

# PKD PROGRESS

Your Guide to Living with Polycystic Kidney Disease



## 臨床試験特集

- 5. 臨床試験を知ろう
- 8. 経過と展望
- 11. 臨床試験患者の紹介
- 16. 臨床試験の最新情報



## 科学と健康

- 3. 専門家に聞く
- 28. 研究と医療の情報



## 生活スタイルと家族

- 22. あなたは遺伝的差別を受けていますか？



## 本号では

- 2. 会長のメッセージ
- 26. 連邦政府のコーナー

注1) 本資料は米国のPKD財団により発行された Progress 誌をPKD財団の許可を得て、PKDの会が翻訳したものです。

注2) 本誌は Progress 誌全てではなく、PKDの会が一部を選んで翻訳したダイジェスト版です。

注3) ここに記載された情報に起因する損害または権利の損害に関して、PKDの会は一切その責任を負いません。

Copyright (c)2008 PKD Foundation

PKD 財団の使命は多発性嚢胞腎の原因を確定し、治療法を改善し、治療への道を見つける研究をすることです。

PKD Progress 誌は患者、医者と医学研究者のためのニュースレターです。専門家の記事で表明された意見はこの寄稿者のもので、PKD 財団の意見を反映していません。

作品の帰属の記載があれば自由に転載できます。



## 会長のメッセージ

### 臨床試験は希望と展望を提供します

トランスレーショナル・リサーチ (Translational research) とは専門用語で、科学的発見を実用用途につなげて人の健康を改善することを意味します。これは近年、国立衛生研究所理事長のエリアス・ゼロウニ医師による総合計画の「医療研究事業リエンジニアリングの将来へのロードマップ」により、注目の的になっています。

総合計画の目標は、新しく戦略的なパートナーシップを作り上げ、疾病を手当し治療する療法をより積極的に探し出すようになるような医療研究を重要視することでした。そしてトランスレーショナル・リサーチが注目されてくるにつれ、進行中の基礎研究が重要になります；科学者が言うように、知らないことは実用化できません。

その背景として、PKD 研究の分野においては、NIH (国立衛生研究所) の少額 (他のもっと感染者が少ない疾病に比べても) の助成金からでも有意義な療法がもたらされたことがあります。たった 3 年という短期間で、PKD 分野では薬品治験の数が 0 件から 12 件に増えました。そのどの治験でも PKD 財団が直接関与しました。

見込みのある PKD 臨床試験の項目の中でも頼みの綱は「HALT PKD」と「TEMPO 3/4」で、両研究とも FDA (食品医薬品局) の第Ⅲ相の試験で被験者を募集しています。HALT は PKD の初めての期待される任意抽出臨床薬品試験で、米国のいくつかの医療センターで実施され、一部が PKD 財団から財政支援されています。TEMPO 3/4 は大塚製薬の支援で世界中で実施されており、腎臓が機能停止に至るのを阻むのに十分な程度まで PKD の進行を遅れさせる革新的な薬品療法を試験しています。

PKDの人がこれらの研究に参加することは極めて重要で、臨床試験のボランティアの被験者無しには将来の PKD療法はありません。(研究の全リストはProgressの月号とWeb URL : [www.pkdcure.org/clinicaltrials](http://www.pkdcure.org/clinicaltrials) に掲載されています。) そのため、もしあなたがPKDでしたら、可能な限り治験に参加されることをお勧めします。遺伝的差別の可能性による懸念からボランティア参加に尻込みしている人もきっといるでしょうが、

そのような人も遺伝情報差別禁止法案の採決を通すための私達の支援運動に参加できます。この法案は、臨床試験が担っている大きな希望と明るい未来の展望を待ち望んでいる PKD の家族に役に立つのです。

### PKD 財団会長

ダン・ラーソン (Dan Larson)

# ASK THE EXPERTS



## 専門家に聞く

**Q** カフェインは PKD 患者に良くないと聞いたのですが、カフェインを飲むのをやめたほうがいいのでしょうか？

**A** カフェインが、嚢胞の形成と拡張に関係する細胞活動に刺激を与えることが研究で分かっています。コーヒー、紅茶やソーダなどのカフェインを含む飲み物の摂取量を一日 230ml を 2 本までに制限しましょう。

**Q** 生来の嚢胞腎は移植後も成長し続けるのでしょうか？

**A** 移植後は、古い腎臓に行っていた大半の血流は新しい腎臓に流れるため、生来の腎臓への血流は時とともに減少します。通常は臓器は良い血液の供給無しには成長しません。

**Q** 嚢胞腎は移植に先立って摘出されるのですか？

**A** 腎臓は一般には移植中やその後に摘出されることはありません。それは腎臓が赤血球の生成やカルシウム量の調整に必要なホルモンを作っているからです。一度生来の腎臓が摘出されると、これらのホルモンは補わなければなりません。

ただし、嚢胞腎が大きくて、呼吸や飲食に問題を生じる場合に新しい腎臓の場所を作るためや、反復性感染とか痛みや出血がある場合は摘出する必要があります。

**Q** PKD を持っている人は献血できますか？

**A** ドナーが献血する前に、血液銀行がその人の腎臓機能を検査します。そのため、長期の PKD の人は腎臓機能が悪化しており、献血ができません。とはいえ、PKD は献血では感染しません。

**Q**

PKD は肝臓機能にどのような問題を起こすのでしょうか？

**A**

ADPKD では肝嚢胞は肝臓の機能に問題を起こしません。肝嚢胞は非常に大きくなることもあり、非常に大きな肝臓は血流に問題を生じ、門脈圧高進症を引き起こします。また、大きな肝臓は痛みや飲食の問題を起こします。残りの部分に正常な組織が残っている場合、肝臓器の嚢胞部分の切除が行われることがあります。患者さんによっては部分切除でできた余白部に新たに嚢胞が拡張し、結果として長期には大きな肝臓に戻ってしまうことがあります。

**Q**

PKD の両親から生まれた兄弟姉妹が、異なる遺伝子変異、たとえば一方が PKD1 遺伝子の変異でもう一方が PKD2 遺伝子の変異になることはありますか？

**A**

ほとんどの場合そういうことはありません。罹患している両親からは同じ遺伝子変化がすべての罹患している兄弟姉妹に遺伝します。非常にまれに自然発生の遺伝子変異が起こり、その場合は子供の変異は両親の変異とは違ってきます。

これらの質疑応答はフロリダ州オーランドで 2007 年に開かれた全米大会で行われました。この分科会は PKD 研究の経験豊かな 6 人の医師が解答者として参加し、聴衆からの Q&A として開催されました。解答者として参加された医師は：オクラホマ大学健康科学センターのベンジャミン・D・コウレイ Jr 医師、エモリー大学のトーマス・ピアソン医師、タフツ・ニューイングランド・メディカルセンターのロナルド・D・ペロン医師、ハーバード医学校のセオドア・スタインマン医師、ジョンズ・ホプキンス薬科校のテリー・ワトニック医師およびウィスコンシン州ミルウォーキーの食餌療法コンサルタントのケリー・L・ウエルシュ氏です。



## 臨床試験を知ろう

ハーバード医学校

Beth Israel Deaconess 医療センター ( BIDMC)

テオドア・I・スタインマン 医師

臨床試験に参加することは個人的に重要な決断ですが、それはまた社会的に広範囲の影響を与えます。全ての臨床試験の究極の目的は、最良の医学的証明に基づいて、患者の治療ケアを向上することです。治験は、ひいては現在の臨床診療を改善したり支援したりするのに使える必要な科学的情報を集めるのに最良の方法です。PKDの社会では、治験への参加は、潜在的にその患者のためなるのと、将来の世代への恒久的な効果も与えることとなります。家族、愛する人、また同様に同胞を助けることは、私達ができるもっとも満足いくことです。全ての治験が成功するわけではありませんが、失敗例からも成功例からと同じくらい学べます。

### 臨床試験とは何ですか？

試験実施計画（治療計画）は単独の医療センターもしくは複数の医療センターで作成されます。その研究は、特定の症状の未知もしくは未確認の診察と治療の疑問に答えるために計画されます。あらゆる治験は試験対象患者と除外患者の基準があり、個々の調査に関与するかどうかを決めています。その患者がある臨床試験に係るには試験対象患者基準に合致していなければなりません。その人がある臨床試験に係るのが不適当かどうかを試験除外患者基準が規定しています。

### 臨床試験の種類

一般に2種類の治験の部類があります；治療（介入）試験と観察試験です。介入試験では単一もしくは複数の種類の治療が計画され、この結果を他の結果もしくは非治療グループ（対照群とも云われる）の結果と比較されます。

その目的は、特定の症状にある治療が他の治療より優れているかどうかの疑問に答えることです。未確認の科学により、患者に施せる最良の治療を見つける必要性が促進されます。治療/介入試験は似通った症状の患者との結果を比較します。

### 治療試験

治療試験はいくつかの「相」で行われます。

**第1相** 治験は短期間で少数の被験患者で行われ、薬品が安全かどうかを調べます。第1相治験は対象治療の効果については結果を求めません。この相は安全のためだけに行われます。必須基準として常に被験患者の

安全が第一に扱われ、この相の責務は何よりもまずすべての治験に先立ちます。

**第2相**治験は薬が体内でどのように代謝され（分解され）、どのように各被験者に作用するかを、事前に治験が開始される前に研究室で得られた結果と比較されます。

**第3相**治験は治験研究者により大規模に行われ、一般に多くのいろいろな治験現場で行われます。

この相は薬の効果が意図したものかどうかを診る最初の段階です。第3相治験はおおむね、数か月から最大2～3年かかります。治験を受ける被験患者の数が多ければ多いほど、治療/介入の効果の有無に関する科学的証明がより強固になります。数の力があります。第3相治験では治験研究者は副作用も観察しており、一般に使われている治療法と比較したり、実験薬剤や療法が安全に使える情報を集めたりします。

**第4相**治験は薬が市場に販売されてから行われます。治験研究者は薬からの長期の副作用を調べ、薬剤の最適な使用法の追加情報を得ます。（もしくはその結果、第3相治験では明らかにできなかった深刻な副作用の情報により、その薬剤の市場からのリコールが出されることもあります。）

対照群は標準の良い治療は受けますが、研究対象グループが受ける特別な治療/介入は受けません。臨床試験では実験治療は、実験治療の効果を調べるために、よく偽薬（プラセボ：プラセボは不活性の錠剤・飲み薬もしくは粉薬で治療作用を持たないものです）と比較されます。被験患者ができる限り試験対象として残るように、研究者にどちらの療法がその被験患者にとられているのかを知らせないように、プラセボが使われます。介入試験は無作為のプロスペクティブ研究（将来に向かって行う研究）として知られている分野に適しています。そのような研究から最も信頼性のある科学的な情報が得られるのです。

## 観察試験

観察試験は各被験患者は観察されその結果が治験責任医師により評価される研究です。大規模の観察試験から重要な情報が得られますが、観察試験は無作為の管理されたプロスペクティブ研究よりずっと信頼性がありません。この試験では治験研究者は研究グループに正確な治療を施します。

## 患者の安全性

述べられてきたように、すべての治験責任医師にとって被験患者の安全は最優先事項です。医療業務を規定する倫理ならびに法的な規定は臨床試験にも同様に適用されます。被験患者の安全を最大限守るために、どのような治験を始める前にも納得診療（インフォームド・コンセント：informed consent）が執られます。納得診療として、臨床試験により起こり得る重要な便益とリスクの両方の事実を理解してもらいます。治験への参加に関する情報は多岐にわたり、強制ではないやり方で被験患者に説明されます。臨床試験に係る医師や看護師は研究の詳細を（被験患者の母国語で）説明することを義務付けられています。被験患者は、いつでも研究への参加をやめることができ、やめても患者が受ける最高の治療に影響を受けることが無いことを説明されます。常に、被験患者は説明無しに治験をやめることができます。研究への参加の承諾への署名はあくまでも自発的行為です。

## 治験参加中の他の医療治療

治験へ参加するという事は、主担当で診療する医師と他の全ての診療を行う医師の関係も保ちます。ただし、参加することが実験薬剤試験実施計画に係わらない従来からの継続治療に影響することは有りません。

## どうして臨床試験に参加する必要があるのですか？

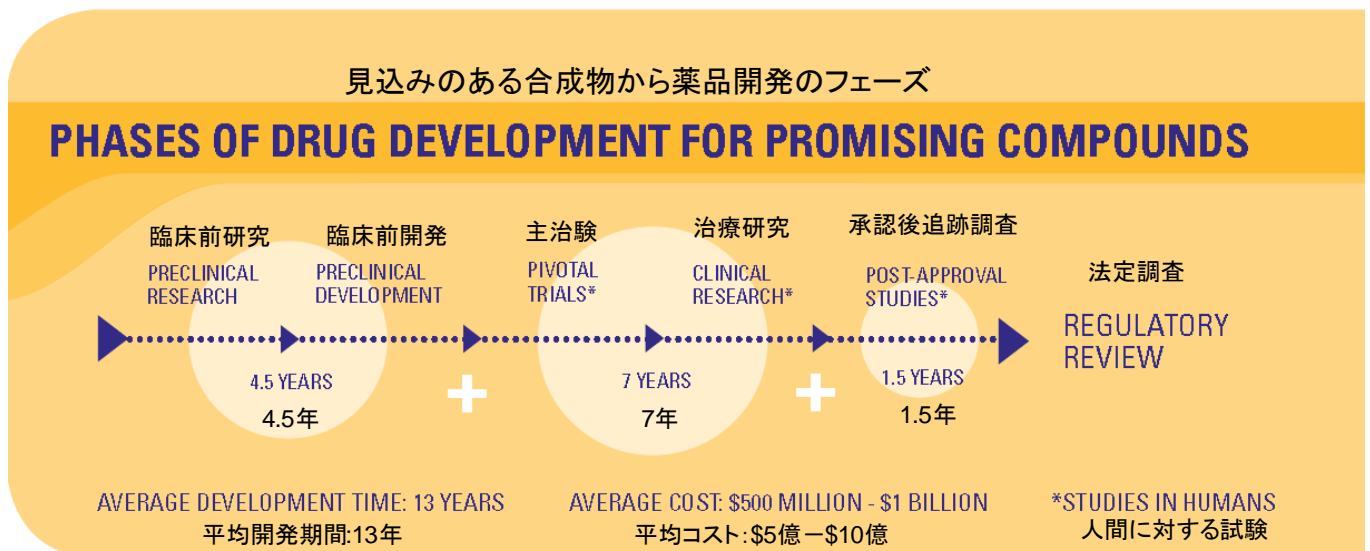
適切に計画され、適切に実施されている臨床試験とは、適格な被験患者にとって：

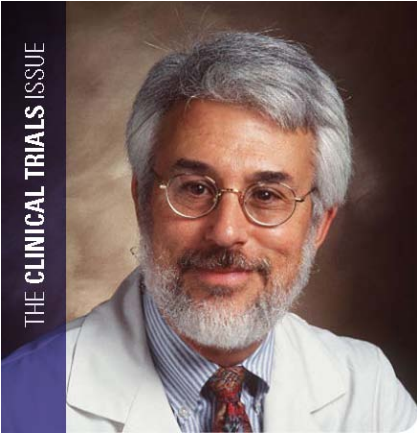
- 自身の健康管理に積極的役割を担い、
- ひろく実施される前の新しい治療法に接することができ、
- 治験中は最先端の治療施設で専門家の治療を受けられ、
- 医学研究に貢献することで、家族と社会を大きく助けることになります。

## 参加者が常に考慮しなければならない点：

- 実験的な療法には、不愉快または危険な時には命を脅かす副作用があることがあります。
- 実験的な療法が参加者に効果が出るとは限りません。
- 治験実施計画では、実施計画なしの治療より、時間が掛り注意が必要になります。これは、研究施設への旅行や、たぶんより多くの治療や、時には入院して複雑な薬物用量を試験する必要などを含みます。

家族や友人と治験への参加の可能性について話し合うことは有意義です。関係者の視点とは違ったあなたがたの活気あるご意見は、あなたの最終決定の役に立ちます。最後にあなたは臨床試験への参加をあなたの主治医と相談してください、そしてあなたの参加があなたに意義のあることかどうかを聞いてください。





## 経過と展望

タフツ・ニューイングランド医療センター  
腎臓病科副所長  
腎臓移植プログラム医療ディレクター  
ロン・ペローン医師

患者に対し新しい療法や医療機器を処方できるようになるためには、食品医薬局（FDA）の認可を得るために、一連の綿密な試験と研究が必要です。このプロセスは細胞による研究にはじまり、動物実験を経て、最終的にいくつかの規模の複雑な人体による臨床試験に至ります。（7 ページの薬品開発時間経過と 16 ページの医療研究の詳細を参照） 患者へ使用できる有効な新しい療法は、最終的には FDA の認可が必要で、臨床試験無しにはあり得ません。

どのような臨床試験に参加するためにも、その人は適格性条件に合致し、いかなる除外基準にも該当しないことが必要です。これらの基準は、正しい母集団で研究され、ありうる介入が安全であるように、注意深く作成されています。例えば、ここで述べる両研究とも、妊娠を希望していたり、研究期間中に確実な避妊法を採らない妊娠可能な女性は除外されます。これらの必要条件は、産まれてくる胎児を不都合な副作用から守るために設定されています。（これらの問題点のもっと詳細な議論は、ウェブサイ

ト：[www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) や他の関連サイトのリンクを参照）

同時に複数の介入臨床試験に参加することはできません。あなたの安全を守り、リスクや研究の過程で起こりうる相反する事象の混同を避けるために、この規則は導入されています。もしあなたが ADPKD の治療法の開発に役に立ちたいと思われるのであれば、次に述べる研究の一つに参加することを検討してください。他の考慮しなければならない点は、研究センターへの旅行ができるかどうか；妊娠の可能性、家族、仕事その他の個人的な事柄をどうするつもりか；そして参加にかかる旅行費用が払い戻されるかどうかなどです。あなたはどの研究センターへでも電話して、研究のコーディネータや治験研究者とあなたの個々の問題や心配なことを相談して下さい。

### HALT PKD 研究

HALT PKD 研究は最初の期待される臨床介入研究で、国立衛生研究所（NIH）の助成で成人の常染色体優性多発性嚢胞腎（ADPKD）に行われます。ほかの助成団体として PKD 財団を含めて、メルク社とベーリンガー・インゲルハイム社があります。その目標は、初期（研究 A）もしくは後期（研究 B）の ADPKD の被験患者の腎臓と心臓の疾患の進行を遅らせるか止めることです。HALT PKD 研究の焦点は腎臓と心臓のレニン・アンギオテンシン・アルドステロン系（RAAS：アンギオテンシン変換酵素系）の効果を阻止することです。循環していたり内在している RAAS が、ADPKD 患者では、腎臓の嚢胞の局所効果により活性化さ

れています。RAAS が活性化された結果、腎臓と心臓の ADPKD の合併症の進行が促進されます。合併症とは (1) 血圧の上昇、(2) 腎臓と心臓の線維化 (癒痕組織) の促進、(3) 腎臓と心臓の酸化による障害の促進、(4) 腎臓嚢胞の急激な拡張を促す因子の増加及び (5) 心臓麻痺・心臓発作や心臓の不整脈を招く心臓筋肉の肥大の促進です。

HALT PKD 研究ではアンギオテンシン変換酵素 (ACE) 阻害剤のリシノプリルが、ADPKD 患者の RAAS の効果を阻止するために、研究 A と研究 B の両方に対し処方されます。アンギオテンシン受容体阻害薬のテルミサルタンの追加が、ADPKD の患者の腎臓と心臓の RAAS の効果を阻止するかどうかは分かっていません。そのため、研究 A と B の両方の被験患者は無作為にリシノプリル+プラセボ (偽薬) とリシノプリル+テルミサルタンに選ばれます。被験者募集の後、腎臓と心臓の ADPKD の効果は 5 年間追跡調査されます。研究 A では腎臓と心臓の拡張が、2 つの血圧の目標値の効果とともに調査されます。研究 B では腎臓機能と末期腎臓障害の進行状態が調査されます。

### **TEMPO 3/4 研究**

TEMPO 研究は、新しい化合物薬剤のトルバプタンの効果を、ADPKD の嚢胞腎障害の進行について研究されます。トルバプタンは、現在は医師により処方が許されていない新しい薬剤で、PKD の動物では展望が見られています。それは、腎臓のホルモンのバソプレシンの効果を阻止します。腎臓の細胞がバソプレシンに触れると細胞内の化学物質サイクリック AMP (アデノシン 3',5'-リン酸) が増加します。サイクリック AMP は、嚢胞細胞の拡張と嚢胞からの液体分泌を促します；これらのメカニズムが嚢胞腎臓障害の極めて重大な進行をもたらします。

TEMPO 研究はプラセボ制御されます；3 分の 1 の被験者はプラセボを処方され、3 分の 2 の被験者は活性な薬品を処方されます。全ての被験者は渴きを抑えるために十分な量の水を飲む必要があります。被験者募集の後、ADPKD への効果を、MRI により腎臓の総容量を基準値と 1 年後・2 年・3 年と算定して 3 年間調査されます。

## HALT PKD NCT00283686

### 主要評価測定項目：

研究 A：腹部 MR により、腎臓の総容積の変化を基準値と比較して 2 年と 4 年の経過で診る。

研究 B：推定 GFR (glomerular filtration rate: 糸球体濾過量) が基準値と比較して 50%減少するか、ESRD (末期腎不全：透析の導入もしくは腎移植の登録) に至るか、死亡までの時間を調べる。

### 試験対象患者基準：

- ADPKD と診断されていること
- 15 歳～49 歳 (研究 A) ; 18 歳～64 歳 (研究 B)
- GFR > 60mL/分/1.73m<sup>2</sup> (研究 A) ; GFR > 25～60mL/分/1.73m<sup>2</sup> (研究 B)
- 血圧 ≥ 130/80 もしくは高血圧の治療中
- 納得診療 (Informed Consent)

### 試験除外患者基準：

- 妊娠中か 4～6 年以内に妊娠を希望
- 腎血管疾患の患者
- スポットの尿中アルブミン-クレアチニン変換率 > 0.5 (研究 A) もしくは ≥ 1.0 (研究 B)、そして/もしくは ADPKD 以外の際どい腎臓病
- インシュリンもしくは血糖降下薬が必要な糖尿病、空腹時血清グルコース > 126mg/dl もしくは無作為非空腹時グルコース > 200mg/dl
- 血清カリウム > 5.5mEq/L で現在 ACE-I もしくは ARB の服用者 ; 血清カリウム > 5.0mEq/L で現在 ACE-I や ARB を服用していない患者
- 血管神経性浮腫 (ANE) の既往者もしくは ACE-I や ARB の絶対禁忌者。ACE-I による激しい咳は ACE-I の導入から 6 ヶ月以内に発生し、他の原因が無く、ACE-I をやめると止まる事で判ります。
- (高血圧以外で) β-遮断薬やカルシウムチャンネル遮断薬による治療の適応 (すなわち、狭心症、心筋梗塞の既往、不整脈) で現場の主審査員の許可が出なかった患者 (これらの薬剤のひとつを少量服用していて、そのほかは適格な人は、プラセボ (偽薬) が使われる対象として選ばれることもあります。)
- 免疫抑制剤もしくは免疫調節療法の NSAID (非ステロイド系抗炎症薬) を必要とする全身性疾患
- 腎障害による全身性疾患
- 過去 2 ヶ月以内に急性疾患で入院した
- 余命見込み < 2 年
- 非適応の経歴
- クリッピングされていない脳動脈瘤 > 直径 7mm

## TEMPO 3/4 NCT00428948

### 主要評価測定項目：

ADPKD に対するトルバプタン治療とプラセボ治療を比較して腎臓の容積変化率 (%) を診ることで、トルバプタンの長期の効果を評価する。

### 試験対象患者基準：

- GFR 推定値 ≥ 60mL/分/1.73m<sup>2</sup>
- ADPKD と診断されていて、無作為の磁気共鳴映像法 (MRI) により腎臓が急速拡張 (総容量 ≥ 750cc) している
- 法的に成人で納得診療が可能
- 女性の場合、積極的意志で避妊に合意すること

### 試験除外患者基準：

- 以前、トルバプタンもしくは他の試験的な PKD 治療を受けている
- 現在、PKD 嚢胞の治療を受けている
- 授乳中の女性と妊娠可能な女性で基準を満たす避妊法を採っていない人
- 治験責任医師もしくはスポンサーの見解により、安全性の問題や治験の目的の混乱を引き起こす可能性がある
- 患者が研究手順を適切に守ってもらえない
- 患者が MRI の禁忌を持っている

## PKD 患者が草分け的治験に参加する



＜ビル・アルダクッションは他の多くの人と同じように医務室や病院が大好きだったというわけではない。この明らかな問題にもかかわらず、彼は HALT の治験に参加して積極的経験をしている。＞

「私はこれらのすべての手順がビジネス的であるとはいえ好ましい手法であることがすぐにわかりました」と彼は言った。「すべては効率的になされ、説明と指示は常にとても明確でした。それらに加えて、私は接した人々すべてからの援助を経験して本当にためになりました。」



ビルは30歳代に軽い腰痛がありましたが、それを無視してきました。彼は昨年外科医を替えるまで PKD が難病であることさえ知りませんでした。ビルのかかりつけ医が人工透析の可能性を告げたとき、彼は「目覚めよとの声」をかけられたように感じ病気について調べ始めました。その調査の中で、PKD 財団のウェブサイトを見つけオンラインのニュースレターに加入しました。そこで HALT の治験について知ったのです。

治験開始の時から、彼は医師たちが支援する心を持った人たちであると感じました。事前の検査によりカリウム値が高いことが明らかになりました。それは PKD 患者にとって大事な値です。あるコーディネータが金曜日のおそくに我が家に電話をかけてくれて、彼女の心配を告げ、食事療法でそのレベルを下げるにはどうしたらよいかという情報を与えてくれました。治験の一般的な調査以上に、個人的なレベルで自分の病気にいかに対処すべきかということを学んだと、ビルは言います。

「私はこの治験で自分の腎臓の寿命が延び、さらなる徹底した治療の必要性が遅れてくれることを希望しています」、「そしてまた、私の参加が PKD を持つ他の人たちに少しでも貢献し、役立ちたいと思います」と彼は言いました。

<グレンダ・ジョーンズ、61歳は HALT 治験を聞くや否や、自分が参加を希望しているのはこれだと思った>

大金を持っているわけではないので PKD と戦うために寄付をするというのは難しいのですが、時間なら提供できるのに、と彼女は言いました。彼女はこの研究が協力できる申し分のない機会であると感じました。

「私はもっと何かをしようと思っていましたがこの方法がそれだったのです」と彼女は言いました。

グレンダが最初にこの研究にかかわったとき、彼女は休薬期間に参加しなければなりませんでしたが、そしてすぐに彼女は水分貯留の問題を抱えていることに気がつきました。彼女の肺には水があるので呼吸が困難でした。タフツ・ニューイングランド医療センターの担当医師は、もし休薬期間を取ることができなければ本研究に参加できないと彼女に告げました。

グレンダはその研究に参加し続けたいと決心しました。しかし、彼女は水分貯留に何らかの対処をする必要がありました。医師は塩分の摂取と、毎日どの程度食事を摂っているかを注意するよう彼女に忠告しました。彼女の夫の父は最近開胸手術を受け、彼女と同様に塩分の摂取を注意するよう言われました。彼女の夫とその父親は食べている食料について調べ始め、いかに多くの塩分がこれらの食料に含まれているかをモニターしました。

食事療法で厳しい制限をした後に、彼女は20ポンドも体重が減り、より健康になったと感じました。彼女はタフツ・ニューイングランド医療センターの「塩分摂取のポスターの子供(訳注 慈善団体用のポスターに載る子供)」になりました。彼女は研究について多くを学んだと同時に自分の病気についても学んだと感じています。

「自分の病気に関してそれなり節制していると感じたことは私の人生で初めてのことでした」とグレンダは言いました。「研究にかかわったことにより力を与えられたような感覚を得ました。」

＜パム・ケルバーはごく最近 PKD と診断されました。しかし、この病気がどのように家族に影響を与えているかを理解してから、彼女は少しでもかかわりを持たねばならないと思いました。＞



パムは20代前半に PKD で検査を受けましたが、医師の診察では病気の兆候はありませんでした。そして3年前、彼女は高血圧で受診したとき、超音波検査で腎臓の中の嚢胞が見つかりました。彼女は現在ジョンズ・ホプキンス大学でトルバプタンの治験に参加しています。

「私にも子供たちにとっても治療に望みはないので、私は治験に参加したかった」と彼女はいいました。「もし患者が治療法に関心を示さなかったら誰がするというのかしら？」

治験開始の時点で、彼女は治験を始めるために47人の他の患者と共にオランダに向かいました。その日ぐらしの環境で PKD に対処するほかの人たちとつながりができることは彼女にとって助けになりました。

「治験はちょっとキャンプのようでした」と彼女は言いました。「規則がいっぱいで、珍しい食べ物もあったけれど楽しかったわ。私は治験で他の人たちと知り合いになったし、今日でもまだ彼らとお付き合いを続けているのよ。」

パムの父親、二人のおじ、それに父方の祖父は皆 PKD に関連した合併症で亡くなりました。彼女はこのような治験が治療法を見つけるのに助けとなり、彼女の家族のほかの人たちが同じ問題を回避できるようになることを期待しています。今までのところ、彼女は治験に積極的に参加してきてくれています。

「テリー・ワトニック博士はすばらしかったです」と彼女は言った。「彼女は私を診てくれた他のどの医師よりも私をよく知ってくれています。彼女は私の家族全員と私の命までも知っているのではないのでしょうか。もっとも私の体の中で何が起きているかまで知っているというつもりもないのですけれど。この経験は素晴らしいものでした。」

## IN THEIR WORDS

### 被験者のことば

#### <パム・オスター>

トルバプタンの治験は私の人生においてとても大きな祝福でした。この薬が私を助けるだけでなく私の体内の腎嚢胞のさらなる増大を防いでくれると信じています。

私の父とその兄は二人とも PKD で亡くなりました。我々の家族だけでなくこの病気にかかった他の人たちにとっても助けとなる薬が登場するのではないかと、私たちはいつも希望をもって祈っていました。私たちは長年に亘りメイヨー・クリニックの患者でした。トーレス博士が私に薬の試用を告げてくれたとき私はうれしくてうきうきしました。

治験に参加するという事は閉ざされた施設（私は自分自身でマルタ・スチュアートと呼ぶ）に行き、私と同じ病気をもつ新しい友人のグループと1週間生活することを意味しました。私は PKD の自分の家族のほかになだれも知っている人は居ませんでしたからこれはとてもいい経験になりました。私は、皆で PKD の戯れ歌を作って歌う芸能大会を企画さえしました。次に、私は家に帰り薬の服用を開始しました。私は多くの人たちとよりも多くトイレにいます。私は最も古い参加者の一人ですが、私の友人たちはみな、私がトイレにいるときはトイレに行くのをやめようとしています。問題はありません！私は多くの人たちよりも多く水を飲むのですから。しかし、それは人工透析の可能性を長引かせるために払う対価としては僅かなものです。

もしこの薬が効けば、それは奇跡です。それは私と他の参加者にとってだけでなく PKD 患者全員に対しての奇跡です。私は治験に参加できたことを誇りに思います。その効き目があるよう、皆さん祈りましょう。

#### <ジュディ・ラブマン・エーリッヒ>

PKD の治療法に関して、私は単純ではあるが力強い考え方を皆さんと共有したいと思います。それは我々なしには成し遂げられないということです。

この道の前途は、長い間求められてきた PKD の治療法になるかもしれない多くの新しい治療法を試験するべくなされてきた必須の仕事で満ちています。この仕事は PKD の研究を実験室からクリニックに、理論から実践に、動物実験から人類すなわち我々 PKD を患っている人間に導くものです。

ボストンのタフツ・ニューイングランド医療センターにおける PKD の医師であり研究者として著名なロン・

ペロン博士は HALT PKD の研究に関しての最近のインタビューで、治験の過程で我々の決定的役割に関して彼の考えを披露しました。その中で、「この長期の治験の研究を成功裏に成し遂げるには米国およびカナダの1000人を超える ADPKD の新患者の募集が必要である。」「ADPKD の患者の会が治験に意欲的に参加することを実際にやってみせることは、我々が現在および将来の両世代にたいしての科学的進歩を保つことができることを意味している。どのような有望な新薬が研究室で発見されようとも、治験なしには人には応用することができないであろう」と述べています。

別の言葉で置き換えれば、PKD の努力に対し誰でもお金を寄付することができ、誰もがボランティアとして時間を寄付することも現実のこととなっているのです。しかし、我々だけが今手近なところから挑戦に歩を進める能力を持っています。今 PKD 関連の12の治験が進行中です。思っていた通りです。このために我々は一生懸命働いてきたのです。がんばり抜きましょう。各人は自分自身を惜しみなく与えよう。言い換えれば、きっと「我々自身を与えよう」とさえいってもよいでしょう。それが唯一の方法なのです。

# PKD CLINICAL TRIALS UPDATE

## PKD 治験の更新

治験参加の選択は重要な個人的決断です。その決断の手助けをするために次のリンク先が治験全体に関する詳細な情報を提供してくれます。[www.clinicaltrials.gov/ct2/info/understand](http://www.clinicaltrials.gov/ct2/info/understand)。PKD を持つ個人は治験に参加することがふさわしいものであり自らに得となるか否かをヘルスケアプロバイダ(医療を提供する人たち)とよく議論すべきです。いくつかの治験の選択を確認した後の次の段階は研究スタッフと接触し特定の治験に関して質問をすることになります。

### < 一般的定義 >

介入研究：処方薬と PKD 病の進行に関するその効果をモニターする。

観察研究：薬は使わない。PKD 病の進行と/または他のパラメータのモニター。

### < ADPKD 患者に対する大規模な多施設での治験 >

#### HALT PKD の進行

介入治療：薬はリソノプリル (lisonopril) とテルミサルタン (telmisartan)

スポンサー：NIDDK、ボエリンガ・インゲルハイム製薬、Merck、PKD 財団

状況：募集中

登録目標：1018人

処方：PKD の進行と循環器病に関する血圧調整用の二つの異なるタイプの薬の効果を研究します。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00283686](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00283686)

連絡先：ロビン・ワットマン (Robin Woltman) 314-362-1318 または [robinw@wubios.wustl.edu](mailto:robinw@wubios.wustl.edu); ギギ・フライン (Gigi Flynn) 314-362-3737 または [gigi@wubios.wustl.edu](mailto:gigi@wubios.wustl.edu)

#### トルバプタンの第3相治験

介入治療：薬はトルバプタン (Tolvaptan)

スポンサー：Otsuka Pharmaceutical Development & Commercialization, Inc. と大塚製薬 (株)

研究局面：第3相

状況：募集中

登録目標：1500人

処方：トルバプタンの長期間の有効性と安全性の評価し、全腎臓の体積と嚢胞の体積をモニターし病気のさまざまな指標を測定してADPKD患者の病気の進行を遅らせます。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00428948](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00428948)

連絡先：クリスチン・コーウエル (Kristin Cornwell) 866-712-5837 または [kristin.cornwell@mayo.edu](mailto:kristin.cornwell@mayo.edu)

### ADPKD の患者における末期腎臓病を防ぐエバロリムスの効き目、安全性および許容性

介入治療：薬はエバロリムス (Everolimus)

スポンサー：ノバルティス社

研究局面：第3相

状況：募集中

登録目標：300人

処方：エバロリムスの長期間の有効性と安全性の評価し、全腎臓の体積と嚢胞の体積と腎機能の変化を測定してPKDにおける嚢胞の成長をブロックして病気の進行を遅らせます。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00414440](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00414440)

連絡先：ドイツのフライベルグにあるノバルティス社 41-61-324-1111

### <ADPKD 患者に対するパイロット研究>

これらの研究は少人数が参加するもので通常研究場所の近くで生活している人々に限られる

### ADPKD 治療のためのラパマイシンのパイロット研究

介入治療：薬はラパマイシン (Rapamycin)

スポンサー：クリーブランド・クリニック

研究局面：第1および第2相

状況：募集中

登録目標：30人

処方：嚢胞の成長をブロックすることによりADPKDにおける病気の進行を遅らせることの有効性を研究します。集中的で頻繁な検査があるため地域の患者だけが参加可能。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00286156](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00286156)

連絡先：スーザン・ワース (Susan Wirth) 216-444-0124 または [wirths@ccf.org](mailto:wirths@ccf.org)

### ADPKD のためのシロリムス (ラパミューン)

介入治療：薬はラパマイシン (Rapamycin)

スポンサー：チューリッヒ大学

研究局面：第3相

状況：募集中

登録目標：100人

処方：シロリムス (sirolimus) を少量服用するとADPKD患者の嚢胞の成長と腎臓の機能悪化が遅れるかどうかを調査します。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00346918](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00346918)

連絡先：アンドリュース・セラ (Andreas Serra) 医学博士 +41 44 255 33 84 または [andreas.serra@usz.ch](mailto:andreas.serra@usz.ch)

### ADPKD 患者のシロリムス治療：腎臓への有効性と安全性

介入治療：薬はシロリムス (sirolimus)

スポンサー：Mario Negri Institute for Pharmacological Research

研究局面：第2相

状況：募集中

登録目標：16人

処方：従来の高血圧の治療にシロリムスを加えると血圧の更なる上昇を抑えることができるかどうか、あるいは2つの水準の腎臓機能を持つADPKDの成人において全腎臓の体積および嚢胞の体積を軽減できるかどうかを確定します。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00491517](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00491517)

連絡先：ノルベルト・ペリコ (Norberto Perico) 0039 035-45351 または [perico@marionegri.it](mailto:perico@marionegri.it)

### 多発性嚢胞腎におけるソマトスタチン：長期3年間の追跡研究

介入治療：薬はソマトスタチン (Somatostatin)

スポンサー：Mario Negri Institute for Pharmacological Research

研究局面：第3相

状況：募集中

登録目標：66人

処方：2水準の腎臓機能において嚢胞の成長をブロックするために長期に作用するソマトスタチンを使って行う3年間の治療レジメンのPKD病の進行に対する効果を比較します。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00309283](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00309283)

連絡先：ノルベルト・ペリコ (Norberto Perico) 0039 035-45351 または [perico@marionegri.it](mailto:perico@marionegri.it)

### 重度の肝嚢胞病におけるオクトレオタイド

介入治療：薬はオクトレオタイド (長期に作用するソマトスタチン)

スポンサー：メイヨー・クリニック、ノバルティス社

研究局面：第2相、第3相

状況：募集中

登録目標：42人

処方：肝嚢胞の穿孔手術あるいは肝移植などの外科治療を辞退したり手術不可能の重度の多発性肝嚢胞を持つ患者の肝臓の体積を測定して、オクトレオタイドLARが嚢胞の成長をブロックする効果を評価します。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00426153](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00426153)

連絡先：マリー・ホーガン (Marie Hogan) 507-538-9851

リンダ・ページ (Linda Page) 507-538-9851

### ADPKD の病気の進行に及ぼすスタチン療法の効果

介入治療：薬はプラバスタチン (Pravastatin)

スポンサー：コロラド大学デンバー校と健康科学センター

研究局面：第3相

状況：募集中

登録目標：100人

処方：ADPKDの子供および8-21歳の若い成人においてコレステロール制御薬であるプラバスタチンが3年の研究期間に亘って腎臓病または循環器病に及ぼす影響を確定します。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00456365](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00456365)

連絡先：リンダ・パーキンス (Linda Perkins) 303-315-7821 または [pkd.nurse@uchsc.edu](mailto:pkd.nurse@uchsc.edu)

### ADPKD における泌尿器のアクアポルチン2に及ぼす高および低ナトリウム摂取の効果

介入治療：高または低ナトリウムの食事

スポンサー：ホルステブロー病院、デンマーク

状況：募集中

登録目標：25人

処方：高および低ナトリウム食が腎機能と腎臓に影響を与えるホルモンに及ぼす効果を調べます。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00410007](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00410007)

連絡先：(Carolina Cannillo) 1145099125428 または [cacan@ringamt.dk](mailto:cacan@ringamt.dk)

### ADPKD における高血圧治療のカルシウム・チャンネル遮断薬 (CCB) の安全性に関する研究

介入治療：薬はカンデサルタン (Candesartan)、カンデサルタン+シルニジピン (Cilnidipine)、カンデサルタン+非カルシウム・チャンネル遮断薬 (CCB)

スポンサー：杏林大学、日本

研究局面：第4相

状況：募集中

登録目標：150人

処方：ADPKDの患者の高血圧治療に関して、3種の血圧調整薬を個々にあるいは組み合わせて使うときの安全性と効き目を評価します。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00541853](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00541853)

連絡先：東原英二 0422-47-5511, 内線 5813 または [ehigashi@kyorin-u.ac.jp](mailto:ehigashi@kyorin-u.ac.jp)

## < ARPKD 患者に対する現在の治験 >

### ARPKD と先天性肝繊維症の評価

観察研究

スポンサー：国立人間ゲノムプロジェクト (NHGI)

状況：募集中

登録目標：200人

処方：より集中的な研究と新しい治療介入法のための基礎を作るべく、ARPKD/CHFの腎臓肝臓病に関する広範なデータを収集します。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00068224](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00068224)

連絡先：患者募集公共連絡事務所 1-800-411-1222 または [prpl@mail.cc.nih.gov](mailto:prpl@mail.cc.nih.gov)

### 子供の前向きコホート研究 (CKID) における慢性腎臓病

観察研究

スポンサー：糖尿病、消化器および腎臓病に関する国立研究所 (NIDDK)、児童の健康と人間の発達に関する国立研究所 (NICHD) および心臓、肺臓、血液の国立研究所 (NHLBI)

研究局面：第3相

状況：募集中

登録目標：540人

処方：腎機能低下のリスク要因を確定し、腎機能の低下が思考や行動にどのように影響するかをはっきりさせます。同時に心臓病、成長障害およびそれらに関するリスク要因を評価します。

リンク先：[www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00327860](http://www.clinicaltrials.gov/ct/show/NCT00327860)

連絡先：スーザン・フルス (Susan Furth) 410-502-7964 または [sfurth@jhmi.edu](mailto:sfurth@jhmi.edu); ブラッド・ワラディ (Brad Warady) 816-234-3812 または [bwarady@cmh.edu](mailto:bwarady@cmh.edu)



# THERE ARE OPTIONS

## ARE YOU A VICTIM OF GENETIC DISCRIMINATION?

### 選択肢はある

### あなたは遺伝的差別の犠牲者なのか？

遺伝病またはそれ関わる病気を罹っている米国の1千4百万人を超える人々にとって、遺伝的差別は大きな関心事として現在に至っています。実際、雇用機会均等委員会（EEOC）と連邦政府機関によって発行された1998年1月の報告書には「労働者が健康で発病しそうな場合や遺伝病が仕事を成し遂げる能力に影響を及ぼさない場合でさえも、遺伝的素因は職場差別となってしまう可能性がある」と述べています。

この報告書はまた、個人の遺伝情報はその家族の各人と将来の世代に意味を持つものなので、遺伝情報を間違えて使うと個人の間違いによる事件よりはるかに広範な世代間にわたる影響をもつことがありうる、と警告を発しています。

遺伝的差別をなくすことはPKD財団にとって最高の優先度を持ちます。議会は過去12年間に亘って連邦遺伝無差別法を採択させようと試みています。その法律が発効するまで、各人は現在法律で定められている連邦および州の既存の雇用と健康に関する差別防止に頼っていかなければならないでしょう。

もしあなたが遺伝的差別の犠牲者であると信じるならば、あなたの選択肢に関してより多くの情報を得るためにあなたが掘り起こすことのできる情報源があります。雇用差別に関しては、スタートする場所はあなたの会社の人事部になります。あなたの雇用主はあなたの利害関係について聞き取りをして行動するための手続きを明確に規定しているはずです。もしあなたの雇用主の人事部が助けにならないあるいは助けようとしていない場合には雇用機会均等委員会（EEOC）に連絡してください。男であれ女であれ雇用権が侵害されたと信じる人は誰であってもEEOCに差別を告訴することができます。告訴は郵便または最寄のEEOC現場事務所で本人自らがすることができます。あなたは予備面接質問書に記入するよう求められるかもしれません。予備面接質問書または他の通信書類は、もしそれが告発の内容を支配するEEOCの規則によって要求されたすべての情報を含みその出先機関が行動するための明確な要求を構成するのであれば、EEOCが施行する規則に基づいて告発を構成する要件になりえます。

ウェブサイトは [www.eeoc.gov](http://www.eeoc.gov) です。

あなたの健康保険会社による差別に対して、スタートすべき場所はあなたの州の保険コミッショナー事務所です。連絡方法を知るには、あなたの州の名と「保険コミッショナー事務所」という言葉でGoogleサーチをかけるのが普通です。そのほかにはあなたの地域の州の上院議員あるいは下院議員または知事室に連絡し

て連絡用情報を得ます。

加うるに、もし、あなたが組合に属していて労使間の団体交渉の元で働いている場合には、その組合に連絡をとりあなたを援助してくれるかどうか、更なる資源や情報を提供してもらえるかどうか調べてください。

あなたの州にも雇用者と健康医療保険事業者からの遺伝的差別を防止することを謳った州法があるはずですが、あなたの州が持っているかどうかを見つけるためには州議会国民会議のウェブサイトを見て下さい。雇用者に関する規則が

[www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndiscrim.htm](http://www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndiscrim.htm)

に載っています。健康保険事業者に関する規則が

[www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndishlth.htm](http://www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndishlth.htm)

に載っています。

現在48の州およびコロンビア地区が健康保険業者による遺伝情報の使用に関する法律を持っています。例外はペンシルバニア州とミシシッピ州です。34の州とコロンビア地区が雇用主による遺伝情報の使用に関する法律を持っています。

最後に、議会における上院議員あるいは下院議員は、スタッフを擁して、もし問題が連邦政府機関に関係するものならば、あなたが連邦政府機関に連絡をとったり連邦官僚の居所を探す手助けをしてくれます。

連邦選出の公務員に関する連絡情報は <http://www.congress.org>

下院議員は <http://www.house.gov>

上院議員は <http://www.senate.gov> です。

## 現在の法律は遺伝的差別をなんと言っているか

### 1996年の健康保険の携行性（訳注 転職などしても、元の会社で支払った掛け金を新しい会社で引き続いて通算できること）と説明責任に関する法律（HIPAA）

この法律は、グループ健康保険あるいはその保険事業者が適格性や継続適格性のための規約を作るために遺伝情報を使うことを禁じるものであり、遺伝情報は以前から存在する条件として取り扱ってはならないと規定しています。この法律はまた、グループ健康保険あるいはその保険事業者が保険料設定に際し遺伝情報を使うことを禁じています。

この法律は、グループ健康保険あるいはその保険事業者が遺伝検査を要求あるいは要請することを禁じていませんし、遺伝情報を公開する前に公認を得ることを要求しているものでもありません。またこの法律は個別の条件に対しての保険の範囲を除外することを妨げるものではありませんし、生涯にわたってのすべてのあるいは特定の給付金の変動に上限を課すことを防いでいるわけでもありません。この法律はまた、雇用の

ような健康保険以外の分野での遺伝情報の使用を委ねているものでもありません。

## 身体障害のあるアメリカ人法 (ADA)

この法は雇用、公共サービス、公共施設、および通信において身体障害を持つ個人に対しての差別を禁じています。ADA 法に関するかどうかの境となるケースの大事な点はそれが差別を主張する個人が身体障害を持った個人か否かにかかっています。この法は「(1) そのような個人の一つあるいはそれ以上の多くの生命活動を相当に制限する身体的または精神的病害、(2) そのような病害の記録、(3) そのような病害を持っていると見做されること」がある個人に関して身体障害を定義しています。

1995年に EEOC によって、ADA には病気、疾病または他の疾患に関する遺伝情報を含むと解釈されました。そのガイダンスにおいて EEOC は ADA の (上述の) 3つの「部分」で身体障害の定義を吟味しました。その第3番目の部分こそが、病気、疾病または他の疾患に関する遺伝情報に基づく差別を禁じるという EEOC の決定によるものだったのです。

この EEOC の解釈が病気、疾病または他の疾患に罹りやすいことを示す遺伝子を持つ個人の権利保護に対して重要な一段階であると考えられました。しかし、それは適用されたケースが多くありませんし、身体障害の定義に関する最高裁判所の決定によって制限されるかもしれないものです。

## プライバシーの保護

憲法は明白にプライバシーに対する権利を規定してはいませんが、最高裁判所は情報プライバシーに対するある権利を規定してきています。しかしながらこれらの権利は、政府が情報を得る必要性に対しての司法の従属およびそのような憲法上の権利が州の行動により制限されるような事実により制限されています。

現実問題として、このことは連邦または州の情報収集がある程度の憲法上の保護を受けるかもしれないことを意味しているといえるでしょう。しかし、私的な健康保険や事業者による情報の収集と使用はその範囲に含まれていません。ある連邦法が医療記録のプライバシー保護を規定しているかもしれません。

1974年の情報の自由に関する法律 (FOIA) は、ある条件を除いて個人に関する記録を連邦政府機関が公開することを禁じています。政府機関は自らの医療記録にアクセスしたい個人に対して特別の手続きを制定することができます。情報の自由に関する法律は連邦政府の行政支所の中で保管された記録にアクセスする権利を制定します。それはいくつかの除外項目を持ちます。その一つは「人事医療ファイルおよび同等のファイルの、明確に個人のプライバシーの侵犯に対して保証されていない開示」です。

原典：ナンシー・リー・ジョンズとアリソン・M・スミス「遺伝情報：差別とプライバシーに関する法的問題」、議会のための議会研究サービス報告書、公文書11、2005年

## 役に立つウェブサイト

# HELPFUL WEBSITES

### EQUAL EMPLOYMENT OPPORTUNITY COMMISSION

[www.eeoc.gov](http://www.eeoc.gov)

### NATIONAL CONFERENCE OF STATE LEGISLATURES

[www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndiscrim.htm](http://www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndiscrim.htm)  
*for statutes regarding employers*

[www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndishlth.htm](http://www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndishlth.htm)  
*for statutes regarding health insurers.*

### US CONGRESS

[www.congress.org](http://www.congress.org)

### US HOUSE OF REPRESENTATIVES

[www.house.gov](http://www.house.gov)

### US SENATE

[www.senate.gov](http://www.senate.gov)

雇用機会均等委員会は [www.eeoc.gov](http://www.eeoc.gov)

州議会国民会議は [www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndiscrim.htm](http://www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndiscrim.htm)

雇用者に関する規則は [www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndiscrim.htm](http://www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndiscrim.htm)

健康保険事業に関する規則は

[www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndishlth.htm](http://www.ncsl.org/programs/health/genetics/ndishlth.htm)

米国議会は [www.congress.org](http://www.congress.org)

下院は [www.house.gov](http://www.house.gov)

上院は [www.senate.gov](http://www.senate.gov)



# CAPITOL CORNER

## WHAT'S HAPPENING ON THE HILL

### 連邦政府のコーナー

#### 国防省のピアレビューされた 2008 年医学研究プログラムにおける PKD

11月にブッシュ大統領は、多発性嚢胞腎 (PKD)が国防省のピアレビュー (訳注 審査のための専門家仲間による査読) された医学研究プログラムの中の研究に資金を投じる資格がある病気としてリストに掲げられた 2008 年度国防省適正法案に署名しました。

このプログラムにより、PKD、血液がん、多発性硬化症、炎症性腸疾患などを含む 21 の病気や健康関連のための研究資金に 5 千万ドルが準備されることになっています。

初年度の 2006 年には PKD はピアレビューされたプログラムに含まれていました。カリフォルニア大サンタ・バーバラ校のトーマス・ワインズ博士は PKD における「mTOR 経路」の調節を研究するため 5 年間の助成金として 125 万ドルの資金を授与されました。

研究者が資金の提供を申請します。その申請は科学的価値とその病気が軍事的準備性に及ぼす影響について独立したパネルからなる研究者によって審査されます。6,300 名を超える現役の軍人と予備役および国防省文官は PKD を持っていて、全員が腎不全になる危険にさらされています。PKD は米国における腎不全の主要な遺伝的原因となっています。

ピアレビューされたプログラムのもとで資金提供の申請をする方法は PKD 財団のウェブサイトにあります。

#### 上下院は免疫抑制剤法を導入します

腎移植を行った患者に必須の拒絶反応治療のためのメディケア (訳注 Medicare、米国における 65 歳以上の高齢者や身体障害者向けの医療保険制度) が保障する 36 月の保障期間の制限をなくすための法案が昨年 8 月と 11 月に議会により提出されました。

米下院議員のデイブ・キャンプ (R-MI) とロン・カインド (D-WI) は 8 月に移植患者に対する包括的免疫抑制剤の保障期間に関する 2007 年の法律 (H.R. 3282) を導入しました。それに引き続き、米上院議員のディック・ダービン (D-IL) とササッド・コックラン (R-MS) は 11 月上院においてそれに付随する法律 (S 2320) を提出しました。

この法案は拒絶反応治療に対する36月のメディケアの保障期間をなくすものです。PKD患者の少なくとも50%は最終的には末期腎臓病（ESRDまたは腎不全）になるといわれています。移植患者が年齢や身体障害のためメディケアの保障を受ける資格がない限り、メディケアは人工透析を無期限で保障する一方で腎臓移植のために必須な免疫抑制剤を36月だけ保障しています。

ひとたび36月の期間が終了すると移植患者はこの高価な治療に対する支払いに他の方法を見つけざるをえません。多くの患者はメディケアの助けなしには免疫抑制剤を手に入れる余裕がありません。その結果、人工透析に戻ったり2度目の移植を受けざるをえなくなったりする機会が増えることになります。免疫抑制剤をメディケアが保障すれば腎臓の透析を再開する（少なくとも年に5万ドル）、あるいは移植する（年10万ドル）よりはるかに安上がりになります（年1万5千ドル）。

PKD財団はH.R.3282とS.2320に関するアクション・アラート（訳注 米国議会などに審議中の法案に対するメッセージを送ること）を発行しました。PKDウェブサイトのアクション・アラート中央のページを訪ねてこれら重要な法案を支持するにはどうやってあなたの選んだ職員に連絡できるか知ってください。

### **日にちを確保しておこう：2009年～2010年のためのキャピトル・ヒルへのアドボカシー（訳注 社会問題に対処するために政府などに、公共政策の形成を促すことを目的とした活動）行事予定に組織されたPKD代表者**

PKD財団は、首都ワシントンのヒル・アドボカシー行事に関して組織されたPKD代表者の2009年と2010年版の日時を設定しました。

ワシントン・ダウンタウンのフォア・ポイント・シェラトンホテルは2009年3月2～3日の月曜日、火曜日と2010年3月1日の月曜日、火曜日の行事を主催します。

この行事はアドボカシーの練習と並行して米国議会と連邦政府の来賓の演説の一日目を予定しています。二日目は我々主唱者のために準備されていて、キャピトル・ヒルに集まり上院議員・下院議員と語り合い、増大するPKD研究資金やPKD家族のために有益なほかの政策の支持を要請します。

2008年3月3～4日に予定されている行事は大成功すると期待されています。ぜひ2009年、2010年の皆さんの仲間PKD代表者に合流してください。詳細はPKD財団のウェブサイトをご覧ください。

## 研究と医学のニュース

### 研究によると、水は多発性嚢胞腎の嚢胞の成長を止めるカギになるかもしれない

最近の研究によれば、PKD とその病気の治療は水に関係があるのではないかと考えられています。嚢胞を持った標準的なラットに大量の水を与えると、流体に満たされた嚢胞の形成が遅れたり停止したりしました。薬を使わない水だけの治療法です。

トルバプタン (Tolvaptan) [PKD 治療のための治験が現在行われている薬]は体の中の AVP V2 受容体をブロックすることを助けるように作用します。AVP は自然に生成されるホルモンで水のバランスを調節します。動物を使った研究では AVP が低水準であると嚢胞の成長が減速することが示されています。この効果はトルバプタンが AVP をブロックするときに起こります。それによって嚢胞の成長の重要な要件である液の分泌や細胞の増殖をブロックするのに役に立つのです。

この研究に関連して、科学者は大量の水を嚢胞を持ったラットに与えて嚢胞の成長に対する効果を調べました。この大量の水はトルバプタンが AVP のブロックに作用するのと同じような効果を生み出しました。その結果嚢胞の成長が遅くなったり停止したりしたのです。これは PKD の患者に対して実行可能な治療方法ではないことに注意してください。なぜなら一人一日に 20 リットルの水を飲むことが必要だからです。

しかし、この水と嚢胞の成長のブロックが関連は PKD 医学研究における重要な進展ではないでしょうか。

### ロスコバイチンは PKD にとって光明になるか



ロスコバイチン (Roscovitine) は抗がん剤としてフランスで現在治験中の薬で、長期に亘って使用されたときマウスの嚢胞の成長を停止させることが示されている、と研究者が報告しています。このニュースにより、細胞の成長に必要なタンパク質を有効に阻害するロスコバイチンが PKD に罹った人間の治療にも潜在的有望な可能性を持っている証拠なのではないかと科学者が信じるようになってきました。PKD 患者に対するこの薬の更なる研究は現在行われていません。

## 着用可能な人工腎臓の実現なるか

着用可能な人工腎臓（WAK）を作り出す計画が前進しつつあります。すべてが順調に行けば、X コーポラル社（Xcorporeal, Inc.）によって作り出された人工腎臓は PKD 患者のような末期腎臓病をもつ人々に対し連続的な血液の透析を可能にしてくれることでしょう。人工腎臓を使って初めて人間に行われた研究の結果は 2007 年 11 月のアメリカ腎臓病学会の腎臓週間で発表されました。また X コーポラル社は急性腎不全を患う人々に低価格の治療法を提供するために多機能腎臓代替装置も開発していて、家庭で使うのに便利で耐久性があり本当に持ち運びしやすいものをとという患者の要望に応えるために自家用人工透析機器を商品化することを計画しています。ナショナルディレクタタ（科学プログラム部）のロリー・ロームによれば、X コーポラル社の機械は透析液を使わずに人工透析を提供できるため、まさに革命的であるといえます。

## DONATE PKD KIDNEYS TO RESEARCH

### 研究用に PKD の腎臓の寄贈を

PKD の腎臓は科学的研究に必要です！自分の腎臓を寄贈したい人はみな 1-800-PKD-CURE に連絡してください。（注 腎臓は生きている人からの寄贈のみ受け付けます）準備の都合上予定される手術の少なくとも 2 週間前までに PKD 財団に連絡をお願いいたします。