

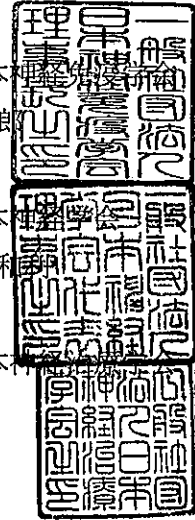
令和 5 年 3 月 27 日

厚生労働大臣
加藤 勝信 殿

一般社団法人 日本神経学会
理事長 中島 一郎

一般社団法人 日本神経学会
代表理事 西山 利雄

一般社団法人 日本神経学会
理事長 桑原 聡



ジルコプランナトリウム 1 日 1 回皮下投与製剤の早期承認及び在宅自己注射保険適用に関する要望書

拝啓

平素は学会の活動に格別のご理解ご高配を賜り、厚くお礼申し上げます。

重症筋無力症は指定難病に認定されており、患者の社会生活や労働生産性に影響を及ぼし、患者の生活の質（QOL）は著しく損なわれています。重症筋無力症患者の長期的寛解はまれであり、症状の改善レベルや health-related quality of life(QOL)は現在でも多くの場合、不十分であり、失職や収入減少など社会的不利益を経験する患者も少なくありません。

現在承認申請中のジルコプランナトリウムは、終末補体活性化経路の構成要素である補体第 5 成分（C5）を標的としており、下流での膜侵襲複合体（Membrane-Attack Complex: MAC）の形成を抑制し神経筋終板での細胞溶解活性を防ぐことで抗アセチルコリン受容体抗体陽性の全身型重症筋無力症（gMG）に対する有効性が期待できます。また、日本人患者も参加した RAISE 試験および RAISE-XT 試験においても gMG 症状の改善効果が得られております。

重症筋無力症の症状は変動を伴い、予測が難しく、著しく体力を消耗させる疾患のため、通院や入院による治療自体が、身体的負担、経済的負担、時間的損失（通院や待ち時間等）となっているケースも少なくありません。現状、分子標的薬静脈内投与、免疫グロブリン療

法、血漿浄化療法等は治療施設が限定されており、投与可能な施設から遠方に居住している場合には頻回の医療機関への通院は大きな負担となります。本剤は皮下注射製剤であり、入院や頻回な通院などの患者の負担軽減につながることを期待されています。

一方で本剤での報告はいまだないものの終末補体活性化経路の構成要素である C5 を標的としている製剤であることから、髄膜炎菌に感染する潜在的风险があります。

これらの患者に対し治療開始前の髄膜炎菌ワクチン接種の確認、本剤治療の同意説明確認書および医師に対する適正使用情報受領確認書等の安全性確保対策を予定しています。また、本剤の在宅自己注射について患者に十分な教育・指導を行います。

以上に鑑み、日本神経免疫学会及び日本神経学会、日本神経治療学会は、全身型重症筋無力症患者の治療選択肢を広げ、社会活動に対する制限を除き、患者の生活の質（QOL）向上を高めるために、本剤の早期承認および在宅自己注射指導管理料の適用を強く要望いたします。何卒よろしくお願い申し上げます。

敬具