

令和3年10月26日

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
理事長 藤原 康弘 様

一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会
代表理事 貝谷 久宣



筋ジストロフィー治療薬に関する要望書

令和元年10月、貴機構の丁寧で迅速な審査による安全性・有効性の確定がなされ、デュシェンヌ型筋ジストロフィー遺伝子エクソン53スキッピング薬ビルトラセンが承認されました。患者の長年の夢であった、この日本で初のデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬の出現は、私ども患者・家族にとってはこの上ない喜びであります。

現在、これに続きデュシェンヌ型筋ジストロフィー遺伝子エクソン45スキッピング薬DS-5141bが審査されていると伝え聞いています。私どもはこの薬の安全性・有効性が確定され、「一日も早く」使用可能となることを心から願っている次第であります。この薬が世に出てさらにまた数百名の患者にあらたな光明が与えられることを念じております。

前回の面会でお願いしましたウェアラブル機器を使用した治験の進行に関しては、現在、20g足らずの持続型ホルダー心電計を用いた基礎研究を4施設で始めていただいたところであります。バーチャル治験に関してのご推進・ご指導についてもどうぞよろしくお願い申し上げます。

結びとして、貴機構の益々のご発展をお祈りし、今後とも日本筋ジストロフィー協会の更なるご指導を心からお願い申し上げます。