

## ホルモン病の患者が安心して治療を続けるために

### 「下垂体疾患と副腎不全、患者と家族のアピール」署名（3次）

- 難病対策に必要なのは、原因究明や医療費助成だけではありません。福祉や就労支援なども必要です。「副腎不全」患者の中には、慢性的な疲れにより普通の生活は困難な方がいます。原因にかかわらず、「副腎不全」という病態を「難病等」に指定して、支援を要する患者が一定の審査を経て、障害者福祉サービスを公平に利用できるようにしてください
- 緊急時に対応するため、副腎皮質ホルモン液剤の在宅自己注射ができるようにしてください。
- 生理的リズムを再現する徐放型の副腎皮質ホルモン剤を、将来的に日本でも導入できるよう働きかけてください。
- 適量服用のため、副腎皮質ホルモン剤の小さな剤形を販売するよう、メーカーに働きかけてください。
- 成人、特に若年者の成長ホルモン剤の適用基準は、臨床的に意義のある値の、「重症」に準ずる患者にも適用できるようにしてください。

私たちは下垂体の結成以来、2次にわたる署名運動を通して、患者・家族の願いを実現してきました。先端巨大症の薬を患者の手で注射できるようにしたり、間脳下垂体機能障害の特定疾患入りを実現したりしました。難病法の施行にあたり、今もなお私たちが抱える困難の解決に向けて、下垂体は行動することになりました。2015年、副腎不全患者とともに患者と家族のアピール文を発表し、その賛同署名を広く募ります。

#### 薬が切れると、生死にかかわる重大なショック状態に

私たちはホルモンの難病です。ホルモンを生み出す臓器（下垂体・副腎）に障害があるため、少なすぎるホルモンを補充したり、多すぎるホルモンを抑えたりする治療を、生涯にわたって続けていかなければなりません。中でも副腎皮質から分泌される「コルチゾール」は、命を保つためになくしてはならないホルモンです。1日2～3回服用する補充薬が万一切れると、意識を失い、最悪の場合、生死にかかわる重大なショック状態にいたることすらあります。

最初に、下垂体由来の症状が「難病」指定され、遅れて2015年1月から、副腎由来のアジソン病なども「指定難病」になりました。効果的な治療法の開発を期待しています。ただ、これはスタートにすぎません。

#### 最新のホルモン剤の治験開始を

私たちはまず、副腎不全という病気の状態を広く国民に知ってほしいと願います。私たちが気を失っていたら、迷わず病院に連れて行って、一刻も早くホルモン剤を補充してほしいのです。そのため、「指定難病」だけでなく、障害者サービスの対象である「難病等」に、「副腎不全」という病態名でも追加されることをめざします。臓器は違っても、「副腎不全」という命にかかわる病態であることは、共通しています。「副腎不全」という病気が広く知られてこそ、緊急時に周りの支援を受けることができるでしょう。

私たちが気を失ってしまったら、飲み薬では補充ができません。家族などが緊急時にホルモン剤を注射で補充できるように、在宅自己注射を認めてください。

薬の改良も大事な課題です。薬の剤形が大きすぎて、微調整ができません。小さな剤形も販売してください。また、副腎皮質ホルモンは朝に高く、夕方に低くなるのが、人間本来の一日のリズムです。現在の剤形では自然なリズムを刻めません。ゆっくり効くタイプのホルモン剤が、一部の外国で使われ始めました。日本での治験を始めてください。

#### 若者に厳しすぎる基準は改善を

下垂体領域では、成人GHDに対する成長ホルモン剤の適応基準が厳しすぎます。全世代に同じ数字を適用したため、若い世代には相対的に低すぎ、肝臓病を合併しやすいのです。基準の見直しを求めます。