

2024年3月1日

バイオジェン・ジャパン株式会社  
代表取締役社長 傳 幸論 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 聖敏



## SOD1-ALS 治療薬トフェルセン (QALSODY™) の 「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存じます。

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。

昨年 12 月 11 日付当協会から貴社への「SOD1-ALS 治療薬トフェルセン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」に対し、貴社より、12 月 18 日に「弊社 PMDA の 事前協議、ならびにその後の薬事申請のプロセスをできる限り速やかに進めていけるよう、鋭意努力してまいります」とのご回答をいただきました。

その後、厚生労働省医薬品審査管理課にオーファン・ドラッグの申請受付から保険収載までの期間を確認したところ、現状では「審査に約 9 か月、保険収載に約 2 か月で合計 11 か月」とのことでした。11 か月は日々病状が進行する患者にとって極めて長い待ち時間であり、一日も早く承認して医療保険で使えるようにして欲しいとの声が強く聞かれます。

そのため当協会では、医療保険で使えるまでの過程を超速に進めるように厚生労働省に要望しております。併せて保険適用までの期間に、患者負担ができるだけ少なく治療薬にアクセスできる方法が必要と考えております。医薬品審査管理課からは「人道的見地から実施される治験 (拡大治験)」の適用が唯一の方法とのアドバイスをいただいております。

トフェルセンは昨年 4 月にアメリカ FDA で迅速承認され、今年 2 月 23 日には欧州医薬品庁 (EMA) の医薬品委員会 (CHMP) が特例的な状況下での販売承認を推奨する肯定的見解を採択したと、米国バイオジェン社から報道及びプレスリリースがありました。

トフェルセンは日本を含む国際共同治験が実施され、安全性と有効性が検証されていると考えており、日本神経学会、および日本神経治療学会から、早期薬事承認の要望書が出されております。

寄付等資金を捻出してトフェルセンをアメリカから取り寄せ、自費治療を受けている患者もおり、当協会としては、希望する患者に保険適用前でもできるだけ経済的負担が少ない方法で、一日でも早く、長く、治療ができるよう願っております。

つきましては、トフェルセンの人道的見地から実施される治験 (拡大治験) を迅速に開始していただきますよう、是非ともお願い申し上げます。

以上