企画・制作=日本経済新聞社コンテンツユニット 広告

希少疾病、7割が小児で発症 医薬品開発 誰一人取り残さず

2月28日（毎年2月末日）は Rare Disease Day（世界希少・難治性疾患の日）

今年創業30周年を迎えるシミックグループ。日本の医薬品開発支援（CRO=Contract Research Organization）のパイオニアとして製薬産業を支えてきた同グループは、一般生活者向けのヘルスケア分野にも事業を拡大している。同時に、患者数が少なくビジネスモデルとしての確立が難しい希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）の開発や製造販売にも力を入れる。シミックホールディングスCEOの中村 和男氏と同グループ・オーファンパシフィック社長の原 愛氏は、病に苦しむ人たちを取り残さないとの共通の思いを持つ。

シミックホールディングス株式会社
代表取締役 CEO
中村 和男 氏
（ナカムラ カズオ）

患者と家族が切望 新薬の支援使命

――シミックグループの事業内容を教えてください。

新しい薬を患者さんのもとへ届けるには、薬の発見から研究開発、そして承認プロセスを経て、製造・販売まで長く複雑なプロセスがあります。かつて、新薬開発を担う製薬企業ではこれらのバリューチェーンを自社で完結していましたが、現在では開発を支援する私どものようなサービスが医薬品開発には欠かせないものとなっています。

シミックグループは疾患予防・治療の研究開発を総合的に支援するCROをコア事業に、医薬品製造から営業・マーケティングに至るバリューチェーンを支援すべく業容を拡大し、製薬企業やバイオベンチャーなどのニーズに合わせたソリューションを提供しています。

――オーファンドラッグ事業にも取り組まれているそうですね。

世界には有効な治療手段がない希少・難治性疾患がたくさんあります。患者数が少ないために研究が難航し、採算性から治療薬の開発もなかなか進みません。医療サービスから取り残された患者さんやご家族はどれほど不安なことでしょう。新たな治療手段を待ち望む患者さんやご家族たちの思いに応えるために何ができるのか。一方、病気を発症するメカニズムが明確な希少疾病も多く、オーファンドラッグの開発は他の新たな治療薬へとつながる可能性もあり、サイエンスの面からも大変興味深い領域です。

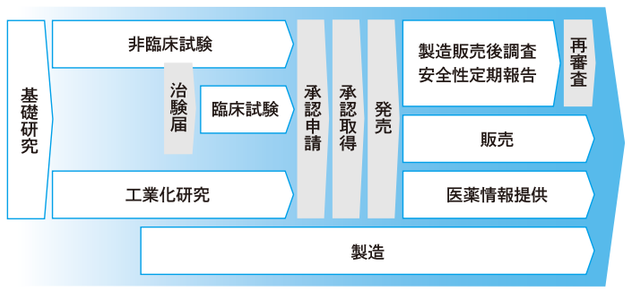
我々は当社のビジネスモデルこそが、オーファンドラッグの開発においても新薬をより早く、そして安定的に患者さんの元にお届けすることに役立つと考えました。そこでグループの力を結集し、2012年にオーファンドラッグ事業に特化した「オーファンパシフィック」を設立し、すでに7品目の希少疾病に対する治療薬を提供しています。

――RDDに向けてのメッセージは？

シミックの企業理念である「CREED」では「一度しかない人生を誰もがその人らしくまっとうしていくためにヘルスケア分野に革新をもたらすことを志とする」と掲げています。オーファンドラッグの開発には研究者や医師をはじめとした医療関係者、製薬企業だけでなく、患者さんやご家族の力も欠かせません。新しい可能性を一緒に切り開いていきましょう。また、希少疾病の治療薬開発に尽力されている研究者や企業の皆さん、何かお困りのことがありましたら、ぜひ一度ご相談ください。

最後になりますが、こうした病気を持つお子さんにも「こどもお絵かき大募集」に作品のご応募をお勧めください。純真無垢な絵を通して、お子さんたちの持つ無限の可能性に気づかされ、希少疾病克服への勇気につながるのではないでしょうか。

製薬企業のバリューチェーンを総合的に支援



3億人が待つ希少疾病薬 持続性高める

――希少疾病とはどんなものでしょう。また患者や家族が抱える問題とは？

一言でいえば患者数の少ない「まれ」な病気だということです。治療法や治療薬がない難病であることが多く、約6000種類の疾患があるといわれています。全世界では合わせて約3億人の患者さんがいると推定されており、その意味ではまれとは言えないかもしれません。

病気そのものが医療関係者や研究者にもよく知られておらず治療法の研究・開発が進まない点が大きな問題です。専門の医師しか診断できずに、多くの医療機関を渡り歩いてようやく確定診断にたどり着くといういわゆるドクターショッピングの状態になることもあり、確定診断まで平均して5～7年かかるという報告もあります。

患者さんの立場から見ると、治療薬がないことに加え病気に対する社会の認知度が極めて低く、周囲からの理解が得られず孤立や生きづらさを感じてしまうことも問題です。私が以前勤めていた会社にも希少疾病を抱えた同僚がおり、通院や入院のための早退や欠勤が多いことで、周囲の人との関係性が難しくなってしまうことがありました。

――オーファンドラッグ開発の上での問題点は？

やはり患者さんが少ないことが様々な問題につながります。例えば当社が最初に治療薬の販売を手掛けた尿素サイクル異常症や急性ポルフィリン症では国内の患者数はそれぞれ300人、40人程度です。そのため治験の実施自体が難しく開発がなかなか進みません。また開発に成功しても、本来その薬が必要な患者さんにきちんと届いているかの確認も難しくなります。

もう一つはやはり採算性の問題です。患者数が数十人の薬でも品質や安全性の確保などは一般の薬と変わらず、かなり高コストとなることは避けられません。当社では収益性の少ないオーファンドラッグでも日本の患者さんにもお届けできるよう、海外の企業と協力して効率的に開発や承認申請を行うなど、事業を持続可能なものにしています。

――希少疾病啓発にどのようにに取り組んでいますか。

本日2月28日は世界希少・難治性疾患の日（Rare Disease Day＝RDD）です。RDDはより良い診断や治療による希少・難治性疾患の患者さんの生活の質の向上を目指して、スウェーデンで2008年から始まった活動です。シミックグループも15年からRDDの趣旨に賛同し、啓発活動や様々なイベントなどを開催しています。

当社の入居する東京・浜松町ビルディングを拠点とし、他のテナント企業様にもご理解やご協力を呼び掛けながら啓発活動や寄付事業を実施、集めた資金をRDD日本開催事務局に送り、日本各地での啓発活動などに利用いただいています。

また当社独自の取り組みとして患者さんと家族の声を届けるセミナーの開催や、事務局の主催する「こどもお絵かき大募集」への支援も実施しています。希少疾病にまず関心を持っていただき、そうした病に苦しむ人たちの存在を身近に感じてもらうことで、誰もが住みやすい社会を作ることにつながっていくことを期待しています。

株式会社オーファンパシフィック(シミックグループ)
代表取締役社長
原 愛 氏
（ハラ メグミ）

希少疾病とは

日本では厚生労働省が、患者数が5万人に満たない疾病用の医薬品を「希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）」と指定していますが、国際的に厳密な定義はありません。世界では約6000種類の希少疾病が存在し、患者総数は約3億人ともいわれています。そのほとんどが難治性の疾患であることから、希少・難治性疾患といわれることもあります。初期に他の病気と間違って診断されやすく、確定診断までに長い年月を要することが多いことも問題です。

約6000種類※1
希少疾病として特定されている疾病数

69.9%※1
希少疾病の7割は子どものうちに発症

約3億人※1
（2.6億-4.5億人）
全世界での希少疾病患者数

5～7年※2
希少疾病の正確な診断までの平均時間

95%※2
治療選択肢がない希少疾病の割合

※1 出典：European Journal of Human Genetics (2020) 28:165-173
※2 出典：国際製薬団体連合会発行「希少疾患　誰も置き去りにしない未来を創る」（2017年）

シミックグループについて

1992年に日本で最初にCROというビジネスを開始し、リーディングカンパニーとしてお客様の様々なニーズに対応してきました。今では開発から製造、営業・マーケティングまでの医薬品に関する総合的な支援業務を提供し、日本の新薬の約80%の開発に関与しています。これまで培ってきた豊富な経験とノウハウを最大限に生かし、お客様の期待に応えるとともに、新たな価値を創出できるようなビジネスモデルを構築、メディカル・ヘルスケア分野の発展に貢献していきます。

シミックグループは、2015年からRare Disease Dayの活動を応援しています。

シミックグループが展開するRare Disease Day 啓発イベント

RDD2022浜松町ビルディングウェビナー

「娘（病）とともに生きていく」

スピーカーの写真家、和田芽衣氏は、初めての出産・東日本大震災・親の介護・看取り（みとり）・娘の難病発症・退職を27歳で一気に経験しました。誰もが直面しうる厳しい現実に直面した時、どう受け止めてどう乗り越えたのか。ご自身の体験だけでなく、写真家として当事者家族として関わった、難病と向き合うご家族のエピソードを交えた「娘（病）とともに生きていく」物語をぜひご聴講ください。

Photo: 和田 芽衣

日時　2022年3月9日（水）　12:00～13:30

参加方法　オンライン特設サイトの申し込みフォームから登録いただくと、オンラインセミナーの参加用URLをお知らせします。
（予定参加数を超えた場合、ご視聴できない場合がありますのでご了承ください。）

参加無料

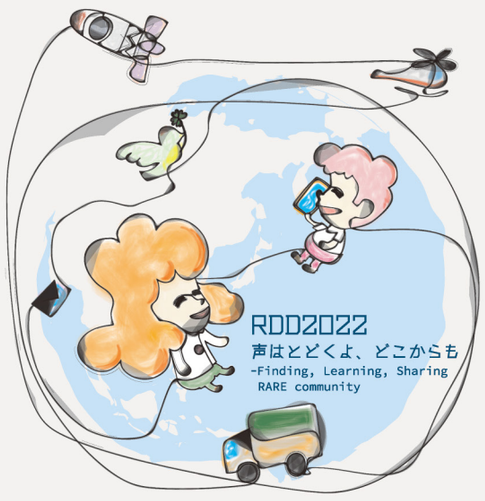
登録はこちらから

お問い合わせ
RDD2022浜松町ビルディング実行委員会
Tel：03-6779-8151
E-mail：op_rddproject@orphanpacific.com

毎年2月末日は「世界希少・難治性疾患の日」

こどもお絵かき大募集!!

RDD日本開催事務局が主催する「こどもお絵かき大募集」をサポートしています。本企画は、中学生以下の方を対象に『私の○○、みんなにとどけ！』をテーマ（例：私のすきなこと、私のゆめ、私のねがいごと、私のあいたい人など）とした絵を募集します。この活動は、より多くの方々に希少・難治性疾病を知っていただくことを目的にしています。ご応募いただいた絵は、シミックグループのホームページに掲載予定です。



■ 応募資格　中学生以下のお子さま
■ テーマ　私の○○、みんなにとどけ！
■ 応募形式　サイズ：タテ描き／A4用紙の比率
写真データ（JPEG、PNG/3MB以内）
※郵送の場合は、A4サイズの用紙か専用台紙をご使用ください。
■ 締め切り　2022年（令和4年）5月10日

お絵かきイベント詳細はこちらから

お問い合わせ
シミックホールディングス株式会社
お絵かき大募集事務局:oekaki@cmic.co.jp
RDD日本開催事務局（NPO法人ASrid内）:rdd@asrid.org

CMIC
シミックグループ
〒105-0023 東京都港区芝浦1丁目1番1号浜松町ビルディング
https://www.cmicgroup.com/