

第5回患者申出療養評価会議(平成29年4月13日)における患者申出療養の科学的評価結果

整理番号	技術名	適応症等	受理日並びに告示日	医薬品・医療機器等情報	臨床研究中核病院	保険給付されない費用※1※2 (「患者申出療養に係る費用」)	保険給付される費用※2 (「保険外併用療養費に係る保険者負担」)	保険外併用療養費分に係る一部負担金	総評	その他(事務的対応等)
003	難治性天疱瘡患者に対するリツキシマブ治療	難治性天疱瘡	受理日 H29.3.21 告示日 H29.5.2	・リツキシマブ (全薬工業株式会社)	慶應義塾 大学病院	145万6千円 (補助金負担分が23万2千円、企業負担が82万円であり、患者負担は40万5千円)	9万3千円	4万円	適	別紙資料1
004	チオテパを用いた自家末梢血幹細胞移植療法	再発または難治性の髄芽腫、PNET(原始神経外胚葉性腫瘍)、ATRT(非定型奇形腫瘍/ラブドイド腫瘍)	受理日 H29.3.21 告示日 H29.5.2	・Tepadina (Adienne Pharma & Biotech(スイス)) ・カルボプラチン点滴静注液「NK」 (マイラン製薬株式会社) ・エトポシド点滴静注液「サンド」 (サンド株式会社)	名古屋大学医学部 附属病院	73万1千円 (薬剤費用は企業負担であり上記金額には含まない)	793万3千円	197万6千円	適	別紙資料2

※1 医療機関は患者に自己負担額を求めることができる。

※2 典型的な1症例に要する費用として申請医療機関が記載した額。

平成 29 年 5 月 17 日

「難治性天疱瘡患者に対するリツキシマブ治療（整理番号003）」の
患者申出療養評価会議における評価結果の概要について

1. 患者申出療養の概要

患者申出療養の名称：難治性天疱瘡患者に対するリツキシマブ治療

適応症：難治性天疱瘡

内容：

（概要）

現時点で天疱瘡に投与できる薬剤や治療法は保険収載されているものは少なく、実臨床で用いられている免疫抑制剤に関しても保険収載されていない。そのような現状において、それらの治療を行ってもなお治療抵抗性の患者に対して本邦では現時点では対応策がなく、長期間に及ぶ高用量のステロイド内服を余儀なくされている。そのような患者に対して、海外では追加治療の第一選択薬としてリツキシマブが使用されており、その有効性と安全性が報告されている。

本邦では 2016 年から医師主導治験が行われておりリツキシマブの保険収載を目指しているが、より多くの患者にリツキシマブ治療を提供し安全性と有効性について検討を行い保険収載の際の参考データとして提供する。また本試験及び医師主導治験でのリツキシマブの用法・用量（1000mg/body × 2 回/月）は、日本では未承認であり、安全性情報の集積が必要である。かつその安全情報収集が医薬品医療機器総合機構からも求められている。

本試験は、オープンラベルシングルアームとして実施される。治療として、ステロイド治療抵抗性の天疱瘡患者に対して、ステロイドや他の併用療法を継続した状態でリツキシマブ 1,000 mg/body を 2 週間隔で 2 回（0 週目：Day0、2 週目：Day14）点滴静脈内投与を行う。その後、外来治療を継続（PSL および併用薬については症状に応じ、医師の判断で漸減可能）する。

Day168 もしくは中止時まで、有害事象及び有効性について観察する。

（効果）

疾患活動性の軽減と PSL 量の減量が可能になることが期待される。

本研究の主要評価項目は安全性であり、現在実施中の医師主導治験が薬事承認申請を行う際の参考データとして使用できる予定。

