋白症患者会

発行：日本肺胞蛋白症患者会 神奈川県平塚市豊原町30-13 電話：080-1247-1766
ホームページ：<http://pap-net.jp/>

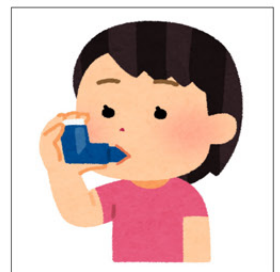
患者会会報17号

実用化のカウントダウンが始まったGM-CSF吸入療法

現在の状況と今後の見通し

2000年に東北大学で重症の自己免疫性肺胞蛋白症の患者さんに対して、GM-CSF吸入療法が行われて以来、二十四年の月日を経てGM-CSFが薬事承認申請されました。薬事承認取得後は保険収載され、薬価が決定されます。その後、ノーベルファーマ社から発売される予定です。この治療に取りかかった2002年当時、私はまだ四十年代でしたので、非常に時間がかかったと感じています。酵母由来ヒト組換えGM-CSFは、米国で1990年当初頭には商品化されていましたが、製薬企業のM&Aの影響で、製造販売元が二十六年間で六社も変わり、医師がGM-CSF吸入療法の効果を感じていても、製造販売元が頻繁に変わるため、交渉が難航していました。2018年にSanofi Genzyme社から製造販売権がボストンのベンチャー企業、Partner Therapeutics社に移され、日本のNobel Pharma社との契約交渉が順調に進み、2023年六月に薬事承認申請が行われました。発売される際、全国で約百の病院が選ばれ、そこで吸入器の購入や使い方の練習をサポートします。全国で吸入療法を受けた患者さんや、それを実施したい呼吸器内科の先生方は多く、現在、実態調査を進めています。この治療を受ける患者さんは、年間で百五十から二百人程度と予想されます。

肺胞蛋白症の患者さんが受診している病院は地域に偏りがあり、多いところでは四十人程度の患者さんが通院しています。自己免疫性肺胞蛋白症は指定難病とされているため、重症度が三以上の患者さんは、主治医と相談し、必要な手続きを進めてください。年収によりますが、助成金を受けられると、月々の医療費の上限は二万から三万円未満となります。詳しくは、「肺胞蛋白症患者会ホームページ」をご参照ください。自己免疫性肺胞蛋白症は、予後が良好な疾患です。息苦しさを感じている方でも、五から十年以内に症状が改善する可能性が高いです。一時的に体内で自己抗体が増加し、肺に老廃物が溜まることで息苦しさが生じますが、時間が経てば自己抗体は減少し、息苦しさも軽減します。この一時期をどのように乗り越えるかが課題ですが、もうすぐGM-CSF吸入療法という新しい治療法を受けられるようになります。



病気と上手に付き合い、充実した日々を過ごすください。

【新潟大学医歯学総合病院高度医療開発センター
先進医療開拓部門

・中田光特任教授】

勉強会の案内

日本肺胞蛋白症患者会 第15回勉強会（2023年度総会） 会場およびZoomで実施予定
日時 2023年11月4日（土）総会13時~14時頃 勉強会 14時頃~17時（予定）
参加者 患者様、ご家族、ご友人、医療関係者
参加費 無料
会場 TKPガーデンシティPREMIUM田町 カンファレンスルーム4E
〒108-0023 東京都港区芝浦3丁目1番401
Msb Tamachi 田町ステーションタワー-S 4階
アクセス JR山手線 田町（東京都）駅 東口 徒歩1分



患者会の進化と未来へのビジョン 十二年の歩みと次のステージ

これまで、患者会は三つの目的のもと活動してきました。

- 一、患者同士の情報共有（場合によってはNPO法人の立ち上げも視野に入れる）
- 二、治療法の確立と治療費の軽減
- 三、肺胞蛋白症治療研究補助費の獲得

現在の状況として、「患者同士の情報共有」は進展が難しい状態です。SNSの発

展がある今、情報共有が進むべき時期ではありませんが、Diigoやフェイスの使用がハードルとなり、進展が難しい状況が続いています。「治療法の確立と治療費の軽減」については、ノーベルファーマ（株）がリュウカインの薬事申請を六月に実施したことから、2024年の夏に発売となる予定です。治療費の軽減に関しては、2015年に指定



小林家のKAIくん

難病（229）に認定されたことから、全員が対象ではありませんが、重症の患者には負担が軽減されています。患者会としては、公的な助成制度をホームページで公開しています。「肺胞蛋白症治療研究補助費の獲得」に関して、患者会設立当初は「厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業」で国からの補助がありました。現在は、その補助がなく、表

だいた共同活動は停止しています。今後アメリカのようにクラウドファンディングを活用することが考えられますが、日本の寄付文化の現状を考慮すると、難しいとの見解です。本邦の患者数について、2018年に北村信隆先生を筆頭とするグループが発表した「我が国の自己免疫性肺胞蛋白症の罹患率」を報告した論文ERJ Open Researchによれば、国内には約三千三百人の患者がいると推定されていますが、患者会の会員は百名強です。患者会の会員の中で、自己免疫性の肺胞蛋白症の方が大多数です。病状は五十歳前後から発症し、七十歳頃には改善するケースが多いようです。そのため、症状が改善すると退会する方が多い状況です。事務局には電話での相談があります。「フリーライダー」という認識があるようです。勉強会を開催し、会員に声をかけていますが、大々的な活動は敬遠される傾向にあり、小規模なコミュニティ活動が必要との認識です。しかし、その中心となる人物の確保など、課題が多い状況です。過去十二年間の活動を振り返り、「自己免疫性肺胞蛋白症」に対する活動が一定の成

果を上げたと感じています。次のステージとして、患者会の活動を継続しつつ、新たな方向性を模索することが必要と考えています。特に、小児を含む若年層の発症の重症化が問題となっており、この問題に焦点を当てた活動を強化する方針です。また、2025年度からは、新潟事務局のサポートが受けられなくなることや、事務局運営の人材確保が難しい状況が続いています。そのため、事務作業のDX化や経費削減の取り組みが必要と考えています。公的認証を受けるための移行を進めたいので



Lakiです

ですが、NPO法人登録は個人会員が十名が必要で皆様に了解を得たい事、さらに事業を継続するには現状の運営方法では難しい状況で、色々検討する余地があり、会員皆様にご相談しながら、決定していく予定です。

編集後記
我が家では二人の娘も成人となることから、私達と行動を共にすることが減りました。そこで五年前にチワワのズンくんを、初夏に保護猫のミちゃんを向かい入れました。おかげで、家の中は常に犬猫が飛び回る状況で賑やかなことこの上無い状況で楽しく振り返られる毎日です。

小林