

平成 29 年 2 月 28 日

厚生労働省 医薬・生活衛生局
局長 武田 俊彦 様

一般社団法人 日本 ALS 協会
会長 岡部 宏生

筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 遺伝子治療の先駆け審査指定制度への
指定についての要望

謹啓、平素より一般社団法人 日本 ALS 協会の活動にご支援賜り感謝申し上げます。

当協会は、「ALS の原因究明と治療法の確立」と「ALS 患者の療養環境の整備」を目的に活動しています。

株式会社遺伝子治療研究所が取り組んでいる ALS に関する遺伝子治療について (名称 AAV2/9-hADAR2) は、難治性疾患実用化研究事業 2016 年度成果報告会でも高く評価されています。患者や家族から高い関心が寄せられており、当協会としても期待しているところです。これまでの ALS 治療は病気の原因を解明しないまま効果が期待できる薬剤を用いてきましたが、今回は東京大学郭伸客員研究員らが解明した病態仮説に基づいて、治療方法は自治医科大学村松慎一特命教授らが開発した遺伝子治療という、これまでの ALS 治療にはなかった斬新なアプローチであると感じています。このように画期的な手法で進められている治療法を一日でも早く利用できることを患者や家族は強く望んでいます。

さらに、日本の ALS 治療薬開発は海外からも注目され、昨年承認されたエダラボンの投与を受けたいという希望は国外の患者にも広がっており、当協会にもアメリカ、カナダ、オーストラリア、イタリア、イラン、トルコなど世界中の患者や家族から相談が寄せられています。今回の遺伝子治療も国際的な ALS 患者のコミュニティですでに話題となっており、日本発の創薬に期待する声は益々高まっています。

つきましては、一日も早く遺伝子治療が患者の手元に届くよう、この遺伝子治療を「先駆け審査指定制度」にぜひ指定していただきたく、よろしく願いいたします。

敬白