

# SCD・MSA 全国患者 連絡協議会ニュース

No. 4

発行人 脊髄小脳変性症 (SCD)・  
多系統萎縮症 (MSA) 全国  
患者連絡協議会 事務局  
連絡先 東京都豊島区北大塚 2-7-2  
TEL 03-3949-4036  
scdmsa\_renaku\_info@googlegroups.com

連絡協議会は全国各地の患者会とともに治療薬開発や難病制度の改善をめざし、患者会同士の交流や連携をすすめます

## 2月4日、ロバチレリン（新薬）の 早期承認を求めて厚労省に要望

2022年2月4日に、厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課の吉田課長と面談し、要望書と患者の声を手渡しし、回答を得ました。連絡協議会からは25名（会場：3名、Zoom：22名）が参加しました。

また、東京大学大学院医学系研究科分子神経学 特任教授 辻省次先生から医療の専門的な立場から、要望書の補足説明をお願いしました。

### 患者代表が直接厚労省に訴え

はじめに、連絡協議会共同代表、全国SCD・MSA友の会の中村会長からご挨拶、次に各地の患者会の代表6名より、患者当事者のおかれている状況と、新薬早期承認への要望をお伝えしました。

次に辻先生からの要望書説明に対し、吉田課長からご回答いただき、さらに質疑応答が続きました。



厚労省の吉田課長に  
要望書を手渡す中村  
元子共同代表



要請行動に参加された各地の患者会のみなさん  
最下段左から会場に対応した3人と辻省次先生

最後に、連絡協議会共同代表、近畿SCD・MSA友の会の新保会長代理からご挨拶があり、面談を終了しました。

### 当日までの経過

#### 12月に届いた新薬承認申請のニュース

昨年末、2021年12月22日にキッセイ薬品工業株式会社（以下キッセイ薬品）が、脊髄小脳変性症治療薬「ロバチレリン」（一般名、開発番号：KPS-0373）の日本国内における製造販売「承認申請」を行いました。ロバチレリンは、脊髄小脳変性症の運動失調の改善が期待されている進行抑制薬です。新薬は承認申請後、通常では、承認されるまでにおよそ1年かかります

#### 1月11日に厚労省・PMDAに要望書提出

脊髄小脳変性症 (SCD)・多系統萎縮症 (MSA) 全国連絡協議会（以下連絡協議会）は、2022年1月11日に、新医薬品の承認を行う厚生労働省と、承認審査を行うPMDA（医薬品医療機器総合機構）に対しロバチレリンの早期承認を求める要望書を提出しました。

また、全国各地の友の会の方々と協力し、患者・家族の声（要望）をインターネットや郵送・FAXなどで集約。SNSでの呼びかけなどもありたくさんのお声が寄せられました。ご協力ありがとうございました。

## 前回（2020年7月）の厚労省陳情との違い

前回の2020年7月の陳情は、キッセイ薬品は第3相治験を終えて「承認申請」を行う前のPMDAと「相談」中でした。

厚労省からは、二つの各臨床試験結果は、SARA（注）合計スコアの変化量は、プラセボ群（有効成分を含まない偽薬群）と比べて統計学的に有意な改善を認めないとし、さらに併合解析結果を以て承認するのは厳しいという回答を得ました。

SCDをはじめとする神経変性疾患の進行抑制に関する臨床試験では、プラセボ効果が大きく出やすいことが指摘されており、臨床試験が成功しにくい原因の一つとなっています。

このため、キッセイ薬品は、既に実施済みの二つの治験結果全症例のデータを併合した解析を行いました。事後解析ではありますが、より重症度が高い患者層ではSARA合計スコアの変化量において、実薬群はプラセボ群に対して統計学的に有意な改善が認められました。これが併合解析にあたります。

## SARAとは？

神経内科医の先生の診察で、指を追いかけるテストを受けたことがある方も多いと思います。これは指追い試験と言って、運動失調の評価項目の一つです。新薬ロバチレリンの薬の効果は、被験者のSARAスコアの変化量をはかりました。

SARAは、被験者の運動失調症状を、歩行、立位、坐位、言語、指追い試験、鼻-指試験、手の回内・回外運動、踵すね試験の計8項目について、40点満点で評価します。それぞれの項目で、被験者の運動遂行能力に応じたスコアが設定されており、検査時の被験者の状態に応じて点数が付き。点数が高いほど重症であることを示します。合計スコアが15点を超えると介助が必要になり始めると考えられています。

治験は通常3つの段階のテストを実施しますが、ロバチレリンの第3相治験では、SARA15点未満の軽症者を対象にした試験と、15点以上の重症者を対象にした二つの試験が行われました。

## 厚労省回答の歩み寄り

今回の陳情では、併合解析の結果の取り扱い、あるいは、市販後の調査や承認後の検証

### 「患者・家族の声」が大きな力に

厚生労働省への要請行動の最初に、ロバチレリンの早期承認を求めたみなさまから預かった939件の「患者・家族の声」を紙面にして、要望書とともに渡しました。また、6団体の患者会から発言があり、どの発言も身につまされるもので、厚生労働省の担当者は神妙な表情で聞き入っていました。厚生労働省は、ロバチレリンを審査する（独）医薬品医療機器総合機構（PMDA）に私たちの「患者・家族の声」を共有し、伝えるとのことでした。また、私たちがもっとも恐れていた「門前払い」（しばしばあると聞いていました）がなく、PMDAはロバチレリンの審査をしていることがわかりました。

ロバチレリンは、国際的な評価基準である「SARAスコアが平均1強改善します。平均ならば、ある患者では1.5とか、2改善される方もいる。0.5の患者さんもおられるが、2でも改善したらものすごいことです。」との提案に、厚生労働省は、そのご指摘は非常に良いと思う。そこについての審査上の難しさ、工夫するところがある。特定できる方には認めても良いという承認の仕方はあるとの前向きな回答でした。

「患者・家族の声」は大きな力となりました。「連絡協議会」が例年行っています6月の厚生労働省への要望まで募集を続けます。ひとりひとりの声が厚生労働省とPMDAを動かすことになると実感しました。「患者・家族の声」を広げる活動を加速しましょう。私の家族は、子ども、その配偶者、10歳以上の孫を合わせて12人となります。まず、周りから、そして、全てのSCD・MSAの患者・家族に知らせ、「患者・家族の声」を届けましょう。各地の患者会のHPに「患者・家族の声」の入力フォームを掲載する方法は、連絡協議会事務局にご相談ください。さあ、もうひと踏ん張りしてがんばりましょう。

〔連絡協議会〕事務局・幹事 酒井 祥吉

ということも含め、専門家の意見も聞きながら審査をすすめていきたい、という歩み寄りのある回答を厚労省から得ました。

また、私たちの意見や患者・家族の声を確実にPMDAに届け、しっかりと審査するように伝え、厚労省も一緒になって取り組んでいただけるとのことです。

## 質疑応答でふれました

### 「セレジストの供給不足について」

#### (連絡協議会)

ここ最近、私たちにとって必要不可欠なお薬である、セレジストの供給が不安定になっているという状況があります。具体的には、先行薬の田辺三菱製薬のセレジストはあるが、後発薬のジェネリックが不十分で供給されない。

使える薬の数が限られているということ、ロバチレリンが承認されれば、薬の選択肢が増えるため、前向きにご検討いただきたいと思いません。

#### (厚労省 吉田課長 回答)

特定のお薬だけでなく、お薬全体として後発薬の一部が安定供給できていない、若干不安定な状況がありまして、その影響で先発薬の供給も不安定になっているという事情が実はあります。セレジスト、それ以外の医薬品も含めて、

厚生労働省 医政局 経済課というところがあり、医薬品の流通の調整・指導を行い対応させていただいております。セレジストというお薬（の流通）についても大丈夫なのか、ということをお伝えさせていただきます。（了）

#### 広島ひまわりの会からのメールを紹介します

1月11日にひまわり友の会は、新薬早期承認の為に「患者家族の声」アンケート要領を一齐に郵送しました。皆さん、夢にまで待っていたのでしょうか！電話やメール、沢山連絡がありました。

自宅に患者の声をA4びっしり手書きで書かれたアンケートを、届けて下さった方もいます。

スーパーでの買物途中に、発症した時は30代の遺伝性SCDの会員さんから初めて電話がありました。構音障害独特の声で、私は一生懸命、聞きました。立て続けにまた会員さんから電話があり、「もう、あきらめてた！嬉しくて嬉しくて、さっき郵便局行ってアンケート出したよ！」と電話がありました。

その日は雪。寒い中、歩行障害の方が郵便出してくれた。もう～スーパーで涙が止まらなくなって。マスクしてたので、良かったですが。お一人お一人、どんな気持ちでいたのか！どんなに待っていたのか！

ロバチレリン、早期承認されて患者さんの手元に早く届くことを切に願います。厚生労働省とPMDAへの要請、何卒宜しくお願い致します。

## 1/7 連絡協議会幹事会を開催

2022年1月7日、当会の幹事会が加盟団体および未加盟団体からもオブザーバー参加があり、総勢20名によりオンラインで開催されました。

11月の総会の振り返りを行ったのち、役員体制の変更、事務局の役割分担について提案があり、了承されました。

その後、12月22日にキッセイ薬品より国内製造販売承認申請の発表があった「ロバチレリン」の早期承認に向けた厚生労働省への陳情行動の進め方、要望書の内容、スケジュールなどについて提案されました。加えて、要望書に合わせて提出する「患者・家族の声」のとりまとめ についても議論が行わ

れ、連絡協議会への加盟の有無にかかわらず、全ての患者会に取りまとめをお願いしていくことで一致しました。

#### 次回幹事会の日程と開催方法

開催日時：2022年2月20日（日）20:00～21:30

開催方法：オンライン（ZOOM）

議題予定：①ロバチレリンの厚労省への要請模様

②6月の厚労省への要請に向けて、他

#### 「連絡協議会」へのご寄付のお願い

「連絡協議会」の会費は、各地患者会の財政負担にならないように会員数×100円（年間）としています。厳しい財政状況のため、活動内容にご賛同いただきましたら、是非、下記口座にご寄付をお願いいたします。

口座名：SCD MSA センソカガツヤシカキヨウカ  
口座番号：みずほ銀行 大塚支店（193）  
普通口座 2350331



## 厚労省・運動失調症研究班の研究報告会に参加して

2022年1月6日、SCDやMSAの治療法を研究している医師、研究者の合同報告会が開催されました。厚労省の難治性疾患対策として全国の20を超える主に大学病院、国立病院の神経内科の先生たちが、それぞれのテーマについて1年間の成果を発表し、議論する場となっています。

7年ほど前から主催者の「患者のみなさんにも聞いていただくことが研究者の励みになる」との意向で、全国SCD・MSA友の会を通じて患者・家族が参加しています。

演題は、以下の分野で各項3～5件の研究発表が行われました。

1. 既存の薬物療法、リハビリテーション療法、進行期治療方法の標準化
2. 早期診断もしくは重症度の判定に資するバイオマーカー研究の推進
3. 発症前診断、早期診断システムの確立
4. 失調全般および疾患毎の症状評価方法の確立
5. 小児例を含めた実態調査 A
6. 小児例を含めた実態調査 B
7. 生体試料研究の基盤整備、既存レジストリの拡充整備

その中で「脊髄小脳変性症の遺伝学的背景と診断までの期間の解析」という発表が目

とまりました。遺伝性小脳失調症（ADCA）と多系統萎縮症（MSA-C）の、発症から診断までの期間を比較したものです。

- ・平均発症年齢 ADCA (50.6 ± 2.30)  
MSA-C (60.9 ± 1.27)
- ・発症から診断までの期間（月数）  
ADCA (64.6 ± 8.43)  
MSA-C (26.6 ± 3.38)
- \*参考 ALS (13.1 ± 6.50)

体の異変に気づいてから確定診断までの期間はALSで1年ちょっと、多系統萎縮症で2年余り、遺伝性の場合には5年以上かかっていることとなります。この違いの原因としては症状の進行速度の差が考えられますが、遺伝性の場合には親や兄弟姉妹を見て「どうせわかっているから」という心理が働いて、確定診断を受けることをためらわせているのではないかと、との議論もありました。

新薬の治験では、特に立位と歩行において症状が比較的軽い患者が対象となります。これからの治験に寄与するために、また早期診断・早期治療のために、患者会としても「異変を感じたらすみやかに専門医に」を啓もうすることが必要だと感じた次第です。

（事務局・松村）

### RANさんの 北から南から

●昨年からの私的な活動ですが、各地の主に地方の友の会事務局のみなさんと「エリアミーティング」という交流会をはじめました。北は北海道、南は九州まで14エリア（北海道・青森・山形・長野・新潟・富山・石川・福井・島根・広島・長崎・熊本・大分・鹿児島など）の交流があります。

●地方会では2・3カ月ごとに一度、全体会では、不定期に全国・東海・近畿の団体をオブザーバーでお招きし、イベントの案内やお知らせのミーティングを開催してお

ります。全国各エリアのイベントや医療講演会、各地の取り組みなど近況報告を聞いていると、創意工夫された体験談もあり大変参考になります。1月22日には地方会の事務局エリアミーティング「新年会」を開催。青森・大柳さんの乾杯の音頭でスタートし、楽しい交流会ができました。

●まだまだオンラインで繋がるエリアは限られており課題は多いものの「患者・家族会のエリアの輪」が少しでも広がっていくことができたらいいなと願っております。この連絡協議会には、加盟・非加盟にかかわらず今後もどうぞよろしくお願い致します。<次号につづく>