

2024年2月21日

エーザイ株式会社  
代表執行役 CEO 内藤 晴夫 様

一般社団法人 日本 ALS 協会  
会長 恩田 聖敬



## メコバラミン高用量製剤による ALS「人道的見地から実施される 治験（拡大治験）」実施に関するお願い

貴社ますますご清栄のこととお慶び申し上げます。

また、日ごろの ALS 等神経難病に対する治療法確立のご尽力に深く感謝申し上げます。

この度の筋萎縮性側索硬化症（ALS）に係わる適応で、独立行政法人医薬品医療機器総合開発機構（PMDA）にメコバラミン高用量製剤の新薬承認申請を行っていただき、患者家族支援者は大変喜んでおります。

本剤の ALS への適応申請は長く心待ちにしていたもので、一日も早く保険適用されることを望んでおります。

先日、厚生労働省医薬審査管理課にオーファン・ドラッグの申請受付から審査終了までの期間を確認したところ、「約9か月。1月26日付の申請なので今年9月末までに」が目安とのことでした。また、それより早く患者に薬を届ける方法がないかとの問いについては、上市まで「人道的見地から実施される治験（拡大治験）がよい」との回答でした。

高用量メコバラミンは2006年からの ALS 治験と追加再試験を経て、安全性と有効性が検証された薬剤であり、当協会として、保険適用前でも希望する患者に経済的負担が少ない措置により、一日でも早く届けられることを願っております。

つきましては、貴社による高用量メコバラミンの拡大治験の実施を是非お願いしたく、ご検討いただけるよう、お願い申し上げます。

今後ともご支援賜りますよう、宜しくお願い致します。

以上