

遠位型ミオパチーの治療薬早期実現に関する意見書

「遠位型ミオパチー」とは、手足の先の筋肉から徐々に侵されていく進行性の筋疾患（ミオパチー）であるが、いまだ国から難病指定及び特定疾患への認定は受けていない。

この疾病は、20代から30代で発症し、多くの場合、歩行困難から始まり日常生活上の介助が必要となる。やがて、座位を保つことも困難となり、ついには寝たきりになる可能性がある。「遠位型ミオパチー」には縁取り空胞型・三好型・眼咽頭遠位型と様々なタイプが存在し、いずれにしてもまだ治療法が見つかっていない。日々進行し、際限のない状況悪化に患者は多くの不安を抱きながら生活をしている。

様々な状況から、縁取り空胞型だけでも我が国に300から400人の患者が存在すると推定されるが、その実態は十分に把握できていない。近年では原因遺伝子が見つかった型もあるが、「遠位型ミオパチー」の中には、全く原因がわからない例もまだまだ多くあるとされている。

しかし、「遠位型ミオパチー」のうち、縁取り空胞型については、日本の研究者が世界に先駆けて治療法の開発研究を進めている。その研究により、大変明るい兆しが見えてきた。これを現実治療薬とするには、今まで以上に研究を推進することが必要である。さらに、新薬の研究及び製品化には製薬会社の協力が不可欠であるにもかかわらず、希少疾病であるため協力を受けるのは非常に困難である。このような希少疾病の治療薬開発は、わが国では事実上道が閉ざされているのが現状である。

よって、町田市議会は、国に対し、遠位型ミオパチーの治療薬早期実現のために、以下の事項を強く求めるものである。

記

1. 「遠位型ミオパチー」への研究費増額によるさらなる研究推進
2. 希少疾病に対する新薬開発推進制度の早急な確立
3. 「遠位型ミオパチー」の難治性疾患克服研究事業・特定疾患治療研究事業の対象疾患への指定（難病指定及び特定疾患）

以上、地方自治法第99条の規定により、意見書を提出する。