

厚生労働大臣 長妻 昭 殿

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議座長 堀田知光 殿

## クリオピリン関連周期性発熱症候群患者に対して 医療上の必要性の高い未承認薬に係る開発への要望書

### 要望の趣旨

クリオピリン関連周期性発熱症候群(通称 CAPS)の患者とその家族が将来にわたり安心して生活ができるよう、治療に対して不可欠な医薬品であるアナキンラ・カナキヌマブ・リロナセプトの一刻も早い承認を要望いたします。

### CAPS の現状

CAPSは、国内では1990年代に初めて症例報告がなされ、発症は100万人に1人、現在日本で患者数50名ほどといわれる非常に稀な自己炎症疾患で「CINCA 症候群」「Muckle-Wells 症候群」「家族性寒冷蕁麻疹」の3つ疾患が含まれます。生後ないし乳幼児期から体内の遺伝子の異常により全身に様々な炎症を起こす疾患です。症状は非常に重篤であり、炎症の沈静と再燃を繰り返しながら毎日40℃近くの周期発熱、全身におよぶ蕁麻疹様の発疹、慢性無菌性髄膜炎が引き起こす嘔吐と頭痛、水頭症、低身長などの発達障害、膝・足首などの関節炎による激痛と歩行障害、視力の著しい低下、進行性の難聴、てんかんなど、本人はもちろん患者家族の日常生活に支障をきたしています。炎症が長期に渡り蓄積されると臓器障害を引き起こし、最悪は幼くして死に至るケースもあります。

### CAPSの抱える問題

これまで治療方法としてステロイド薬やいろいろな免疫抑制薬が使われて来ましたが、病気の進行を抑えることができませんでした。医学研究の進歩によってこの病気の病態が少しずつ明らかになる一方、原因遺伝子に異常の見られない患者が存在するなどの事から発症のメカニズムは未解明ですが、アナキンラという薬剤(Biovitrum 社)が一部の患者に使用され、炎症を抑える劇的な改善が示されております。また、海外で既に承認済みのカナキヌマブという薬剤(Novartis 社)の治験が日本でも20名の患者に開始されているものの、国内では未承認のまま治療方法が確立されていません。リロナセプト(Regeneron Pharmaceuticals 社)においては海外では既に承認、普及しているものの費用が非常に高額なため患者には実際に治療で使用されるに至っておりません。国内ではこれまできちんとした議論がなされず、未承認の状態であるにも関わらず、海外と同様に国内患者にも既の実績があり、家族にとってもこれらの薬なしでの将来はありえません。海外で実証済みの優れた薬を患者が自由に選択でき、重篤なこの疾患の進行を将来にわたり阻止できるような審査・承認体制の整備を願わずにはいられません。

また、治療方法の確立とともに将来に渡る高額な医療費の継続負担においても深刻な不安を抱えています。公的医療保険制度の適用により、一人でも多くの CAPS 患者が安心して生活ができるようにご支援を賜りますようお願い申し上げます。

平成 22 年 3 月 16 日

CAPS患者・家族の会 代表 戸根川 聡  
神奈川県横浜市青葉区新石川4丁目33番地18