

No.22-40

2022年5月27日
エーザイ株式会社

メコバラミンの高用量製剤が日本において筋萎縮性側索硬化症（ALS）の病態及び機能障害の進行抑制を予定される効能又は効果として、厚生労働省より希少疾病用医薬品に指定

エーザイ株式会社（本社：東京都、代表執行役 CEO：内藤晴夫）は、このたび、メコバラミンの高用量製剤について、筋萎縮性側索硬化症（Amyotrophic Lateral Sclerosis: ALS）の病態及び機能障害の進行抑制を予定される効能又は効果として、厚生労働省より希少疾病用医薬品に指定されたことをお知らせします。

ALS は、進行性の難治性神経変性疾患で、アンメット・メディカル・ニーズが極めて高い難病です。日本における ALS 患者様数は約 1 万人と推定されています。

高用量メコバラミンについては、国立大学法人徳島大学（以下、徳島大学）の梶龍児特命教授（主任研究者）、徳島大学大学院医歯薬学研究部臨床神経科学分野 和泉唯信教授（治験調整医師）らが主導した発症早期の ALS 患者様に対する高用量メコバラミンの有効性、安全性の検証を目的とした「高用量メチルコバラミン（メコバラミン）の筋萎縮性側索硬化症に対する第 III 相試験-医師主導治験-」（The Japan Early-Stage Trial of Ultrahigh-Dose Methylcobalamin for ALS: 以下、JETALS）において良好な臨床試験結果が得られました。本試験結果を受けて、当社は日本における ALS に対する新薬承認申請に向けた作業を開始し、2023 年度中の新薬承認申請を予定しています。

当社は、神経領域を重点疾患領域と位置づけており、新たな薬剤の開発に注力しています。神経領域におけるアンメット・メディカル・ニーズの充足と患者様とそのご家族のベネフィット向上により一層貢献してまいります。

以上

参考資料

1. 筋萎縮性側索硬化症（ALS）について

筋萎縮性側索硬化症（Amyotrophic Lateral Sclerosis: ALS）は、運動ニューロンの障害により重篤な筋肉の萎縮と筋力低下をきたす進行性の難治性神経変性疾患です。呼吸筋の麻痺による呼吸不全が主たる死亡原因であり、人工呼吸器を装着しなければ発症後約3～6年以内に死に至る疾患で、患者様数は10,514人です（ALSの令和2年度特定医療費（指定難病）受給者証所持者数）。現在、ALSの確立された根治療法はなく、国内外で承認されている薬剤は限られており、アンメット・メディカル・ニーズが極めて高い難病です。

2. メコバラミンについて

メコバラミン（一般名、開発品コード：E0302）は、「メチコバル®注射液 500 μ g」として末梢性神経障害およびビタミン B12 欠乏による巨赤芽球性貧血の適応で承認・販売されています。また、「メチコバル錠 250 μ g」、「メチコバル錠 500 μ g」、「メチコバル細粒 0.1%」が末梢性神経障害の適応を有しています。メコバラミンの ALS の病態における作用機序については解明されていませんが、非臨床研究の結果から、神経保護作用、神経軸索再生作用により有効性を示す可能性が示唆されています。1990 年代より厚生科学研究費補助金特定疾患対策研究事業の神経変性疾患に関する研究班において、ALS に対する高用量メコバラミンの臨床研究が実施されました。メチコバルとしての承認用量の 50 倍～100 倍量である 1 回 25mg～50mg のメコバラミンの筋肉内投与による短期および長期試験において、高用量メコバラミンが ALS に対して臨床効果を示す可能性が示唆され、当社は 2006 年より臨床第Ⅱ／Ⅲ相試験（761 試験）を実施し、2015 年 5 月に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に新薬承認申請を行いました。追加試験が必要との判断により、2016 年 3 月に新薬承認申請を取り下げました。