

「保健医療科学」
第 60 巻 第 3 号 予告

平成 22 年度 国立保健医療科学院年報

序
概要
教育訓練
活動報告／研究業績目録
事業報告
その他

編 集 後 記

難病の 4 要件（①希少性、②原因不明、③効果的な治療方法未確立、④生活面への長期にわたる支障）のうち、①は疾患が②、③となりうる条件の一つである。つまり希少であるがゆえに症例の集積などが困難となり、病態・病因の解明のための基礎研究、治療法開発のための臨床研究が十分に進まず、その帰結として②、③となる。アメリカの NIH は「rare」に焦点を当てて研究助成を行い、②、③の解決を目指す。rare disease のための orphan drug は、orphan（孤児）のように研究から取り残された医薬品であり、そうならないように国が開発を支援しているのである。

④は疾患が②、③である場合に生じる帰結の一つである。④を解決するために②、③の解決が求められるが、それを待つだけでなく、それを推進するための様々な働きかけが必要である。これは患者にとって本質であり、ここにおいて必要なのは患者の「意志」の力である。

②、③は①と④をつなぐ要素である。原因不明であるからこそ解明しなければならないし、治療方法が未確立であるからこそ患者のために確立しなければならない。これは研究者あるいは医師にとって本質であり、ここにおいて必要なのは研究者・医師の「意志」の力である。本特集で紹介された表皮水疱症の再生医療、ALS に対する治療法、ロボットスーツ HAL の開発、いずれも並々ならぬ研究者の「意志」の力が感じられる。

④に対する患者の意志、②、③に対する研究者・医師の意志、これらが難病の研究と対策の推進力であった（①が当初の難病の定義に含まれていなかったこともここから理解できる）。行政はこれらの意志が持続・発展するように、政策面、財政面で支援してきた。そして国立保健医療科学院は、政策面では指定研究の実施機関として、財政面では難病研究の Funding Agency として、行政を支援する役割を担うこととなった。難病対策の長い歴史からみればまだまだ新参者であるが、本特集で示された様々な問題点や課題の解決に向けて積極的に取り組む「意志」の力を示していきたい。

（健康危機管理研究部 武村真治）