

希少疾患の患者さんの人生をより良いものに。

治療薬をお届けするだけでなく、

その先までを考える。

株式会社オーファンパシフィック 代表取締役社長

原 愛 Megumi Hara



希少疾患は患者数が少ないため、治療薬の研究開発が進みにくく、社会的な認知も低いという課題があります。シミックグループは、日本の患者さんにオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）をお届けするため、2012年、オーファンパシフィックを設立しました。希少疾患に関するシミックグループの取り組みについて、オーファンパシフィック 代表取締役社長 原 愛がご説明します。

世界の希少疾患数は6,000~8,000種類、患者数は3億5千万人。 一疾病あたりの患者数が少ないことが医薬品開発の足枷に。

希少疾患とは患者数が極めて少ない疾患のことであり、その多くは難治性の疾患であることから希少難病とも言われています。世界に6,000~8,000種類の希少疾患が存在するとされ、患者数は3億5千万人、インパクトの大きい社会課題です。日本では、オーファンドラッグの指定要件として患者数が概ね5万人未満と定義されていることから、患者数5万人以下の疾病が希少疾患と呼ばれています。疾

病により、患者数は数人から1万人を超えるものまで幅がありますが、一疾病あたりの患者数が少なく、情報も少ないため、医薬品開発の投資が容易ではなく、診断や治療法の研究が進みにくい状況です。また、診断名が明確になっても、一般の人々に向けた正確で分かりやすい疾患情報が不足していることも課題です。

「オーファンドラッグ」の指定基準

- ①対象患者数が5万人未満（アメリカの場合、20万人未満）
- ②難病などの重篤な疾病が対象
- ③医療上の必要性が高い
- ④代替する適切な医薬品や治療方法がない
- ⑤既存の医薬品と比較して、著しく高い有効性、または安全性が期待される
- ⑥開発の可能性が高いこと
- ⑦開発コストが販売から回収される見込みがない（アメリカの場合）

※日本製薬工業協会ウェブサイトより

希少疾患の「ドラッグ・ロス/ドラッグ・ラグ」解消に向けて、 オーファンパシフィックを立ち上げ。

シミックグループがオーファンドラッグへの取り組みを開始したのは、2010年のことです。欧米で承認されている医薬品が日本においては承認未取得であることを受け、厚生労働省が開催した「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」で、「ドラッグ・ロス/ドラッグ・ラグ」解消の要望が挙がったことがきっかけとなりました。

シミックグループは、強みである医薬品開発のノウハウをもとに、希少疾患である尿素サイクル異常症、急性ポルフィリン症の治験を実施して薬事承認を取得し、日本の患者さんに薬を届けるために2012年オーファンパシフィックを設立しました。これは、製薬企業のバリューチェーンを全面的に支援するシミックグループ独自のビジネスモデル「PVC (Pharmaceutical Value Creator)」をさらに強化することにもつながりました。

2023年の厚生労働省のデータによると、日本での開発が未着手であるドラッグ・ロス品目の56%は海外ベンチャー企業発の製品であり、47%はオーファンドラッグです*1。海外ベンチャーが日本事業を立ち上げる際の障害として、開発パイプラインの少なさや、薬価制度など市販後の規制動向が予測困難であることなどが挙げられます。シミックグ



海外では標準薬として使用されているにもかかわらず、対象患者数が少なく、日本では開発に着手すらされていないオーファンドラッグが数多くあります

ループは、PVCモデルを通じて、日本国内での開発から市販後までを一貫してサポートし、日本法人を立ち上げなくても、オーファンドラッグの上市が可能です。製造販売をオーファンパシフィックが担うことで、オーファンドラッグをいち早く日本の患者さんにお届けし、ドラッグ・ロスの解消に貢献したいと考えています。

※1：厚生労働省サイト「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会 報告書 参考資料」より

患者さんの困りごとを解決したい。 そのために「なんとかできる方法はないか」と考え続ける。

患者数が非常に少ない希少疾患の患者さんへ薬を届け続けるためには、従来の製薬会社と同様のやり方では、事業として継続させていくことは困難です。オーファンパシフィックでは、どのようにすれば困っている患者さんに薬を届けつつ、事業の継続性が確保できるのかを考え、常に新たなビジネスモデルの構築にチャレンジしてきました。従



欧米で使われている薬を日本でも使用できるようにサポート

前は長期収載品とオーファンドラッグの両輪で事業を進めてきましたが、今後は長期収載品だけでなく、会社の成長につながる製品も手掛け、より多くの患者さんに薬を届けられるようにしていきたいと考えています。

一方で、患者さんの困りごとは治療薬だけではありません。希少疾患について一般の人にわかりやすい情報が広がっていないことも課題の一つです。希少疾患は、誰もが知っているような疾患と異なり、あまり知られていないがゆえに周囲の理解が得られにくく、治療しながら働くことの大変さや、生きづらさを感じている方が多いと聞きます。そういった“生きづらさ”を社会全体で解消するため、「Rare Disease Day (世界希少・難治性疾患の日)」への協賛や、社内外への啓発活動を行っています。

また、患者さんやご家族の声を聴き、ニーズを理解したうえで、その声を事業に反映していく活動を今期より開始し、まずは自分たちにできることを社員全員で考える社内ワークショップを開催しました。今後は患者団体の方と定期的に会合を持ち、治療しながら社会で生きていく患者さんとご家族と共に何ができるのか、考え続けていきたいと思っています。