

2023年9月28日

衆議院議員

衆議院厚生労働委員会 筆頭理事

上野 賢一郎 様

一般社団法人日本 ALS 協会

会長 恩田 聖敬



米国承認の家族性 ALS（筋萎縮性側索硬化症）治療薬トフェルセンの早期承認および 画期的未承認薬超速承認制度創設に向けてのお願い

難病等のドラッグラグ・ドラッグロスの解消にご尽力賜り、こころより感謝申し上げます。

特に今年2月の衆議院予算委員会において、ALS未承認薬「レリブリオ」(2022年9月米国 FDA 承認)の早期承認を事例としてご質問下さったこと、患者家族と支援者等は大変励まされました。また6月には政府の「骨太の方針」(経済財政運営と改革の基本方針)に「創薬力強化にむけて、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品開発強化」などを盛り込んでいただき、「医薬品の迅速・安定供給実現に向けた総合対策に関する有識者検討会」報告書では、「創薬力の強化、ドラッグラグ・ドラッグロスの解消の具体的提案が示され、はなはだ心強く思っております。

当協会では3月に、上野先生を表敬訪問させていただいた後、5月に厚労省医薬品審査管理課と相談し、「レリブリオ」の「医療上の必要性高い未承認薬・適応外薬の検討会議」への要望書を提出しました。

また、6月には、本年4月に米国 FDA で承認された「トフェルセン」(家族性 SOD1-ALS 治療薬 ASO)の国内早期承認の要望書を、厚生労働省と独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)に提出しました。

軌を一にして、日本神経学会、日本神経治療学会からも、「トフェルセン」早期承認の要望書が提出されました。

この9月、「トフェルセン」による一刻も早い治療を切望する患者2名が、高額な自己負担(薬剤費だけで約年間3000万円)をいとわず、それぞれ東京都内、徳島県内で、「トフェルセン」の投与を受けております。国民皆保険制度、指定難病制度が活かさない、未承認薬であるが故の事態が生じております。

つきましては以下のお力添えをお願いいたします。

(1) 米国 FDA 承認薬「トフェルセン」の国内早期承認・早期上市

(2) 上記を突破口に、画期的未承認薬超速承認制度を創設(議員連盟の結成・ご指導)

是非とも、上野先生のご高配・ご教導を賜りますよう、切にお願い致します。

以上