

令和 4 年 12 月 2 日

厚生労働大臣
加藤 勝信 様

一般社団法人 日本 ALS 協会
会長 恩田 聖敬



ALS 治療薬（米承認薬 RELYVRIO™ 及び国内治験薬）の 早期の審査・保険適用等、及び署名提出の面会に関する要望

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、難病 ALS（筋萎縮性側索硬化症）の治療薬開発が国内外で急速な進展をみせております。今年 9 月末に米 FDA において新たな病気進行抑制薬（薬品名：RELYVRIO™（レリブリオ）、AMX0035）がカナダに続いて承認されました。日本では高用量メコバラミン（エーザイ株）の来年 3 月の薬事申請や患者由来 iPS 細胞研究によるロピニロール剤やボスチニブ剤の治験が進められており有効性が公表されています。また認可済のエダラボンの経口薬（新薬）の治験が行われており、今冬には ADAR2 遺伝子治療の臨床試験が予定されております。

ALS は運動神経が選択的に侵され身体麻痺等が進行し、かつ、呼吸筋が侵され人工呼吸器を装着しなければ死に至る進行性の疾患で、未だ病気を止めるなどの有効な薬はなく、国内約 1 万人（世界約 30 万人）の患者が罹患し、国内では毎年 2 千人以上が効果的な薬を待ち望みながら亡くなっています。

現在、国内で ALS 治療薬は 2 つの薬（リルゾールと点滴エダラボン）が認められておりますが、治療効果の高い治療薬を開発することは患者家族の切なる願いです。

ALS 治療薬承認期間の短縮・迅速化を望む声は米 ALS 法（昨年 12 月バイデン大統領承認成立 ALS ACT H. R3537）の特例措置や国内新型ワクチンの「特例承認」「緊急承認」（薬機法）による短期間の認可から「ALS も同様にしたい」など多く寄せられています。

つきましては、既存薬のリルゾールやエダラボンと作用機序が違う第 3 の治療薬である「レリブリオ」や国内治験で安全性と有効性が評価された薬については「特例承認」や「緊急承認」などによる迅速な措置をお願い致します。

また、今国会で審議されている難病法改正案（210 国会 閣 17）の「軽症者登録者証の発行、難病患者データ登録」や「重度障害者の重度訪問介護による就労就学支援」（210 国会 衆 11）を承認させて早期に実施出来るようにして下さい。

なお、この度の米 FDA 承認薬「レリブリオ」の政府による「特例承認」を求めるオンライン署名活動は 8350 名（11 月 28 日現在）を超えており、集まった署名が当協会に寄せられましたので大臣に直接提出させていただきたく、年内早い段階での面会を希望いたします。面会可能日時につきご教示いただきたく、お願い申し上げます。欧米の動きに合わせ、国内でも ALS の現状打破のテーマは社会問題としても関心が高まっております。メディアの方も署名提出の際はお越しいただく予定です。

また、アメリカで行われている、従来の治験方法とは異なるヒーリーズ・プラットフォーム治験と同様の治験の仕組みを整えてください。

— 記 —

1. 米 ALS 承認薬 RELYVRIOTM（レリブリオ）及び日本国内治験薬の「特例承認・緊急承認制度」による迅速な治験・薬事審査と承認

2. 今国会で審議中の法改正の承認と早期施行
 - (1) 「難病法」一部改正案（210 国会閣 17）
「軽症者の登録者証発行と難病患者データ登録他」
 - (2) 障害者総合支援法一部改正案（210 国会衆 11）
「重度障害者の重度訪問介護対象に就労就学を加える」

以上