

## 第 17 回高度医療評価会議（5 月 28 日）意見書

（高度な医療技術に素人がコメントすることには抵抗がありますが）

### ○脂肪萎縮症に対するレプチン補充療法

患者視点からは、本件は超希少疾患への先進性のある新しい治療で、安全性、品質にも問題はなさそうであり、また費用負担も軽く、患者にとっては光明です。ただ米国でも治験段階であり、有効性評価は更なる症例の積み重ね、フォローアップが不可欠です。症例も乏しく、治験等薬事法に基づく申請はエコノミックスとしてもハードルが高く、本制度の趣旨に適った申請と考えます。

### ○転移・再発した腎細胞がんに対する免疫療法

標準治療が乏しい転移・再発腎がん患者にとっては微かな希望が持てる治療と云えますが、症例が少なく評価は容易でないと思われます。臨床実験中の欧州諸国との比較では日本の本治療がリンパ球活性化の点で優れているようで、本制度で症例を重ね、欧米に先行する治療法になる可能性があるように思われます。

ただ私自身、24 年前大腸がんの肝転移が確認された時、自己リンパ球を取り出し、インターロイキン 2 で活性化させ、再び体内に戻す LAK 療法を試みましたが、後年全く効果なしと判明した体験があります。本件は当時のものとは格段に進歩し、プロセスも違っているはずですが、この種の治療の性格上転移・再発の腎がん本当に効果があるのか未知数です。安全性には余り問題ないと思われますが、患者負担が重いだけに患者に対する正確な説明と納得が特に重要と考えます。

高度医療評価会議  
構成員 関原健夫