2024年（令和6年）10月30日発行　No18

日本肺胞蛋白症患者会

日本肺胞蛋白症患者会
Pulmonary Alveolar Proteinosis Patient Association of Japan

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18号

サルグマリン発売

GM-CSF吸入療法

GM-CSF吸入療法説明会・サルグマリン講演会 8月2日に開催（写真：お茶の水会館）

患者会としても、活動の悲願でもあったGM-CSF吸入療法薬「サルグマリン」が、令和六年七月二十九日にノーベルファーマ(株)から発売された、自己免疫性肺胞蛋白症（APAP）の治療薬です。世界初の肺胞蛋白症に対する薬物療法で、吸入製剤としても世界初の承認となった。

サルグマリンの主成分はサルグラモスチム（遺伝子組換え）で、凍結乾燥製剤（吸入剤）です。

これまでの動きは、令和六年三月二十六日に自己免疫性肺胞蛋白症に対するGM-CSF吸入療法薬が薬事承認され、今回、発売を記念して八月二日に、お茶の水会館にてGM-CSF吸入療法説明会と御茶ノ水ソラシティカンファレンスセンターにて、サルグマリン講演会が開催された。また翌週の八月七日にはサルグマリンのメディアセミナーがノーベルファーマ本社で開催され、多くのメディアが現地およびWEBで参加があった。登壇にたったのは、「新たな顆粒球マクロファージコロニー刺激因子（GM-CSF）吸入療法の画期性について」中田光特任教授（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）・「サルグマリンの効果について」石井晴之教授（杏林大学呼吸器内科学）・「GM-CSF製剤吸入療法の経験談、未来に向けてのお願い」小林剛志（日本肺胞蛋白症患者会代表）である。また、患者会自体も、これまで新潟日報・医薬経済・読売新聞大阪支社・共同通信から取材を受けている。その状況はフェイスブック等患者会のメディアにアップしているので、是非参照していただきたい。

勉強会の案内

日本肺胞蛋白症患者会　第16回勉強会（2024年度総会）　会場およびZoomで実施予定

日時　2024年12月7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

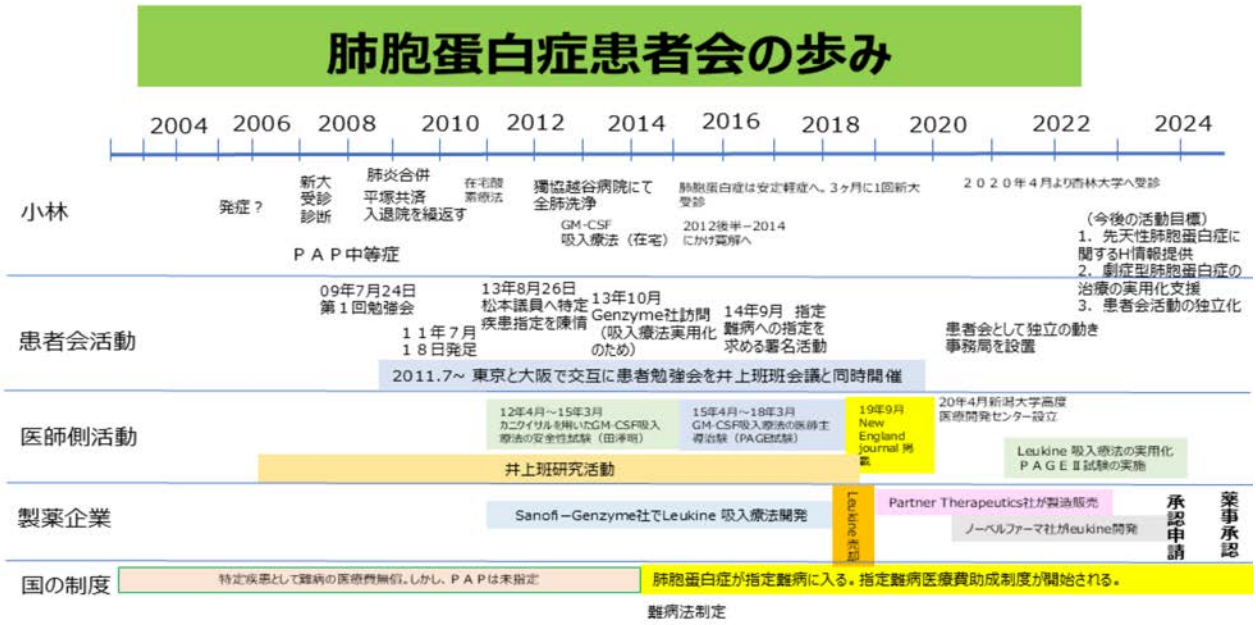
会場　御茶ノ水ソラシティカンファレンスセンター2F「TerraceRoom」

〒101-0062 東京都千代田区神田駿河台4-6

勉強会のお知らせ

患者会これまでの歩み

十三年の歩みと次のステージ



平成二十三年七月十八日、東日本大震災の影響がある中、患者会が発足しました。患者会は他の患者会を参考にしながら、活動をスタートさせてまいりました。活動当初は、どのように目的を達成すればいいのか分からず、ただただ烏合の衆でした。

患者会は、これまでの十三年間の活動の中で、いくつかのターニングポイントを迎えてきました。「患者会の設立（研究班の支援）」「難病指定の拡大」「国会議員へのアプローチ」「New England Journal of Medicine 掲載（2019年）」などが、その代表的な例です。

設立に大きく支援をいただいたのは、近畿中央胸部疾患センター（当時）の井上義一先生です。井上先生は、研究者代表として「肺胞蛋白症の難治化要因の解明、診断、治療、管理の標準化と指針の確立研究班」を率いておられました。会場の手配から、勉強会の講師派遣、患者への呼びかけまで、様々な面でサポートをしてくださいました。この活動に深く関わり、患者会設立の礎を築かれた井上先生には深く感謝申し上げます。

平成二十七年には、肺胞蛋白症が指定難病になりました。難病は、患者数が少なく、製薬会社が積極的に取り組みにくい疾患です。そのためには、指定難病となり各種保険適用となりやすい体制となることが重要と考え、第二次安倍内閣発足とともに、難病の医療費助成対象疾患を五十六疾患から三百疾患以上に拡大することを発表した厚生労働省に働きかけました。当時、中田教授の旧知の仲である染谷渋谷区議会議員から紹介をいただき、国会議員であった松本文明議員には、この活動に尽力いただき、深く感謝申し上げます。もちろん、井上先生率いる研究班が長年積み重ねてきた肺胞蛋白症に関する研究成果が、この拡大に大きく貢献していることは言うまでもありません。また、患者会としても署名活動を実施しました。

令和元年には、東京医科歯科大学田澤立之教授（当時新潟大学）が、自己免疫性肺胞蛋白症に対する酵母由来組換えGM-CSF（Leukine）の医師主導治験の結果の論文を New England Journal of Medicine に掲載されました。この論文掲載により、ノーベルファーマ（株）が製剤の輸入元となる道が開かれました。また、承認や後の診断機器に関して、縦割りだった厚生労働省に対して、必要な部署に交通整理を行ってくださった「自見はなこ議員」（前内閣府特命担当大臣）のお力添えがあったことで、承認期間も九か月以内となりました。こうして、GM-CSF吸入療法薬は国民皆保険制度が適用され、皆様にお届けできる状況になりました。しかし、現段階で処方できる施設が全国で十二施設しかないこと、冷凍製剤であるため薬の管理や運搬が煩雑であること、軽症の事例では適応できないことなど、課題も多く残されています。患者会としても、引き続き活動を続け、患者さんのために尽力してまいります。

今後の活動方針は、患者間のコミュニティを充実させてゆく活動を行うことも当然ですが、災害が多い日本でどう対応するかを勉強してゆきたいと思います。また若年層の肺胞蛋白症にも引き続きスポットを当てて活動してゆきます。

編集後記

子供が成人し、昨年ワン・ニャンが家族の仲間になった事をご報告しましたが、新たに大きな問題が発生しています。それは、遠く離れた実家、親の介護です。以前からセミナー等に参加して心づもりはできていたとおもっていたのですが、コロナ開けの実家は壮絶なゴミ屋敷となっていました。原因糖尿病に起因するは母の痴呆症発症です父は存命ですが・・。現在格闘中です・・・・・・・小林