

政策策定者へ EURORDIS からの公開書簡：

COVID-19 パンデミック危機中に希少疾患患者とともに生きる人々を守るための提言

2020年4月8日

EURORDIS-Rare Diseases Europe（欧州希少疾患患者協議会）は、EU 域内、国家および地域レベルにおいて、この COVID-19 パンデミック危機対応の前線に立ち、困難な意思決定を下すことを余儀なくさせられ、極度の疲労を抱えながら対応にあたっている全ての医療関係者、看護の専門家および政策策定者の行動、取り組み、そして献身を称えます。このパンデミック危機に、政策策定者あるいは公共の保健機関が、誰 1 人として取り残すことのないよう願っていることを我々は知っています。しかし、ヨーロッパに 3 千万人、世界規模では 3 億人を数える希少疾患患者は、この危機の中にあっては最も脆弱な人々であります。そのため、我々は、現在の危機の最中に希少疾患を抱える人々、その家族、そして介護者たちの憂慮と必要性について、喫緊に対応したいと考えています。

この公開書簡を通して、我々は、ヨーロッパおよび世界中の政策策定者と当局に対し、この危機の最中に、下記に示した**推薦事項**に沿って、よりいっそう脆弱になっている希少疾患を抱える人々を守るための行動を取って頂くようお願い申し上げます。

希少疾患はしばしば慢性的であり、極めて複雑で、進行性の、そして重篤な障害をもたらすものであり、包括的かつ具体的な介護を必要とします。COVID-19 による医療と社会システムに対する影響は測り知れず、このような精神的に疲弊する時期には、希少疾患を抱える人々が受ける介護はもとより、彼らの社会・経済的地位、教育および雇用も直接的な影響を被ります。

COVID-19 が希少疾患を抱える人々の生活に、**以下の 7 つの領域**でどのように影響を及ぼしているか、そして、今後の数週間ならびに数か月間で、政策策定者は希少疾患患者コミュニティを支えるために**何が**できるかについて、各領域の課題に関する**推薦事項**を下記に説明しています。

今は、**団結、公平および協力の指針**を支持する時です。「誰 1 人として取り残さない」という約束を最後まで遂行し、**全ての人々のための普遍主義的医療制度を実現する時**です。現在の危機は、最も脆弱な人々のニーズに特に取り組むうえで強力かつ十分な財政支援を伴う公的保健および福祉システムの重要性を明確に示しています。そして、EU 域内外にまたがる公的保健政策および協働にあたっての連携の価値が高まっていることを如実に物語っています。

**本資料は作成元組織の許諾を得たうえで ASrid が和訳いたしました。*

1. 医療へのアクセス

COVID-19 感染に伴う治療処置を求める患者の急激な増加により、人的資源、医療器材（個人用防護具および呼吸補助装置といった各種装置等）および病床での医療システムの受入能力が逼迫しています。このことが、希少疾患を抱える人々にとって多くの問題を引き起こしています。

希少疾患を抱える人々がこの領域で直面している課題

- 希少疾患を抱える人々は、診断や診察への日常的なアクセスが制限され、介護の継続性が遮断されている状況に直面しています。これには、病院／クリニックで起きているルーティンの処置管理（例：輸血）が含まれます。
- 「選択的」あるいは「非不可欠」としてレッテルを貼られた医療および外科的介入が中止または延期されています。そして、移植等のその他のユニットは、COVID-19 に感染した患者用に部屋を確保すべく、閉鎖されているケースも見受けられます。希少疾患は、極端な衰弱化と命の危険につながる可能性があるため、医療介入を待つことは、症状の深刻な悪化に加え、起こり得る合併症によって、将来的に医療システムにいつその負担が生じることになる可能性があります。
- 希少疾患を抱える人々は、EU の関連法制下で提供されていた越境的な医療の権利を行使するうえで、旅行の制限により、あるいは国外の病院機関が非コロナウイルス関係の介入を中断していることにより、問題に直面しています。希少疾患を抱える人々にとって、他の EU 国で特別なヘルスケアあるいは医療処置へのアクセスすることはとりわけ重要です。これは、EU 全域を通して希少疾患の専門家が点在していること、ならびに、特定の処置が一部の病院機関でのみ可能であることが理由となります。
- EURORDIS は、一部の国において、COVID-19 のために発出された医療ガイドラインが「社会にとっての人の価値」のような概念に基づいて、障害者および／または希少疾患患者に対して差別していると指摘する報告を非常に懸念しています。
EURORDIS は、現在、COVID-19 と闘っている医療従事者・専門家の方々全員が、自身の経験と倫理的指針に基づいた決断を余儀なくさせられ、実際に真摯に取り組んでいることを称えています。しかし、なお、我々は、次のような差別的なガイドラインが、希少疾患患者およびその他の脆弱な人々に及ぼす可能性のあるネガティブな影響について憂慮をもって注視しています。
- 希少疾患を抱える人々は COVID-19 に感染した場合、彼らの看護にきちんと対応した臨床試験プログラムが整備されていない環境下の病院機関で医療を受けるという障害に直面します。すなわち、背景には、部分的には希少疾患に関する知見に限界があること、ならびに専門家が点在していることがあります。

- 希少疾患を抱える人々は、自身が **COVID-19** に感染するリスクを理由に、病院を受診することを恐れているかもしれません。あるいは、自らの基礎疾患を理由に、適切なレベルの看護を受けられない可能性を考え、そして、結果的にそれが、自宅にいることによりさらなる高いリスクに自身を晒すことになるかもしれません。
- 希少疾患を抱える人々は、**COVID-19 (PCR) 検査対象の脆弱な人々の間では、医療専門家、老人、糖尿病患者、そしてがん患者と同じように、検査対象者として十分に考慮されていません。**
- 同様に、子供たちを低リスクあるいは無症状として除外してしまう検査方法にも問題があると言えます。**遺伝性希少疾患の 70% が子供時代に端を発します。**このことは、希少疾患を抱える子供たちの大多数が **COVID-19** の危険に晒されることで、高いリスク集団を構成する恐れがあることを意味します。

政策策定者ができること

- 医療従事者と器材を再強化する目的でヘルスケアシステムへの資金注入および取り組みを指揮することにより、希少疾患を抱える人々のためのケアの継続性ならびに診療相談へのアクセスを保護してください。また、このことは、トリアージという手段を駆使する必要性の回避にもつながる。
- とりわけ、ヒト由来物質 (SoHO、移植用臓器・輸血用血液など) の場合は、必需品・サービスとして自由に流通することを確保し、ECDC のガイドラインに従って、SoHO の適切かつ持続的な供給に対して **COVID-19** がもたらすリスクを軽減するための対策を実施してください。
- 患者のためのケアの継続性を確保し、通院目的の外出を避けるために、バーチャル診療相談 (オンライン診療)、あるいは家庭環境におけるセラピーなどの実施を奨励し、促進してください。こうした対策は、実際に診療する人々に対する個人用の防護具の適切な供給と一体化されなければなりません。そうすることで、訪問中の患者の安全性も保障されるようにしなければなりません。
- 希少疾患を抱える人々の権利に疑義を呈するような、医療従事者のためのガイドラインを改訂してください。医療ガイドラインを作成あるいは承認するにあたっては、関係当局は、国連障害者権利条約、とりわけ、危機的状況と人道的緊急性についての第 11 条、ならびに健康についての 25 条に対するコミットメントを考慮しなければなりません。
- **COVID-19** 危機中の緊急医療の提供にあたって、希少疾患患者の複雑なニーズによって正当化される具体的な措置/プロトコルの採用を請け負ってください。現

在、既存の Orphanet¹のリソースを支援し、これらの患者を治療する医療専門家が利用できるようにすべきです。

- 勤務中の ICU 医師は、患者の具体的な病歴と処置計画を理解するために患者の専門医や医療従事者、専門センターと連絡を取り、欧州リファレンスネットワークス（European Reference Networks）の資源（例：ERN-BOND COVID-19 ヘルプライン²）を活用すべきです。
 - 介護者の役割を病気と患者個人の特定のニーズに関する専門家として認識し、できる限り、ICU で看護することを認めるべきです。
 - 可能な限り、COVID-19 の影響を受けた、特に脆弱な希少疾患患者のために、一時的な特別病棟を設けることを検討すべきです。
 - COVID-19 感染者とそれ以外の患者とを区分した病棟が設けられている場合、適切なコミュニケーションを徹底します。それによって、患者は、看護へのアクセスを不必要に回避する必要がなくなります。
 - COVID-19 に感染した希少疾患患者を対象とした、希少疾患欧州リファレンスネットワークス（European Reference Networks）において専門家間の交流を促進するために、臨床患者管理システム（CPMS）の使用を奨励し、促進します。
- **COVID-19 の拡大を阻止するための予防的措置（試験、PPE へのアクセス等）において、希少疾患を抱える人々（成人および子供）を優先的に組み入れてください。** とりわけロックダウン期間中は、COVID-19 に対して最も脆弱な希少疾患患者の介護者が、分子学的・血清学的検査を系統的に（あるいは要望に応じて）受けられるようにすべきです。また、彼らはマスク/個人的保護具を、優先的に受け取れる医療従事者/ソーシャルケアサービス従事者に向けた数量以上に確保できる場合には、優先的に受け取るべきです。

2. 希少疾患のスクリーニングと診断

医療画像と臨床検査のようなスクリーニングの技術は、希少疾患の診断につながる可能性があります。ただし、それらを的確に実施しないと、まだ診断されていない患者、進行性の疾患に罹患している人々の健康に悪影響を及ぼす可能性があり、それを見過ごせば病気が重度に進行する危険性があります。

希少疾患を抱える人々がこの領域で直面する課題

¹ <https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php>

² <http://ernbond.eu/2020/03/24/covid-19-help-line/>

- COVID-19 サンプル検査のための、医療従事者の不足あるいは実験施設使用の必要性を理由に、医療画像およびその他のスクリーニング検査の予約が延期または中止されることがあります。

政策策定者のできること

- がん、免疫不全、退行性疾患など、治療しないままにしておく患者の寿命に大きな影響を与える可能性のある疾患の検査を行うための最低限のスクリーニングサービスが、危機的な時期に保証されるように、病院に十分な資金と人員が配分されるようにしてください。EU のコロナウイルス対応投資イニシアチブプラス (CRII+) ³からの資金助成をこれに充当することができる可能性があります。

3. 福祉サービスや社会的支援を含む包括的なケア

包括的ケアは、希少疾患を抱える人々とその家族の健康、社会および日常のニーズを全方向的に網羅しています。COVID-19 の拡大を避けるための外出制限対策と隔離の実施は、希少疾患を抱える人々を対象とする包括的ケアの提供において深刻な影響をも及ぼす可能性があります。

希少疾患を抱える人々がこの領域で直面する課題

- 在宅支援あるいは個人的サポートのような、希少疾患を抱える人々にとっての基本的ケアサービスの実現が、サービス供給者と患者の双方にとっての利用できる人員と個

³ 欧州連合 (EU) は、EU 加盟国が COVID-19 危機の社会経済的影響を緩和するのを支援するため、2020 年 4 月 1 日付でコロナウイルス対策投資イニシアティブ (CRII) を発効した。CRII は 2019 年の未使用資金から供出された 80 億ユーロを加盟国に提供し、最大 370 億ユーロの欧州公共投資を生み出すことができる。このイニシアチブにより、加盟国は短期的な金融ショックに取り組むために、医療制度、労働市場、中小企業に支援を提供することができる。

また、欧州委員会はさらなるアクションとして、COVID19 - Coronavirus Response Investment Initiative Plus (CRII+) に対する支援を動員するための新たな措置を提案した。加盟国は、パンデミックの影響に対処するために、2020 年から 2021 年の会計年度のプログラムに対して、最大 100% の共同融資を要請することができるようになる。この措置はまた、プログラムの承認を簡素化し、実施を迅速化するものである。

この新しいパッケージは、欧州構造・投資資金からの未使用の支援を最大限に活用できるようにするための並外れた柔軟性を導入することで、これまでのイニシアティブを補完するものであり、同年 4 月 24 日に発効された。

https://ec.europa.eu/regional_policy/en/newsroom/news/2020/04/04-02-2020-coronavirus-response-investment-initiative-plus-new-actions-to-mobilise-essential-investments-and-resources

<https://smeunited.eu/news/corona-response-investment-initiative-what-is-next>

人用防護器材（PPE）の不足を理由に**遮断されています**。結果、自立して生活するうえでの集中サポートを必要とする希少疾患患者や障がい者は、基本的かつ個人的な衛生ニーズが満たされるのを長時的に待たされている状態にあります。

- リハビリ療法、理学療法、レスパイトケアおよびデイケアを提供する多くのリソースセンターが、サービスの提供を完全に閉ざすか、または縮減しています。彼らは、在宅でのサービスを提供するために必要な PPE あるいは十分な人員を有していません。こうした**基本的なリソースセンターの持続可能性は、COVID-19 の結果として実施されている措置の影響を受けています**。
- 外出制限対策は、希少疾患を抱える人々に深刻な心理的影響をもたらす可能性があります。普通の状況下でも、希少疾患の発症はメンタルヘルスに影響します（2017 年に実施されたアンケート調査⁴によれば、一般の人の 11%に比較して、回答者の 37%が不安や鬱をしばしば感じると明らかにしています）が、さらに、現在の危機的状況は、この影響をいっそう悪化させる可能性があります。
- 加えて、外出制限は、**屋外での活動が治療法のルーティンの一部となっている疾患や障がいの場合、とりわけ知的障がい者にとっては非常に多くの問題を伴います**。これは、こうした疾患の患者とその介護者に大きな苦痛を引き起こす可能性があります。

政策策定者ができること

- 多くの加盟国内で維持されてきた保育サービスを最小限維持されているのと同様に、希少疾患を抱える人々を含めた脆弱な人々のための**支援サービスと個人的援助サービスを最小限保障してください**。
- ソーシャルサービスに従事している専門家のために **PPE の優先配布を推進する措置を講じてください**。
- 社会的ケアの提供者が危機時に使用するための**明確なガイドラインを作成してください**。
- 自立生活サービスおよび希少疾患のリソースセンターを含む、**欧州全土のソーシャルサービスの資金助成の確保が緊急の課題として保障されている状況を徹底してください**。これらのサービスは、これらのサービスは、危機に対処しても必要不可欠なものであり続けるべきであり、それらの持続可能性は確保されなければなりません。
- 国家および地域当局が、この危機的状況下でケアとサポートの継続性を確実にするため、障がい者のためのソーシャルケアと支援供給者に資金を提供するため、**欧州コロナウイルス対応投資イニシアチブプラス（CRII+）**を通じて利用できるリソースを活用できるよう保障してください。

*本資料は作成元組織の許諾を得たうえで ASrid が和訳いたしました。

- 現行の希少疾患国別ヘルプラインを、財政的、かつガイドライン/最も正確な最新情報と併せて支援してください。その結果、危機的状況下で希少疾患とともに生きる人々を導き、情報伝達が可能になります。
- 草の根のコミュニティとつながり、情報の流れと良好なコミュニケーション、ピアサポート、創造的な解決策の開発を確実にするために医療サービスを支援できる患者組織と関わり、支援してください。
- 外出制限措置に伴い、行動機能の悪化という影響を受ける、疾患を抱えた人々のために、例えば、ロックダウン実施中に、最大限の衛生および安全対策に従って、介護者の付き添いで屋外に出ることを許可するような、特別な免除を与えるなどの**便宜**を図ってください。
- 希少疾患を抱える人々が、自立生活サポートの欠如を理由に、居住施設および精神病棟・施設に閉じ込められてしまわないようにしてください。仮に、彼らが一定期間にわたってそうならなければならない場合、こういった施設が安全性ガイドラインに従い、老人用介護施設で実施されているのと同じ方法で、PPEを十分備えることを徹底してください。また、安全性の理由から面会を断る必要がある時には、家族との連絡を容易にすべきです。

4. 日常生活と労働条件

希少疾患を抱える人々は、しばしば仕事と介護のバランスをとることに苦心しています。加えて、彼らは、雇用者あるいは学校から十分な理解が得られずにおり、このことはこうした状況に対する順応面の不備につながります^[2]。こうした問題は、COVID-19の危機のような困難な時期にはいっそう増大しています。

希少疾患を抱える人々がこの領域で直面している課題

- 特別児童ケア施設や学校の閉鎖は、希少疾患を抱える人々の家族が仕事をできなくなること、そして近親である子供や成人の介護にあたってフルタイムの責任を負うことを余儀なくさせられることを意味します。
- 希少疾患を抱える人々が、COVID-19の「リスクに晒された集団」として組織的に報告されていないという事実は、雇用主がしばしば、そういう人々に特別な、例えばフレキシブルな就業措置やリモートワークのような便宜を必ずしも提案していないことを意味します。このことは、結果として、人々を希少疾患の発症リスクに晒したり、あるいは就業時間外に時間を割くことを余儀なくさせられることになる介護者にもあてはまります。
- また、就業慣行における不十分な適応、ならびに個人用防護器具の不足は、**基本的なサービスに従事し、職場に出勤する**、希少疾患を抱える人々と同居する人々も**感染のリスクに晒**します。

**本資料は作成元組織の許諾を得たうえでASridが和訳いたしました。*

- 希少疾患を抱える人々は、労働市場における危機の影響に伴って起こるネガティブな経済結果（レイオフと所得の減少）にとりわけ脆弱です。不安定さは、通常的环境下でも多くの家庭にとってすでに現実となっており、2017年の調査^[3]では、回答者の73%が、病気の管理に關係するコストが高額であると考えていることが明らかになっています。

政策策定者ができること

- すべての労働者の保護のための措置を、希少疾患を持つ人々のような脆弱な状況にある人々のために特に優先的に実施してください。「欧州における社会権の柱 (European Pillar of Social Rights)」は、貧困と社会的排除を撲滅するべく、完全実施されるべきです。
- 希少疾患を持つ人々が在宅勤務できるようにし、仕事の性質やその他の理由でそれが不可能な場合には、従業員の収入の100%を保証する特別休暇を確保してください。
- 愛する人の介護のために仕事を休まなければならない家族や介護者にも経済的な補償を確保してください。
- 希少疾患を抱える学生たちのために在宅での継続的教育を約束する対策の実施、ならびに、家族向けの、介護に関する助言の実施、さらに、仕事と介護とのバランスを図るのを支援している学校、その他の教育施設およびリソースセンターの支援をしてください。

5. 医薬品の安全な使用

現在、(エリテマトーデスやリウマチ関節炎のような) 他の疾患のために適応を持つ医薬品の多くが、現在、COVID-19 に対する有効性を検証するために試験されています。しかしながら、こうした医薬品を他と併用したり、あるいは処方された適応外の薬を摂取することは、患者の生命を危険にさらすことになります。

希少疾患を抱える人々がこの領域で直面する課題

- COVID-19に感染した、希少疾患を抱える人々は、専門家のいる通常の医療施設ではなく、常設の医師とのつながりが確立されていないセンターに入院することがあります。このような場合、COVID-19を治療するための薬（抗炎症薬、麻酔薬、クラーレ、鎮痛剤など）の投与は、一般の人たちよりも困難です。希少疾患を抱える人々の治療用と COVID-19 治療用に提供される医薬品との間で**深刻な薬品相互作用**が起こる可能性があります。
- 希少疾患を抱える人々は、COVID-19に感染することで、希少疾患が悪化してしまう可能性を恐れています。それゆえに、彼らは、必要とする医療に関する助言を得るこ

*本資料は作成元組織の許諾を得たうえで ASrid が和訳いたしました。

とができない場合、ウイルスを回避すべくセルフメディケート（自主服薬・自己治療）をしたくなる可能性があります。また、オンラインで購入した偽薬を使用する危険性もあります。

- 希少疾患を抱える人々の健康に不可欠な治療法（例：免疫抑制剤）の中には、感染症にかかりやすくなるものもあります。そのため、COVID-19に感染することを恐れて生活している人は、適切なガイダンスなしに、通常の希少疾患治療を続けるべきかどうかを疑うことになる可能性もあります。

政策策定者ができること

- COVID-19 パンデミック危機の間、国の保険当局は、医薬品の適切な分配、配送、安全な使用を徹底するために、適切な措置、ガイドラインおよび治療プログラムを監視し、きちんと導入すべく努めてください。例えば、通常は病院でのみ提供されていた医薬品を地域の薬局店、郵便局、あるいは患者が住んでいる場所へ輸送を通じて提供することで、患者/介護者が治療を管理できるようになります。
- ファーマコビジランスシステム（医薬品安全監視システム）に適切にリソースが供給されていること、そして副作用、薬物相互作用および既存の慢性疾患治療の使用のリスクについて入手可能な情報が、明確な形で患者に伝達されていることを徹底してください。

6. 医薬品に係る開発とアクセス

COVID-19 危機の最中、医薬品の製造とアクセスは影響を受けています。一方で、COVID-19 の治療に用いられるすべての医薬品に対する世界的な需要が増加しています。そして、この需要を満たすのを妨げている制約が数多くあります。他方、COVID-19 のための新しい治療法や再利用される治療、ワクチンの開発を巡る競争も存在します。こうしたすべての要素が、希少疾患を抱える人々の生活に影響を及ぼす可能性があります。

希少疾患を抱える人々がこの領域で直面する課題

- 多くの国々が供給困難に直面していることから、希少疾患を抱える人々による自身の医薬品の入手が妨げられています。製品の製造ですが、増産措置の効果が確認できるまでには6か月～1年の時間がかかるため、影響を被る可能性があります。加えて、原材料が1つ以上の異なる国々で製造されているため、現状の制限措置および国境管理政策が輸送面の障害となっています。最後に、製造場所から販売卸業者や薬局への輸送や配送も影響を受けています。
- COVID-19 管理における、他の治療領域向けに処方された医薬品の再目的化は、通常の供給用に利用可能なリソースを逼迫しています（例：地域コミュニティに

ある薬局と卸業者における製品の不足)。ヒドロキシクロロキンとアジスロマイシンといった医薬品は、希少疾患コミュニティで広く使用されています。

- EURORDIS は、**COVID-19 治療薬の迅速な開発のための、オーファンドラッグ（希少疾患用医薬品）規制の乱用の可能性に懸念**を表明してきました。これらの治療に希少疾患用医薬品を指定することは、オーファンドラッグを市場に流通させようとする真の取り組みに有害であり、さらに、希少疾患患者による他の切望する医薬品へのアクセスにマイナスの影響を及ぼします。

政策策定者ができること

- 医薬品の製造と流通を保障し、供給問題を回避するための措置を講じてください。当局は、EU 全域における継続的な商品フローのために、[グリーンレーンに関する欧州委員会によって発出された実務的ガイダンス](#)に従うべきです。そして、[COVID-19 パンデミック感染者の治療に使われる医薬品の入手可能性を支援するために、欧州医薬品庁によって調整されたツールおよび措置を活用すべきです](#)。
- **COVID-19 感染者治療用の入手可能性を促進するために、希少疾患用医薬品規定以外のチャンネルを利用することを徹底し、知識とリソースの蓄積がこれらの医薬品の開発を推進する最善の方法であることから、グローバルな研究連携を促進**させてください。当局は、この方向性を指摘している[欧州医薬品庁（European Medical Agency）の勧告とツール](#)を参照すべきです。
- 製造困難な製品の管理については、製品の性質に応じて、病院内の薬局で高い品質要件の下で調合できる調合製品のための支援を病院薬剤師に提供してください。同様に、軍の薬局は供給増に寄与することが可能です。
- **COVID-19 治療のための検証中の/認証された製品に対する公平かつ公正なアクセスを確保し、コンパッショネートユースプログラムの公正な利用を徹底**してください。措置には以下が含まれなければなりません：
 - 参加施設、アクセス条件、登録患者数および中間結果を含め、臨床試験およびコンパッショネートユースプログラムに関する情報を公開し、透明性を高めてください。
 - できる限り早い時期に、いくつかの希少疾患に関連して必要とされている COVID-19 治療における利益/リスクに関する、具体的で関連する研究を開始してください。
 - 供給が制限されている場合、加盟国間でアクセスを調整して公正な分配を確実にするための欧州のメカニズムを確立してください。
 - 加盟国が欧州医薬品庁に意見を求めることによって、「コンパッショネートユースプログラムの基準と条件を EU 加盟国間で統一してください（例：

[レムデシビルのコンパッションネットワークユースに関する EMA の勧告を参照のこと](#)。

- このパンデミックがもたらす公共の緊急事態を認識し、コンパッションネットワークプログラムのための供給は、患者にとって負担なく入手できるようにすべきです。
- HIV、マラリアおよび結核を対象に行われるように、医薬品パテントプールイニシアティブ（UNITAID）を通じて、低・中所得国で、明確な利益/リスクの割合を実証することになる、医薬品ライセンスを共有するよう、関係者に奨励してください。

7. 希少疾患に関する研究

ほとんどの希少疾患には有効な治療がなく、希少疾患を対象とする研究の促進とイノベーションを継続する大きな必要性があります。COVID-19 パンデミックは、重要な臨床試験の継続を脅かしています。

希少疾患を抱える人々がこの領域で直面する課題

- 臨床試験が、臨床実施場所に出掛ける意欲のない、あるいはできない患者の安全性を理由に、または、医療従事者・専門家が他のタスクに取り掛かっていることを理由に中止されています。しかしながら、いくつかの希少疾患においては、臨床試験の中止は、平均余命の点において、ウイルスに晒されるよりも有害です。
- 臨床試験がすでに進行段階にある場合、開発者は、すでに登録されている患者を保護し、それまでに収集した情報を可能な限り保全するための措置を導入することに奮闘しています。
- 危機的な状況下では、デジタルツールやアプリを駆使した、分散型あるいは複合型の試験の利用を必要とする場合がありますが、この実践は広くは実施されていません。すでに計画された、あるいは現在進行中の臨床試験にとって、こうした種別の設計を導入することは、治験プログラムの重要な変更、ならびに治験を結論付けるために使用されるエンドポイントの改訂が必要となります。

政策策定者ができること

- EMA がパンデミック危機中の臨床試験管理に関して開発者向けに発出したガイダンスの普及とフォローアップを徹底してください。特に希少疾患の領域ではこうしたことは不可欠であるため、患者が臨床研究に注入した努力（研究設計に識見を供与する際の臨床開発者のアドバイザー、あるいは試験実施者としてのいずれかの努力）が失われないよう徹底してください。

*本資料は作成元組織の許諾を得たうえで ASrid が和訳いたしました。

- 開発者に対し、臨床試験設計を停止、再計画/適用にあたって規制当局からの助言（革新的な/分散型の/デジタルのツールを利用して、遠隔的に臨床試験を実施するために必要な実行可能性とリソースについての助言を含む）を得るよう奨励してください。そして、規制当局もまた、この種の助言を提供できるよう準備するよう心掛けてください。

EURORDIS は、次の2つの機関、欧州患者フォーラム（EPF）と欧州障害者フォーラム（EDF）のメンバーとして、両機関によって発表された、COVID-19に関するコミュニケーションを支持し、この公開書簡によって、希少疾患を抱える人々のとりわけ脆弱なコミュニティの特定の課題とニーズを浮き彫りにすることを目指しています。

<https://www.eurordis.org/covid19openletter>