

令和6年7月1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



令和6年度 ALS 等神経難病対策に関する要望

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。
筋萎縮性側索硬化症(ALS)等神経難病患者の治療法確立と療養環境改善に係る以下の要望について、ご高配を賜りますようお願い致します。

記

1. 進行性で生命予後に重大な影響のある ALS 等の疾患の創薬強化と医療提供体制整備

(1) ALS 等の創薬支援として基礎研究、実用化研究に必要な予算を確保し、治験が滞りなく行われるよう研究、治験施設等に対して AMED 支援と PMDA の連携指導を行って下さい。

iPS 細胞研究による「ロピニロール」(慶應義塾大学)と「ボスチニブ」(京都大学)は第2相試験が終了し、有効性と安全性が発表されています。また、遺伝子治療 ADAR 2 (自治医科大学)が臨床試験中です。必要な治験が滞りなく進行できるよう支援して下さい。

(2) 薬事申請済み薬品の迅速審査を行い、一日も早く上市できるようにして下さい。

「高用量メコバラミン」は1月に申請され、「トフェルセン」は5月に申請済みです。希少疾病医薬品では申請から薬事承認までの期間が9ヵ月と言われていたようですが、一日も早く、当該期間を短縮して下さい。

(3) 進行性で生命予後に重大な影響のある ALS 等の疾患に対する超速承認制度を整備して下さい。

近年、世界で ALS の原因と病態解明が急速に進んでおり、有効な治療薬候補が多く報告されています。それに対して米国承認薬の国内承認や国内治験薬の治験終了から薬事承認までの期間が非常に長く、患者はタイムラグを感じており大幅な短縮を望む声が聞かれます。

海外承認薬の6ヵ月以内の薬事承認、国内での治験終了から薬事申請まで大幅期間短縮と薬事申請から6ヵ月以内の審査承認にするなど、治験開始から上市まで一気通貫でスピード感ある超速承認の仕組みを整備して下さい。

(4) ALS の遺伝学的検査、遺伝カウンセリング体制を早急に整備して下さい。

SOD1-ALS 新薬「トフェルセン」の年内の薬事承認の可能性があり、ALS 患者の遺伝的検査と遺伝カウンセリング体制の整備を早急に進めて下さい。

(5) 米 EAP (早期アクセスプログラム) に相当する患者が有効な薬に早期にアクセスできる制度を整備して下さい。

アメリカでは第 2 相試験で安全性と効果が確認された場合、迅速承認制度と治験対象以外の患者に対して薬の投与にアクセスできる制度 (EAP) があり、国立衛生研究所の資金援助なども整備されています。日本では「条件付き早期承認制度」と「拡大治験」があり、ALS では米 FDA 承認「トフェルセン」の「拡大治験」が実施されます。

関係する製薬企業や医療機関が実施しやすく、患者が有効な薬に早期にアクセスできる制度を整備・拡充して下さい。

(6) 「指定難病医療受給者証」の更新手続き (提出書類、費用) を簡素化して下さい。

「指定難病医療受給者証」の更新には多くの書類 (マイナンバー身元確認書類、非課税証明書、健康保険証、医療費の窓口支払額 (12 ヶ月分)、現在の受給者証、遺族 (障害) 年金の振込通知書) と主治医による臨床個人診断書 (有料) が必要です。

必要最低限に手続きを簡素化して、患者家族の負担を軽減して下さい。

2. 介護保険の在宅サービスの改善措置

(1) 訪問介護における医療的ケアに特別加算をつけてください。

令和 6 年度の介護報酬改定において特定事業所体制加算の要件が緩和 (利用者の内、要介護度 4、5 である者、痰吸引者数が 20% 以上 (改定前 60%) の場合) されていますが、医療的ケアが可能なヘルパー数を拡充するための報酬上の措置を講じて下さい。(障害福祉サービス等報酬では 1 日千円の報酬あり)。

(2) 訪問入浴サービスが後退しないよう支援措置を講じて下さい。

移動距離が長い、重症者・医療的ケア必要者の介護報酬が低い、体調変化によるキャンセル対応等により事業者の撤退が聞かれます。実情を調査し、事業所の支援措置を講じて下さい。

3. 重度障害者の医療的ケア体制を拡充整備

在宅で医療的ケア (喀痰吸引、経管栄養) が必要な患者に対する介護者不足や医療的ケアを実施する事業所数の地域間格差などが指摘されています。特定の者対象の 3 号研修を実施する地方において、研修の質を確保するための講師等の経費負担や少人数の受講生などによる財政負担、実地研修における指導看護師の確保困難などの声も聞かれます。医療的ケアが必要な ALS 等の患者家族が住み慣れた地域で療養生活が送れるよう、医療的ケア体制を拡充整備して下さい。

4. 重度訪問介護による就労、就学支援を拡充

(1) 「雇用施策との連携による重度障害者等就労支援特別事業」を全国的に普及して下さい。

2020 年 10 月から施行された本事業は、実施している自治体は今年 3 月末現在で全国 78 自治体 (計 183 人利用) と報じられており、利用者の拡大は十分とは言えません。市町村の特別事業である本事業の課題を分析して改善措置を講じるとともに周知を行って下さい。

(2) 就学に重度訪問介護が必要な者への支援措置を拡充して下さい。

以上