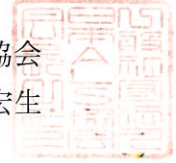


平成 30 年 2 月 9 日

厚生労働大臣 加藤 勝信 様
医薬・生活衛生局
医薬品審査管理課長 山本 史 様
健康局難病対策課長 川野 宇宏 様

一般社団法人 日本 ALS 協会
会長 岡部 宏生



要望書

平素より、難病対策にご尽力いただき心より感謝申し上げます。

現在 ALS の治療薬として、リルゾールとエダラボンが使用されていますが、リルゾールは平均生存期間（または人工呼吸器につながるまでの期間）約 90 日延長するが臨床症状には影響を与えない、エダラボンは平均生存期間を延長するか否かは不明と聞いています。

一方、ALS に対する高用量メチルコバラミン筋注製剤 E0302 (25mg) のエーザイ（株）による第 2・3 相試験（761 試験）では発症後 1 年以内にエントリーした部分集団解析で、平均余命を 600 日以上（50mg 投与群）延長し ALSFRS-R も半年間で約 3.5 点改善する可能性があるという画期的なデータが得られました。本剤の早期承認については先年、厚生労働省に対して協会としても要望をさせていただきましたが、部分解析であるということで承認には至らなかったとお聞きしております。

今回、発症後 1 年以内の患者に対して国の支援（AMED）を受けての第 3 相医師主導治験（主任研究者 徳島大学 梶 龍児教授）が開始されておりますが、良好な結果が得られる可能性が極めて高く、本剤の医師主導治験が成功すれば平均余命・臨床症状を著明に改善する可能性が高い薬剤が世界で初めて患者に届けられることとなります。発症から平均生存期間が 3～5 年と言われる ALS において、600 日の延命効果は非常に大きな意味を持ちます。このことについて、患者さん、あるいはそのご家族から当協会へ数多くの問合せがあり、一日も早く治療を受けたい、受けさせたいといった要望が後を絶ちません。

そのようなことから、当協会として希少疾病用医薬品等（オーファンドラッグ）制度を適用していただき、一日も早く ALS に対する薬事承認が行われるよう、強く要望いたします。

ご高配くださいますようによりしくお願い申し上げます。

以上