

令和5年6月12日

厚生労働大臣

加藤 勝信 様

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA)

理事長 藤原 康弘 様

一般社団法人 日本 ALS 協会

会長 恩田 聖敬



SOD1-ALS 治療薬 QALSODY™ (トフェルセン) の 早期承認・保険適用に関する要望

平素より、難病 ALS (筋萎縮性側索硬化症) 等の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 の治療薬開発が国内外で急速な進展をみせております。米国食品医薬品局 (FDA) は、今年 4 月 25 日、QALSODY™ (トフェルセン、Tofersen:米バイオジェン) を ALS の遺伝学的原因を標的とした治療薬として承認しました。

QALSODY™ はスーパーオキシドジスムターゼ 1 (SOD1) 遺伝子変異を有する成人の毒性蛋白質の合成を減少させるために開発された薬で、臨床試験の結果では、対照群との比較において、血漿ニューロフィラメント軽鎖 (NfL) の濃度低下が認められ、ALS 機能評価尺度 (ALSFRS-R)、呼吸強度への影響、筋力への影響で有意な差がみられています (添付資料参照)。

QALSODY™ (トフェルセン) は、全 ALS 患者の約 2% といわれる SOD1 遺伝子変異をもつ ALS 患者を対象にしており、治験には国内の患者も参加しております。

SOD1-ALS の患者からは「一日も早く国内の医療保険で使用できるようにしてほしい」との声が聞かれます。また、ALS の根本的な治療薬の開発につながるものと期待されています。

国内ではバイオジェン・ジャパン株式会社が医薬品審査に向けて当局と協議中、との報道もありました。米国「迅速承認」、「条件付き承認」などにならない、わが国での早期承認、上市を切望します。

つきましては以下について、ご高配を賜りますようお願いいたします。

記

1. QALSODY™ (トフェルセン) の保険適用に向けた迅速な審査承認
2. ALS の遺伝学的検査、遺伝カウンセリング体制の早急な整備と質の担保

以上

トフェルセンの臨床使用データ

(2023年3月22日FDAアドバイザーコミッティ資料より一部抜粋、日本語訳追加)

<https://www.fda.gov/media/166393/download>

