

難病の新薬は1回2億円超 「財政を圧迫」説は本当か

有料会員限定記事

編集委員・田村建二 2019年9月24日17時00分

シェア

ツイート

ブックマーク

スクラップ

メール

印刷

[list](#)

2

続きを読む



米国で承認された新薬「ゾルゲンスマ」（ノバルティス社のサイトから）

1回あたりの治療費が日本円換算で2億円を超える新しい薬が米国で承認され、日本でも承認に向けた審査が続いている。ノーベル賞を受けた研究成果から生まれたがん治療薬「オブジーボ」をはじめ、最近は高額な薬が次々に登場し、「国の財政が圧迫される」という指摘も出ています。本当にそうなのでしょうか。史上最高額ともいわれる新薬にはどんな効果があり、どのような病気に挑むのでしょうか。

[PR]

この薬はノバルティス（本社・イスラエル）の「ゾルゲンスマ」。米食品医薬品

局（FDA）が今年5月に承認しました。開発したのはノバルティスがすでに買収している米国の「アベクシス」という会社です。公表された治療1回あたりの価格は212万5千ドル。日本円だと2億3千万円に相当します。

日本でも今年5月に治療1回あたり3300万円を超す公定価格が決まった白血病などの治療薬「キムリア」は、米国での承認時の価格が47万5千ドルなど（価格は複数）と、高い効果とともに高額さが話題になりました。ゾルゲンスマの価格はこれをはるかに上回ります。FDAの承認を受けて米国では「世界最高額」などと報じられました。

（あわせて読みたい）血液がん治療に光、新薬「キムリア」開発の経緯を聞く

医療と健康のホント

さまざまな情報があふれていま、知っておきたい「ホント」です。



紙面にプラス

デジタル限定

PR 注目情報

「魔法の金属」作った町工場のスゴワザ

1000分の3ミリの技術

宮崎、大分の豪華特産品が当たる！

ハッシュタグキャンペーン、開催中

国公立大学 進学のすすめ 2019

京大、大阪府立大、神戸外語大ほか

お題は「はじめて」川柳募集！

賞金10万円他、豪華家電プレゼント

日本社会は妊活をサポートできているか

厚生労働省にインタビュー

「2人に1人ががん」の時代

家族のためにも知っておきたい話とは？

アクセスランキング

もっと見る

読まれています

昨日のトップ5

同居の養女に性交未遂、男に懲役5年の判決 岐阜地裁

「石炭はセクシーじゃない」NYで日本の火力発電に抗議

「漫画村はあなたなの？」 息子の答えに母は察した

「キムリア」を共同開発した米国・ペンシルベニア大の研究者が語る、「高額」になる理由とは

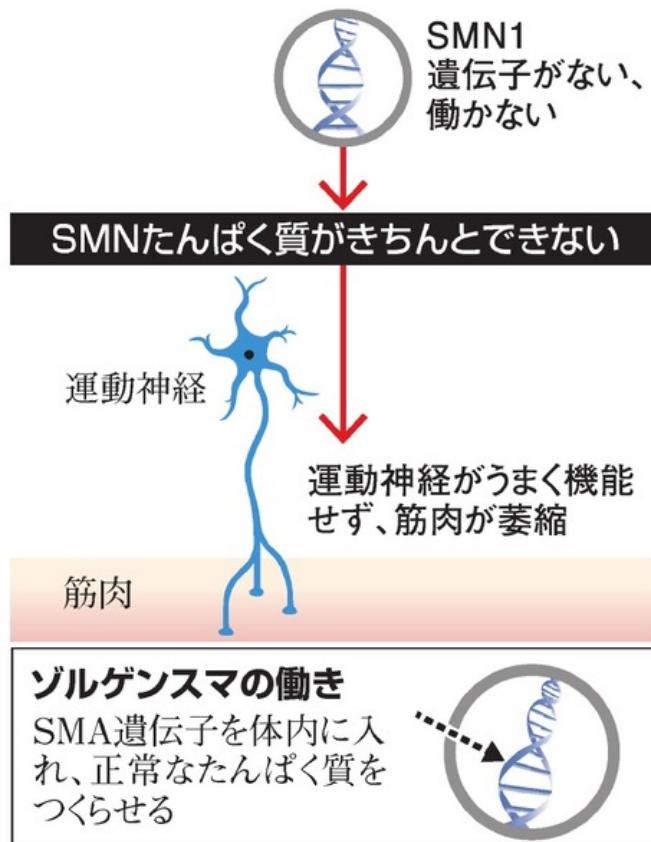
遺伝子を入れ働き補う

ゾルゲンスマには、一般的な薬と違った特徴があります。体の中に「遺伝子」を届けるというものです。人間は2万あまりの遺伝子を体の中に持っていて、体をつくったり、機能を保ったりするために働いています。このうち特定の遺伝子がうまく働かず、病気につながっている人に、正常な遺伝子を届けて働きを補ってもらいます。

治療では、遺伝子を「ベクター」と呼ばれる入れ物に封じ込めて、点滴で体に入れます。ベクターで運ばれた遺伝子は、細胞の中にある核という場所に届きます。ここでうまく働かなくなっている患者の遺伝子の代わりに、ベクターで運んだ遺伝子が機能を発揮します。ゾルゲンスマのような薬は「遺伝子治療薬」と呼ばれていますが、実用化された遺伝子治療薬はまだわずか。それだけにつくるのに費用がかかります。

治療対象となる病気は、運動神経が適切に機能しないために筋力の低下などを招く「脊髄（せきつい）性筋萎縮症」（SMA）という病気です。ほとんどのSMAは、運動神経にかかる「SMN1」という遺伝子の問題によって起きます。ふつうの人にはあるこの遺伝子が失われているなどして、SMNというたんぱく質がうまくつくれないため、運動神経の働きが保てないです。そのため、患者の筋力が落ちたり、筋肉が萎縮してしまったりします。

SMAはこんな病気



呼吸器なければ2年以内に死亡

この病気に詳しい東京女子医科大の斎藤加代子・臨床ゲノムセンター所長によれば、SMAの患者は日本では10万人あたり1~2人、1400人ほどと推定されています。発症したときの年齢や運動機能によって大きく四つのタイプに分類され、最も重いI型では

「坊主頭と選べ」少女に性的暴行未遂元養父に実刑判決

嵐の相葉雅紀さん、出身地・千葉に台風義援金6千万円 [台風15号支援通信]

ソーシャルランキング

もっと見る

フェイスブック はてなブックマーク

1 「山本太郎君に表彰状を」 811

2 日本の石炭火力に抗議デモ 708

3 食べ物持ち込みOK 494

Facebook | Twitter | 記者ページ

注目コンテンツ

ご案内

[&w]

どこか人間っぽい動かない鳥

ハシビロコウのすべて



[&TRAVEL]

街に増殖したハートマーク

永瀬正敏が撮ったブルックリン



[&M]

ハーレーを1馬力でも上回る

ホンダ・ドリームCB750 FOUR



[&w]

ギリシャのレモンチキン

私のファミリーレシピ



好書好日

スーパーあかちゃん大活躍

絵本・どんどこ ももんちゃん



論座

フィルターとニュースの関係

今日の編集長おすすめ記事



エアラスタイルマガジン

コーチのバッグに新色が登場

装いに知性を与える色（PR）



T JAPAN

「ギガル」のワインづくり

ワイン、そして家族への愛



GLOBE+

ベンチャーアイデア倒産、悟った真理

この名言、誰でしょう



sippo

少年院で保護犬を訓練

少女と一緒に大きく成長



お金は大切！株式について学んでみませんか？

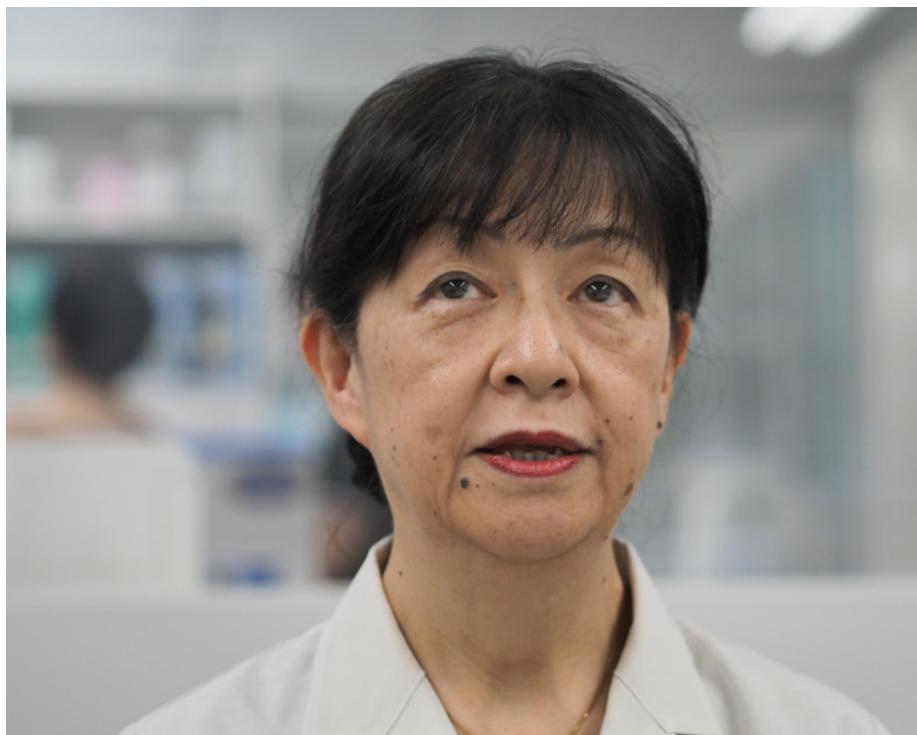
「大学のいま」を徹底取材！関西の【大学力】

早稲田実業の校長が考える「学びの形」

自分で測る。健康を保つための新習慣

新しいがん治療を生みだすデータサイエンス

生後6カ月までに発症し、呼吸にかかる筋肉の力も弱くなるため、人工呼吸器を使わなければ2年以上生存することは難しいと言われています。



「遺伝子の解明とともに、SMAの治療技術は大きく前に進んだ」と話す東京女子医大の斎藤加代子・臨床ゲノムセンター所長

ゾルゲンスマは、ベクターにSMNの遺伝子を入れて、運動神経の細胞に届け、患者の遺伝子に代わってSMNたんぱく質をつくらせるように働きます。運動神経の機能を正常にすることで、筋力が落ちたりするのを防ぐ作用があります。治療は1回の点滴だけで終わります。

遺伝子の問題が引き起こすSMAはかつて、有効な治療がない病気でしたが、ゾルゲンスマとは少し違ったタイプの「スピニラザ」という治療薬が2年ほど前に日本でも承認されました。遺伝子の解明が近年大きく進み、治療薬の開発につながりました。

正常な子と変わらぬ効果も

ゾルゲンスマがFDAに承認されるのにあたって、2歳未満の1型の患者を対象とした二つの臨床試験の結果が評価されました。アベクシス社によると、今年3月までの段階で、ゾルゲンスマで治療を受けた22人（平均月齢13.8カ月）のうち20人が継続的な呼吸の補助なしで生存し、1人が自力で少なくとも30秒間、座ることができているそうです。1型の子はふつう、座ることができません。また別の試験では、12人中2人が補助なしで立ち上がり、歩けたとされています。個人差があるものの、よく効いた患者では正常の子と変わらないほど、運動機能の数値が高くなっていました。

日本でも、この薬を待ち望んでいる人たちがいます。

川崎市 の梶佐古（かじさご）成輝（なるき）くん（4）は、1歳のときにSMA1型と診断されました。母親の未央（みお）さん（36）によると、生まれて間もなく、抱っこしたときにしがみつく力が弱く、母乳を飲んでも疲れてすぐにやめてしまいがちだったそうです。

診断を受けて、成輝くんは昨年2月からスピニラザを使っています。効果が認められ、いまは上体をしっかり固定できる特性のいすに座ってすごすことができ、幼稚園にも通っています。手に力が入りにくいため、絵を描くのに周囲よりも時間がかかるそうですが、劇の発表会などでせりふを覚えるのが得意です。

「里親制度」を知っていますか？

MBA、夢じゃない 社会人大学院

商談件数4倍、売り上げ2倍になった企業も！

「生徒を縛りつけない学校」とは？

アナタの実家が空家になる日 リスク回避策は？

家を建てるならまずは！無料でカタログ請求

成田発直行便で9時間弱。世界一幸せな島国へ

さだまさしコラボ「あ、さだ館」をプレゼント

ルコント黒川周子さん・伝統への挑戦

ドラゴンボールのピッコロが学生に指導？

独立を意識したら 朝デジ会員なら簡単登録！

働き方・就活

転職情報 朝日求人ウェブ

動画ランキング

動画一覧

1

2

3

1:00

0:22

熱いから注意 自販機から出てくるおばちゃんのトースト いいいいいな~い、ばあ~メンクロウが来園者お出迎え 九州

写真

フォトギャラリー



世界最古のミニは日本にある

踊る高校生の祭典「ダンスドリル」

踊る「



梶佐古成輝くん。劇のせりふを覚えるのが得意だ。「安室ちゃん」が好き＝川崎市

たんを出す力が弱いため、定期的な吸引が必要で、睡眠時は鼻にマスクをつけるタイプの人工呼吸器を使っています。もう少し筋力がつけば、できることは大きく増えるはず。FDAが認めたゾルゲンスマの対象は2歳未満ですが、未央さんは「少しでも早く、ゾルゲンスマをより多くの患者が使えるようになってほしい」と話します。

1回の治療が2億円相当という、ゾルゲンスマの価格はどのようにして決まったのでしょうか。

メーカー主張「従来費用の半額」

米国は、製薬会社が薬の価格を自由に設定できるなど、日本とは制度が違っています。詳しい情報は公表されていませんが、遺伝子治療薬であるこの薬の開発には多額の費用がかかったことが推測されます。

ノバルティス社は、ゾルゲンスマが高額だとする説について、「従来のSMAの治療にかかる費用の半額ほど」と反論しています。現在使われているスピニラザは、長くても半年に1回の頻度で注射を続けなければなりません。その治療費は10年間で410万ドル（約4億4千万円）にのぼると算出されるそうです。ゾルゲンスマは1回の点滴だけですむので、スピニラザよりもずっと安くてすむ、というわけです。

米国の「臨床・経済評価研究所」（ICER）という民間の非営利組織も、これまでの臨床試験の結果などをもとに、薬の費用対効果を考慮したうえで価格を評価しました。その結果、一定の条件をつけたうえで「110万～210万ドル」が適正な価格の範囲とされました。ほんの少しオーバーしているとはいえ、いまの価格はぎりぎり許容の範囲ともいえそうです。

「SMA家族の会」の大山有子会長は、「ゾルゲンスマは患者や家族にとってぜひ必要な薬。長期的にみれば、経済的にも見合っている」と訴えます。



SMA家族の会の大山有子会長。「ゾルゲンスマには現在の価格以上の価値がある」

治療をしなければ、SMA 1型のほとんどの患者は人工呼吸器を24時間つけていなければ生きいくことができません。それ以外の医療や福祉にも多くの費用がかかります。薬によって症状が軽くなればこうした費用を減らすことができ、就労の可能性も広がります。実際、働いているSMAの患者は数多くいます。「そうしたことを踏まえれば、この薬はいまの価格以上の価値があると思います」。高額であることを理由に、日本でのこの薬の導入にブレーキがかかることが心配だと大山さんはいいます。

経済の専門家「インパクトは大きくない」

薬の値段が高いと、それ自体について目がいってしまいます。最近は「高額薬が財政を圧迫する」とする意見が聞かれることも多くなってきました。ただ、国の財政に影響するかどうかは、薬価だけでなく薬を使う人の人数、さらに薬を必要とする頻度や期間がどれくらいかで決まります。日本でいま新たにゾルゲンスマによる治療対象となりそうな患者は、年間30人程度までと推定されていて、治療は1回ですむので、「財政に与えるインパクトは他の薬に比べて特段に大きいわけではない」と、医療経済が専門の菅原琢磨・法政大教授は指摘します。患者数が多く、継続して使う必要があるがん治療薬のオプジーボなどとは区別して考える必要があります。

今後も続く超高額薬「オープンに議論を」

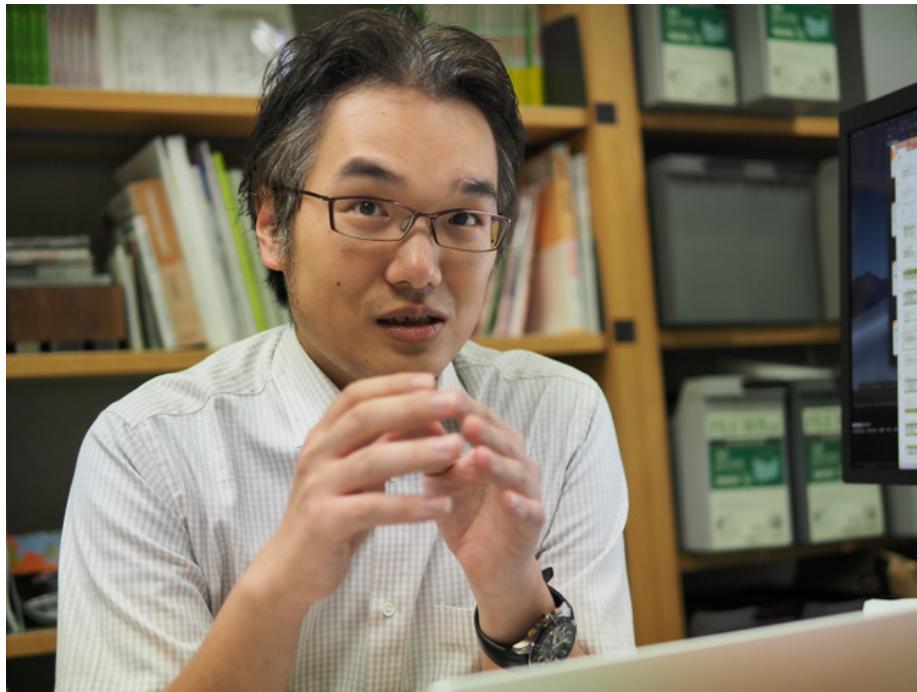
ゾルゲンスマの日本での薬価は、治療薬として厚生労働省の承認を得たうえで、改めて決められることになります。スピニラザの場合、米国で1瓶15万ドル(1620万円)とされたのが日本では932万円となりました。米国では、薬によって延びる生存期間や生活の質の向上、従来の治療費などを踏まえて、新しい薬が生み出す価値も考慮して値段が決まります。一方、日本では、似たものがない新しい薬の値段は、研究開発や製造にかかる費用に製薬会社の利益を上乗せして決められるのが原則で、考え方が少し異なります。

横浜市立大の五十嵐中(あたる)准教授(医薬政策学)は「オプジーボやキムリアなど、効果は高いが高額の薬が次々と登場し、薬の価格に対する社会の関心が一気に高まった」と指摘します。またすでに、1年間の治療にかかる薬剤費が1億円前後に達する薬はまれではありません。これらは基本的に、患者数の少ない「希少疾患」の治療薬です。

これまで希少疾患の薬の値段や費用対効果が話題になることは多くありませんでした。しかし、SMAは希少疾患であるにもかかわらず、FDAの承認をきっかけにゾル

ゲンスマの価格が社会から大きく注目されました。

五十嵐さんは、むしろ薬の価格にかかる情報をもっと明らかにして、オープンな場で議論していくことを提案します。「薬価だけが一人歩きすると、『なんでそんな高い薬のために国の医療費を使うのか』という偏った見方につながりやすい。価格がどのように決まるのか、また価格に見合った価値があるのか、広く議論していくことが必要ではないか」。これからは効き目だけでなく、価格面からも社会に説明していくことが求められる、と五十嵐さんは話します。そのことを通じて、薬価が高いからといって患者に「冷たい目線」が向かうのを避けられるかもしれません。



「薬の価格のあり方について、もっとオープンに議論すべきだ」と話す五十嵐中・横浜市立大准教授

ゾルゲンスマを生んだ手法は今後、遺伝性の筋萎縮性側索硬化症（ALS）の治療薬開発にも活用されていくそうです。遺伝子技術を活用した新薬の開発は世界でますます活発になっていて、より多くの人がこうした薬を使うようになっても不思議ではありません。画期的な医学研究の成果を社会としてどう受けとめるのか、対応が問われます。ゾルゲンスマは年内にも承認される見通しとされています。（編集委員・田村建二）

（こんな記事も）新薬3千万円超は高すぎ？ 不透明な原価計算に国がメス

約3349万円という薬 白血病治療薬「キムリア」の登場で、薬の原価計算のあり方が議論になっています。薬価改定に向けた、厚労省の対応策とは。

関連ニュース

- お父さんは小腸がん 抗がん剤研究員の「幸せな人生」
- 精神科病院で亡くなった息子 司法解剖でわかった事実
- 高額化する薬剤費、一人ひとりに出来ることとは？

こんな特集も

- ポロシャツの開襟は台襟付きが条件。【仕事着の新ルール】（エラスタイルマガジン）

トップニュース

朝日新聞デジタルのトップページへ

闘病6年「もういいよね」 18歳ユウからの4分42秒(17:00)

川遊び暗転、4人の命を奪ったくぼみ 専門家が対策訴え(16:00)

「これでダメなら」 外交主導、首相が選んだ特別な役人(16:45)

難病の新薬は1回2億円超 「財政を圧迫」説は本当か(17:00)

海図に記された北海道の小島、あるの? 海保が調査発表(18:35)

トランプ氏「電気イスだ」 民主バイデン氏への批判激化(18:13)

漫画村運営「身に覚えがない」 星野容疑者、取材に否認(17:16)

高齢者の免許や技能試験どうすれば 国民にアンケートへ(18:01)



「セクシーじゃない」

注目の有料ニュース

天声人語 | 一覧

幼い頃から売春と覚醒剤と そしてハナはデカと出会った

組み体操、市長と市教委が大バトル なぜ実施を望むのか

日本よ「変態」育て稼げ メシ・風呂・寝るは世界とずれ

おすすめ



試合日程や結果、ニュース速報をチェック



あのニュース、あの話題、まとめました

注目の動画

一覧

噴火から6年、海鳥の「楽園」に
西之島の変化、動画で

九州を襲った台風17号 竜巻・停電「トイレも流せぬ」

新着ニュース

一覧

18:53 地中海を渡る難民受け入れの分担に合意 独仏など4カ国

18:18 フィギュア樋口新葉が練習公開 「ジャンプ戻したい」

18:10 日韓防衛協力また足並み乱れ 観艦式に韓国海軍招待せず

17:56 アイルランド戦、リーチが先発外れる? 本調子から遠く

17:53 「漫画村」運営者?星野容疑者を逮捕 著作権法違反容疑

注目キーワード

新型iPhone

朝デジまとめ

京急脱線事故

京都アニメーション

一覧



台風15号 千葉支援通信

フィルターとニュースの関係

ハワイの名門ホテル
リーダーの出発点
が沖縄に

[木村充揮] インタビュー

精神科病院で亡くな
った息子車名は一般公募「パ
ブリカ」ブレイディさんを生
んだ恩師GT第7戦をフォトギ
ャラで奇跡の手書きアニメ
ーション

[母の亡骸と2週間](#)[妻が願った最期の7日間](#)[「交際相手は週何回宿泊？」](#)[中学受験すべき？は「愚問」](#)[私は政府のポチなのか？](#)[「この女を欲しいか」](#)[朝日新聞のウェブマガジン](#)**& [and] M****& [and] W****& TRAVEL****AERA
STYLE MAGAZINE****T JAPAN****オピニオン****日本よ「変態」育て稼げ**

日本にイノベーションが必要か。どうすれば起きるのか。APU学長の出口治明さんに聞きました。

**フロントライン****地獄みた男の逆襲**

「首相候補」とされながらも汚職事件で失職した中村喜四郎氏。いま、黒衣となり目指しているものは。

**T JAPAN****“愉快すぎる”音楽フェス**

世界中の新しい音楽を堪能できる「ボンクリ・フェス」。その魅力を作曲家・藤倉大さんにきいた

**& TRAVEL <PR特集>****ラグビーとフィジーの関係性とは**

第1回ラグビーW杯に出場したパウロ・ナフルさんに、フィジーの魅力についてうかがいました

**アエラスタイルマガジン<PR>****ウォーターマンに新ラインアップ登場**

他にはない滑らかな書き心地を体感。ニュー「エキスピート」のここがスゴイ！

**あわせて読みたい**

Promoted

コンコルド以来の超音速機なるか JALも意欲満々

「いちばん似合う一色を」選べる11色の日産マーチ

最初期のアウストラロピテクス、ほぼ完全な頭骨見つかる

日産自動車

前回は時の人 五郎丸、なぜW杯日本代表に選ばれない？

小泉進次郎氏、「特別な街」NYへ 「胸が苦しくなる」

ご飯にソース 注意すると…元日産幹部がみたゴーン氏

アボはキャンセル、名刺は破られ……サムライインキュベート代表取締役 柳原氏インタビュー
アエラスタイルマガジン

すべて実食！自慢の手土産。#29「茶と今日。」の日本茶
アエラスタイルマガジン

2017-18秋冬ミラノ・ファッション・ウイークで注目すべき10のこと
T JAPAN

Promoted

自分が買ったワンピースの値段で、子どもが売っていた現実、日本の大学生が始めた活…
かものはしプロジェクト on gooddo

昭和天皇と母との不仲、弟たちとの対立関係
論座

Promoted

「メンズシャンプー」30製品ランキング | 「MARO」が1位になった理由
the 360.life

Promoted

「避難所へは行くな」マンションなら当たり前
マンション元気ラボ by 大和ライフネクスト

生活費2万円でも「毎日が充実」 ピンク色と美人ギャルに囲まれて生きる現代作家
&M

中国の自動車市場に「異変」
論座

「夫の世話をサボっちゃだめ」母の入院時に帰国を止めた父
&w

佳子様が反乱を起こした相手は父親ではない(上)
論座

野村友里さん「心に刺さる、90歳の女性の言葉」
&w

Recommended by

|

ページトップへ戻る

朝日新聞デジタルの関連サイト

有料会員（フルプラン）は追加料金なしでご利用可能。詳しく»

論座
RONZA**法と経済のジャーナル**
Asahi Judiciary

朝日新聞社から
会社案内
CSR報告書
採用情報
記事や写真利用案内
新聞広告ガイド

デジタル事業から
デジタルサービス一覧
携帯サービス
Astand(コンテンツ販売)
法人向け配信
写真的購入案内
記事データベース案内
朝日ID

グループ企業
朝日新聞出版の本
朝日新聞出版(AERA dot.)
朝日インターネット
朝日学生新聞社

各言語サイト (News in various languages)
The Asahi Shimbun Asia&Japan Watch (ENGLISH)
Asahi Weekly (ENGLISH/JAPANESE)
朝日新聞中文網 (繁體字)
朝日新聞中文网 (简体字)
ハフポスト日本版 (JAPANESE)
CNN.co.jp (JAPANESE)
潮日本(CHINESE)

[サイトポリシー](#) | [サイトマップ](#) | [利用規約](#) | [web広告ガイド](#) | [リンク](#) | [個人情報](#) | [著作権](#) | [お問い合わせ・ヘルプ](#)

朝日新聞デジタルに掲載の記事・写真の無断転載を禁じます。すべての内容は日本の著作権法並びに国際条約により保護されています。
Copyright © The Asahi Shimbun Company. All rights reserved. No reproduction or republication without written permission.