

令和5年12月11日

バイオジェン・ジャパン株式会社  
代表取締役社長 傳 幸諭 様

Biogen Inc.  
President and Chief Executive Officer  
Christopher A. Viehbacher 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 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) への速やかな薬事申請のお願い

貴社益々ご清栄のこととお喜び申し上げます。  
平素より、神経難病 ALS 等の創薬にご尽力いただき、心より感謝申し上げます。

さて今年4月にアメリカ FDA で承認された SOD1-ALS 治療薬トフェルセン (tofersen、QALSODY™、米バイオジェン: Biogen Inc.) の国内超速承認をえるために、薬事承認の申請書を医薬品医療機器総合機構 (PMDA) に速やかに提出することを、お願い致します。

SOD1-ALS の患者家族からは「有効な薬があるのに使えない。患者には病気が進行しており時間がない、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」との切なる声が聞かれます。

最近、トフェルセンを自費で米国から取り寄せ、治療を受ける患者が出てきております。投薬後に病気進行が抑えられているとの声もある中で、薬剤費 (年約 2600 万円)、入院費、検査代などの全額自己負担は募金活動等を行っても継続治療が大変厳しい状況におかれています。早急に改善措置を求める声が高まっております。

また神経内科の病院には SOD1-ALS 患者から「治療を受けたい」との相談が寄せられているとの声も聞かれます。

関係する (一社) 日本神経学会と (一社) 日本神経治療学会からはトフェルセンの早期薬事承認に関する要望書が厚生労働大臣宛てに 7 月 20 日に出されております。

11 月 20 日の厚生労働省の塩崎彰久大臣政務官に面会陳情した時には『トフェルセンは第三相まで治験が進み、日本人も参加していると承知しております。製薬会社が申請すれば PMDA で迅速に審査を進め、有効性・安全性が確認されれば、速やかに承認に向けて動くことをお約束します』とのお言葉をいただいております。

以上のことから私たちは貴社が薬事承認申請にむけた PMDA との事前協議を、速やかに終了させ、正式申請されることを切に期待します。  
ご高配を賜りますよう、よろしくお願い申し上げます。

以上