

2024 年 10 月 1 日

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター(NCNP)

日本希少疾患コンソーシアム(Rare Disease Consortium Japan: RDCJ)、会員募集を開始

- 希少疾患を対象とした医療サービスや治療薬の開発に携わる企業・団体、および希少疾患の患者さん・ご家族・一般個人から広く募集
- 産学官民の協働により、患者さん中心の医療サービスや治療薬の研究開発推進を目指す

日本希少疾患コンソーシアムは、2024 年 2 月 29 日に任意団体として設立され、新しい会員の募集を開始しました。

希少疾患とは、非常に少ない人しかかからない病気を指し(日本では患者数が 5 万人未満と定義)、世界には 7000 種類以上の希少疾患があると言われています※1。これらの病気は患者数が少ないため、研究や治療法の開発が進んでいないことが多く、患者さんの声やニーズが十分に反映されていないという課題があります。また、製薬会社や医療機器メーカーにとっても、研究に必要なデータが不足していたり、臨床試験に協力してくれる患者さんを集めることが参入の障壁となっています。

※1 7,000 challenges: The basis and burden of rare diseases TIINA URV, PH.D. et al., Science (Webinar) 11 MAR 2021 <https://www.science.org/content/webinar/7000-challenges-basis-and-burden-rare-diseases>

日本希少疾患コンソーシアムは、政府、学界、産業界、患者団体が協力して希少疾患に関する課題を解決し、研究を進め、患者さん中心の医療サービスや治療薬を開発することを目的に設立されました。設立メンバーには、大学や研究機関の研究者、製薬会社の専門家、そして患者会のメンバーが含まれています。国立精神・神経医療研究センター(NCNP)は、精神疾患、神経疾患、筋疾患、発達障害に関する研究を行い、その成果をもとに先端的な医療を提供し、全国に普及させるナショナル・センターであり、難病や希少疾患の克服にも積極的に取り組んでいます。これまで

日本希少疾患コンソーシアムは、NCNP の研究費と日本医療研究開発機構の支援を受けて、神経筋領域の希少疾患に関する研究を進めてきました。

日本では、患者さんや製薬会社が研究者や医師と一緒に、希少疾患の新しい治療法開発を目指して活動する民間主導の仕組みは非常に珍しいです。この貴重な取り組みを通じて、希少疾患の治療薬開発における課題を解決していく予定です。

昨年 7 月に開催された発足記念シンポジウムでは、大学や製薬会社、患者会が一堂に会し、患者さんを中心とした創薬や医療サービスについて幅広く議論しました。その後、会員規約などの基盤が整い、2024 年 2 月 29 日（世界希少・難治性疾患の日）に任意団体としての活動を正式に開始しました。これに伴い、新たに個人会員および企業・団体を広く募集しています。希少疾患の患者会、医療サービスや創薬に関わる企業・団体の皆様のご参加をお待ちしており、共に希少疾患の患者さんにとってより良い社会の実現を目指して活動していきます。

青木吉嗣	代表	NCNP 神経研究所遺伝子疾患治療研究部
三木秀夫	事務局長	田辺三菱製薬株式会社
藤本利夫	監査役	アイパークインスティテュート株式会社代表取締役社長
犬飼直人	幹事（企業側代表）	武田薬品工業株式会社
堀田秋津	幹事	京都大学 iPS 細胞研究所
柴崎浩之	幹事	日本筋ジストロフィー協会
中村治雅	幹事	NCNP 病院
横田俊文	幹事	アルバータ大学（カナダ）
山内里夏子	幹事	バイオベンチャー
中村善隆	幹事	日本新薬株式会社
横田慎一	幹事	塩野義製薬株式会社
岩坪威	上級顧問	NCNP 理事・神経研究所所長
武田伸一	上級顧問	NCNP 名誉所長・産学連携顧問

日本希少疾患コンソーシアムおよび会員募集の概要

名称	日本希少疾患コンソーシアム（Rare Disease Consortium Japan；RDCJ）
団体の形態	任意団体
活動概要	患者さんや医療現場の抱える課題やニーズを集め、課題解決策のディスカッションを行うことで、会員機関やコンソーシアムによる患者さん中心の創薬および医療サービスの開発につなげる 【2024 年の活動予定】 ・2025 年 2 月 21 日（金）湘南アイパークにて年次大会開催 メインテーマ：産学官民で迫るドラッグ・ロスの核心～希少疾患の患者さんに新薬を届けるために～ ・日本製薬工業協会（製薬協）、未診断疾患イニシアチブ（IRUD；Initiative for Rare and Undiagnosed Diseases）と協働で、「希少疾患医療従事者（医師）の困りごとに関する調査」を実施予定

参 画 機 関	代表: 国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター 幹事: 武田薬品工業株式会社、田辺三菱製薬株式会社アルバータ大学、京都大学 iPS 細胞研究所 (CiRA)、一般社団法人日本筋ジストロフィー協会 事務局: 国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター 監事: アイパークインスティテュート株式会社
募 集 対 象	希少疾患の患者会、希少疾患の医療サービスや創薬に携わる※2 企業・団体および個人 ※2 将来的に携わる意向がある企業・団体および個人を含む
参 加 の メ リ ッ ト	【企業・アカデミア】希少疾患創薬に関して、産学間の情報交換を通じ見出された課題解決のための事業参画の機会を得られる。患者会等から生の声を聴き、疾患や生活の実態について理解を深めることができる。 【患者会・患者・家族】最先端の研究や創薬の状況を知り、また当事者としての実態を伝えることができる。
募 集 期 間	2024 年 10 月 1 日から募集開始
年 会 費	入会時および各年度(4 月 1 日から翌年 3 月 31 日)ごとに会費を納入 一口 5 万円(企業会員)、一口 1 万円(その他団体、組織)、一口 3 千円(個人)
詳 細 情 報	ウェブサイト: https://www.ncnp.go.jp/nin/guide/r_dna2/rdcj.html 申込リンク: https://www.ncnp.go.jp/nin/guide/r_dna2/rdcj_enroll_guide.html お問合せ: 日本希少疾患コンソーシアム事務局(学会支援機構内) TEL03-5981-6011、FAX03-5981-6012 E-mail: rdcjapan@asas-mail.jp
参 考 資 料	・発足記念シンポジウムプログラム: https://www.ncnp.go.jp/nin/guide/r_dna2/files/rdcj_2023.pdf ・団体規約・細則: https://www.ncnp.go.jp/nin/guide/r_dna2/files/RDCJ_Regulations_20240229.pdf

■お問い合わせ先

【研究に関するお問い合わせ】

国立精神・神経医療研究センター

神経研究所 遺伝子疾患治療研究部

青木吉嗣

〒187-8502 東京都小平市小川東町 4-1-1

電話 042-346-1720

Email: [tsugu56\(a\)ncnp.go.jp](mailto:tsugu56(a)ncnp.go.jp)

【報道に関するお問い合わせ】

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター総務課 広報係

〒187-8551 東京都小平市小川東町 4-1-1

TEL: 042-341-2711(代表) FAX: 042-344-6745

E-mail: [ncnp-kouhou\(a\)ncnp.go.jp](mailto:ncnp-kouhou(a)ncnp.go.jp)

※E-mail は上記アドレス(a)の部分を@に変えてご使用ください。