

2022年1月11日

厚生労働大臣 後藤 茂之 様
医薬・生活衛生局長 鎌田 光明 様
大臣官房審議官（医薬担当）山本 史 様
独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）
理事長 藤原 康弘 様

ロバチレリンの薬事審査における早期承認に関する要望

脊髄小脳変性症（SCD）・多系統萎縮症（MSA）全国患者連絡協議会
（略称 SCD・MSA連絡協議会）

共同代表

中村 元子 （全国 SCD・MSA 友の会）
松崎 達 （東海 SCD 友の会）
新保 健次 （近畿 SCD・MSA 友の会）



平素より、脊髄小脳変性症（SCD）・多系統萎縮症（MSA）の患者 家族への様々なご尽力を賜り、心より御礼申し上げます。

私たち患者、家族の願いは、一日も早い原因の究明と治療薬の開発であり、かねてより陳情・要望書を通じて、SCD・MSA に対する新薬の早期審査・承認を要望して参りました。

この度、キッセイ薬品工業株式会社は、2021年12月22日に、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。

SCD・MSA の治療薬としては根治薬は無く、現在、進行抑制剤としてヒルトニンとセレジストのみが認可されていますが、この薬剤は病態が早期な患者に対して進行の抑制が効く傾向があります。

キッセイ薬品工業株式会社が開発を進めている「ロバチレリン（KPS-0373）」は、病態が進み「重症度が高い患者層」に効果がある治験結果が出ています。患者が病気と闘うためには、進行を抑制するための薬が必要です。「ロバチレリン（KPS-0373）」について一日も早い保険薬適用に向け、早期審査・承認を進めていただくよう要望いたします。

有効な治療薬の早期審査・承認は国内約4万人の脊髄小脳変性症（SCD）・多系統萎縮症（MSA）患者の切なる願いであり、ご高配を賜りますようお願い申し上げます。

以上

【説明資料】

1. 脊髄小脳変性症（SCD）・多系統萎縮症（MSA）の疾患と治療薬の現状

脊髄小脳変性症（SCD）・多系統萎縮症（MSA）は、難病の中でも症状が進行性であり、MSAでは発症後3年で介助歩行、5年で車椅子移動、8年で日常生活の活動が重度に障害されるといわれています。（脊髄小脳変性症・多系統萎縮症診療ガイドライン）

SCD・MSAには根本的な治療薬が存在していません。進行抑制剤としてヒルトニンとセレジストのみが認可されています。35年前の1985年に武田薬品工業株式会社からヒルトニンが、22年前の2000年に田辺三菱製薬株式会社からセレジストが発売されました。以降の創薬は存在していません。22年ぶりの新薬ロバチレリンは、症状の進行を抑制し、介助が必要となる時期を遅らせる可能性があり、SCD・MSAの患者にとっても家族にとっても大きな希望となります。

2. 「ロバチレリン（KPS-0373）」は、治験第3相の結果、2つの治験の併合解析ではこの分野の治験薬で世界で初めて有意差を認め、この結果は2020年1月、英国の著名な医学誌に掲載されました。これに基づいて日本神経学会、および厚生労働省運動失調症調査研究班の先生方からもさまざまなご意見を頂いてきました。以下の記載は、患者・家族の実態です。是非とも、今置かれている現状をご理解頂き、一日も早く治療薬として承認を頂きますようお願い申し上げます。

① SARAの1点の変化には大きな意味があります。

SCD・MSAは、病気の進行に伴い、徐々に自立が難しくなり、日常生活での介助が必要となります。患者の多くは、進行を抑制するために、対症療法としてリハビリテーションを最も重視しています。ロバチレリンの服用でSARAの評価が1点強改善されるということは、リハビリテーションに取り組む患者にとって大きな励みにもなります。

ちなみにSARAの合計スコアは、私たち小脳失調症患者のSCA6型では1年間で平均1.33点、同様にSCA3I型では平均1.20点それぞれ悪化するといわれています。私たちの疾患は、1年間でSARAの合計スコアが約1点悪化する緩徐進行性の神経変性疾患なのです。ロバチレリンによって介助が必要となる時期を先送りできるのであれば、SARAの1点の変化は、私たち患者・家族や周囲の人にとって大きな意味があります。

② SARAによる評価で初めて改善を示しました。

今回の臨床試験では、運動失調の評価スケールとして国際的に確立されているSARAを用いた大規模臨床試験を実施しています。併合解析によって世界で初めてSARAによる評価で改善を証明しました。ぜひ、この臨床的意義に注目し、評価して頂きたいと思います。

③ 併合解析に対する考え方を見直してください。

KPS130I試験の結果を踏まえて実施されたKPS1305の試験では、ロバチレリン群でより大きな改善が認められています。また、2つの試験を併せた解析によると、SARAの合計スコアの変化量には有意の改善があり、重症度の高い患者においてはさらに明らかな効果が認められたとのことです。是非とも一次エンドポイントが未達成である、あるいは事後の併合解析は認められないという立場ではなく、臨床試験の実態を鑑みてください。

SCD・MSA全国患者連絡協議会として要望致します。宜しくお願い致します。

以上