

令和5年10月31日

厚生労働大臣
武見 敬三 様

一般社団法人 日本 ALS 協会
会長 恩田 聖敬



SOD1-ALS 治療薬トフェルセン (QALSODY™) の 超速な審査・保険適用に関する要望と署名簿提出

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。

神経難病 ALS (amyotrophic lateral sclerosis、筋萎縮性側索硬化症) の、SOD1-ALS 治療薬トフェルセン (tofersen、QALSODY™、米バイオジェン: Biogen Inc.、今年4月米国食品医薬品局 FDA 承認) の超速な審査承認をお願い致します。

ALS は中高年で運動神経が選択的に侵され、身体等の麻痺が進行し 2~5 年で呼吸器を着けなければ命の危険にさらされる過酷な指定難病です。現在、国内には約 1 万人の患者が指定難病による医療を受け、2 つの治療薬 (リルゾール、エダラボン) が医療保険で使用できるようになっていますが、治療効果は病気進行を、少し遅らせる程度で、毎年 2 千人以上が亡くなっています。そのことから ALS はアンメット・メディカル・ニーズが極めて高い稀少疾患とされています。

トフェルセン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、国際共同治験の結果では、プラセボとの比較において、バイオマーカーである血漿ニューロフィラメント軽鎖 (Neurofilament Light: NFL) に顕著な濃度低下が認められ、また ALS 機能評価尺度 (ALSFRS-R)、体重維持、呼吸強度への影響、筋力への影響などでも効果が認められています。(資料添付) この薬は全 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、治験には日本の患者も参加しております。

SOD1-ALS の患者家族からは「一日も早く国内の医療保険で使用できるようにして欲しい」との切なる声が聞かれます。最近、自費でトフェルセンを米国から取り寄せ、治療を受ける患者が出てきており、薬剤費 (年約 2,600 万円)、入院費、検査代などの自己負担を賄うために募金活動をしている患者もおります。また Web 署名「ALS 完治の未来に向けて! 遺伝学的原因による ALS (家族性 ALS) の初の治療薬「商品名: QALSODY™(一般名: トフェルセン)」の早期承認の実現に力をお貸してください!」も開始され、現在 1,000 名以上の賛同が得られています。

先の国会でドラックラグ問題が取り上げられ、現在、厚生労働省としてもドラックラグの解消に前向きな検討がされていると報じられています。国内では医薬品医療機器総合機構 (PMDA) とバイオジェン・ジャパン株式会社において審査申請に向けた協議が行われていると報道されております。

つきましては、患者家族等の一日も早い保険適用をお願いしたいとの署名簿をお受け取りいただき、超速な薬事審査が行われるように、ご高配を賜りたく宜しく願い申し上げます。

以上