

# 希少難病治療一筋の光

患者数が極めて少なく、実態が国内で把握されていない「希少難病」について、患者のiPS細胞(新型万能細胞)や遺伝子情報を一括して管理し、それを研究者に提供して新治療法や創薬に役立てる「iPS・ゲノムバンク」構想が動き出した。北区に事務局を置くNPO法人が中心的な役割を担っており、同法人は「患者と研究者がバンクを通じてつながることで難病克服への希望を見いだしたい」としている。

(上野将平)

厚生労働省は、パーキンソン病や劇症肝炎など、原因不明で、患者の生活に多大な支障が出る病を「難病」と認定。研究費を公費で捻出し、治療法の確立などを

支援している。しかし、同省が研究奨励や臨床調査の対象とする難病は300余りにとどまり、数え上げれば5000〜7000種にも上るとされる希少難病の大半は、その枠外に置かれている。

バンクを提唱したNPO法人「希少難病患者支援事務局」(SORRD)には約350人の患者が登録して



シンポで希少難病患者が置かれている窮状について訴えた中岡亜希さん(左)(2月6日、京都市内で)

いる。同法人は先月、京都市内で希少難病について考えるシンポジウムを開いた。

が衰えていく難病で闘病中のSORRD副代表・中岡亜希さん(34)(宇治市)が、車いす姿で登壇。「私の病

## 患者と研究者つなぐ

るが、長年、違う病気と診断され、それぞれに違う薬が処方されていたこともある。希少難病は研究者がおらず、病名さえはっきりしないものも少なくない。それほど患者は孤立しているのです」と訴えた。

今回、SORRDが声を上げることで、iPS細胞を研究する東海大医学部(神奈川県)や、病気を引き起こす原因遺伝子の解明に精力を注ぐ国立遺伝学研究所(静岡県)などがバンクに協力することになった。

国が認定する難病では、実態調査が進み、研究者は多くのサンプル資料を頼りにして比較的、研究を進めやすい環境にある。しかし、ほとんどの希少難病は、中岡さんが訴えた通り、患者も、そして研究者も孤立しているのが現状だ。

バンクでは、患者は自らの血液を元に作製されたi

PS細胞や遺伝情報を提供し、研究者はそれを活用して新治療法や創薬の研究に生かす。研究者が多様な患者のデータを入手できる仕組みにして、医学的に大きなブレイクスルー(躍進)を実現するのが狙いだ。

急速に進化しているiPS細胞の技術を用いれば、希少難病者の原始的な細胞が、どのようなトラブルを抱えた臓器や筋肉に変わっていくかを追跡することができる。それを見極めながら対策を考えていくのだという。

SORRDの小泉二郎・代表理事は「より多くの研究者が希少難病の研究に取り組む基礎環境を整えていきたい。ただ、希少難病は患者が少ないからこそ、患者自身も積極的にアクションを起こして、社会の理解を広げていく必要があると感じている」と話している。