

あとがき

本号のゲラを拝読し、あらためて神経難病に対する本格的な薬物開発と臨床試験の時代に突入したことを実感した。さらに研究が発展し、脊髄性筋萎縮症におけるヌシネルセンのような、患者さんの人生を大きく変える疾患修飾薬が誕生することを期待したい。

しかし新薬の開発は、神経難病における超高額医療の導入といった難しい問題を引き起こすことも認識する必要がある。例えば前述のヌシネルセンは1バイアル932万円で、年3回髄腔内投与する必要がある。米国では同疾患の2歳以下の小児の静脈内投与製剤として、2019年5月にzolgensma (AVXS101) が承認された。生涯1回の投与で済むものの、現在、最も高額な2億3000万円という薬価になった。またトランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチーに対する国内初のsiRNA核酸医薬オンパットロは、1バイアル98万円、3週に1回点滴静注する必要がある、私の体重で計算すると年間4000万円近い費用がかかる。このような希少疾患に対する治療薬の上市は、薬剤費支出の増加を招く。

また超高額医薬品の適応拡大も増えていくだろう。例えば重症筋無力症に対するエクリズマブは年間4000万円ほどの費用がかかるが、2019年11月に「視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防」の適応が追加された。患者さんに光明が差す

一方、医療保険財政の圧迫要因となることは容易に想像でき、高額療養費制度、特定医療費（指定難病）助成制度を持つ日本では切実な問題になるだろう。今後、価値に見合った医薬品の価格を考える薬剤経済学や医療技術評価による分析が、適正な価格を検討する上で不可欠になり、アカデミア研究者にとっても欠かせない知識となるだろう。

加えて認識すべき問題は、希少ではない神経疾患に対しても超高額医薬品が使用される時代に突入することである。玉岡によるアルツハイマー病の稿にあるように、一度は無益性解析により開発が中止された抗アミロイドβ抗体 aducanumab が、新たなデータセットを追加し解析し直したところ、主要評価項目を達成し、2020年にFDAに承認申請されることが、2019年10月に発表された。すべてのアルツハイマー病患者に超高額医薬品を使用することは医療経済学的に不可能であり、その場合、誰がその治療の恩恵を享受することができるのか、倫理的な議論が必要になる。

結論として、神経難病における新薬開発が、医療破綻をきたさないよう知恵を絞る必要がある。これにはP4P (pay for performance) のような、医療の質に応じて診療報酬の支払いも変化させるプログラムの導入や、可能な限り安価な医薬品開発を目指すという研究者の経済的な観点も必要になるものと考えられる。
(下畑享良)

編集顧問

生田 房弘	石塚 典生
糸山 泰人	内山真一郎
大友 英一	梶 龍児
河村 満	桑原 聡
高坂 新一	作田 学
杉田 秀夫	辻 省次
寺本 明	中里 洋一
中込 忠好	彦坂 興秀
平山 恵造	藤澤浩四郎
真柳 佳昭	水澤 英洋
水野 美邦	森 啓
柳澤 信夫	

編集委員

神田 隆 (編集主幹)	
酒井 邦嘉	下畑 享良
高尾 昌樹	三村 将
虫明 元	

編集同人

入来 篤史	岩田 淳
宇川 義一	内原 俊記
大隅 典子	岡部 繁男
木村 和美	久保 義弘
栗栖 薫	小林 靖
斉藤 延人	砂田 芳秀
高橋 良輔	瀧山 嘉久
武田 伸一	千葉 厚郎
平田 幸一	寶金 清博
星 英司	星野 幹雄
本田 学	松野 彰 (五十音順)

オンライン投稿

ID : brain PW : nerve

本誌はMEDLINEに
収載されており、掲載論文は
PubMedで検索可能です。

BRAIN and NERVE 第72巻第1号

2020年1月1日発行 (毎月1回1日発行)

定価：本体2,700円＋税 (送料実費)

2020年間購読料 (送料弊社負担・本体価格)

冊子版 34,080円

電子版／個人 34,080円

冊子＋電子版／個人 39,080円

ご購入に関するお問い合わせ先 (販売部直通)

TEL 03-3817-5659 FAX 03-3815-7804

印刷所

(株) アイワード TEL 011-241-9341

広告申込

(株) ハイブリッジエージェンシー TEL 03-3814-0089

◆本誌に掲載された著作物の複製権・翻訳権・上映権・譲渡権・貸与権・公衆送信権 (送信可能化権を含む) は株式会社医学書院が保有します。

◆本誌を無断で複製する行為 (複写、スキャン、デジタルデータ化など) は、「私的使用のための複製」など著作権法上の限られた例外を除き禁じられています。大学、病院、診療所、企業などにおいて、業務上使用する目的 (診療、研究活動を含む) で上記の行為を行うことは、その使用範囲が内部的であっても、私的使用には該当せず、違法です。また私的使用に該当する場合であっても、代行業者などの第三者に依頼して上記の行為を行うことは違法となります。

【JCOPY】 (出版者著作権管理機構委託出版物)

本誌の無断複製は著作権法上での例外を除き禁じられています。複製される場合は、その都度事前に出版者著作権管理機構 (TEL 03-5244-5088, FAX 03-5244-5089, info@jcopy.or.jp) の許諾を得てください。

◆「BRAIN and NERVE」は株式会社医学書院の登録商標です。

発行 株式会社医学書院
代表者 金原 俊

〒113-8719

東京都文京区本郷1-28-23

編集室直通

TEL 03-3817-5701

FAX 03-3815-7802

E-mail bn@igaku-shoin.co.jp

http://www.igaku-shoin.co.jp/

mag/bn

担当：小路・小段・前野

Published by IGAKU-SHOIN
Ltd., 1-28-23 Hongo, Bunkyo-ku,
Tokyo ©2020, Printed in Japan