

医薬審発 1030 第 6 号
医機審発 1030 第 2 号
医安発 1030 第 1 号
令和 5 年 10 月 30 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

厚生労働省医薬局医薬安全対策課長
（ 公 印 省 略 ）

脊髄性筋萎縮症の診断基準の改訂に伴う効能又は効果等の取扱いに
ついて

脊髄性筋萎縮症の診断基準については、従来、臨床所見が認められた場合のみが対象とされていましたが、「指定難病に係る診断基準及び重症度分類等について」の一部改正について」（令和 5 年 10 月 30 日付け健生発 1030 第 1 号厚生労働省健康・生活衛生局長通知）により改訂され（以下「本改訂」という。）、遺伝学的検査により特定の遺伝子変異が認められ、発症が予測されるものも含まれることとなりました。

これを踏まえ、脊髄性筋萎縮症に関する医薬品及び再生医療等製品（以下「医薬品等」という。）の「効能又は効果」及び「効能、効果又は性能」（以下「効能又は効果等」という。）については、下記のとおり取り扱うこととし、令和 6 年 4 月 1 日から適用することとしましたので、貴管内関係業者等に対し周知方御配慮願います。

なお、本通知の写しについて、別記の団体等宛てに連絡するので、念のため申し添えます。

記

- 1 本改訂により、脊髄性筋萎縮症に係る医薬品等の投与対象として薬事承認を受

けた範囲が変更されるものではないこと。

- 2 本改訂を踏まえ、脊髄性筋萎縮症に関して承認を受け、診断基準に従来から記載されているヌシネルセンナトリウム、オナセムノゲン アベパルボベク及びリスジプラムの効能又は効果等については、下表のとおり改めることが適切である。なお、この変更に係る承認事項の変更については、軽微変更届出により行うことで差し支えない。

また、本改訂により、ヌシネルセンナトリウム、オナセムノゲン アベパルボベク及びリスジプラムの投与対象として薬事承認を受けた範囲が変更されたとの誤解が医療現場等において生じないよう、電子化された添付文書、情報提供資料等の記載を速やかに整備することが望ましい。

	現在の効能又は効果等	変更後の効能又は効果等
ヌシネルセンナトリウム	脊髄性筋萎縮症、臨床所見は発現していないが遺伝子検査により発症が予測される脊髄性筋萎縮症	脊髄性筋萎縮症
オナセムノゲン アベパルボベク	脊髄性筋萎縮症（臨床所見は発現していないが、遺伝子検査により脊髄性筋萎縮症の発症が予測されるものも含む）ただし、抗 AAV9 抗体が陰性の患者に限る	脊髄性筋萎縮症 ただし、抗 AAV9 抗体が陰性の患者に限る
リスジプラム	脊髄性筋萎縮症	脊髄性筋萎縮症（遺伝子検査により発症が予測されるものを除く）

別記

日本製薬団体連合会
日本製薬工業協会
米国研究製薬工業協会在日執行委員会
一般社団法人欧州製薬団体連合会
一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム
公益社団法人日本医師会
公益社団法人日本薬剤師会
一般社団法人日本神経学会
一般社団法人日本神経治療学会
一般社団法人日本小児神経学会
独立行政法人医薬品医療機器総合機構
各地方厚生局