

様式第 5 号

先進医療の内容 (概要)

先進医療の名称：難治性頻回再発型／ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するミコフェノール酸モフェチル経口投与
適応症：難治性頻回再発型／ステロイド依存性ネフローゼ症候群
内容： (先進性) ミコフェノール酸モフェチル (MMF) は、腎臓移植後の免疫抑制薬として承認されているお薬です。MMF は、国内外でネフローゼ症候群の治療薬としては承認されていませんが、海外のガイドラインでは、頻回再発型／ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対する免疫抑制薬の 1 つとして推奨されています。リツキシマブを点滴注射した後に MMF を飲んだ患者は、リツキシマブの点滴注射だけをうけた患者よりも、寛解を長く維持できたこと、重大な副作用 (体に悪い作用) がおこらなかったことが報告されています。リツキシマブを点滴注射した後に MMF を飲むことで、寛解を長く維持できるのではと考えています。 (概要) 小児期発症難治性頻回再発型/ステロイド依存性ネフローゼ症候群の患者を対象としたミコフェノール酸モフェチル (MMF) の臨床試験です。リツキシマブを点滴注射した後に MMF をのむ場合に、プラセボ (お薬としての効果はありません) を飲む場合と比べて、寛解を維持する効果 (再発を抑制する効果) が高くなるか、安全に使えるかを評価します。 この試験では、リツキシマブを点滴注射した後、ミコフェノール酸モフェチルかプラセボ (お薬としての効果はありません) のどちらかを飲んで頂きます。ミコフェノール酸モフェチルを飲む確率は 50% です。どちらを飲んでいるかは、あなたや担当医師、関係者にもわからないようにしてあり、試験全体が終了するまでお知らせすることができません。 この試験では効果と安全性を確認するため、決められた時期に来院して診察や検査を受けて頂きます。 ・この試験で行う治療 ① リツキシマブの点滴注射 リツキシマブ 375mg/m²/回 (最大量 500mg/回) を 1 日 1 回、約 4 時間かけて点滴注射します。これを 1 週間間隔で 4 回繰り返します。 1 回目の点滴注射は入院して行います。点滴注射は、遅い速度からはじめて、状態を観察しながら、少しずつ点滴速度を速くしていきます。1 回目の点滴注射時に副作用 (薬による好ましくない作用) がみられなかった場合 (もしくは軽度の場合)、2 回目以降は外来で行うことができます。 ② ミコフェノール酸モフェチルもしくはプラセボ ミコフェノール酸モフェチルもしくはプラセボは、リツキシマブの点滴注射後の決められた時期に

様式第 5 号

開始します。毎日、1,000～1,200 mg/m²/日（最大量 2g/日）1 日 2 回（食後）17 ヶ月間飲んでいただきます。病気の状態や副作用の出かたにより飲む量を調整することがあります。

（効果）

小児期発症の難治性頻回再発型／ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対する、寛解を維持する効果（再発を抑制する効果）が期待されます。

（先進医療にかかる費用）

総費用は、1,867,460円です。

先進医療にかかる費用は 794,700 円です。このうち、患者負担分は 46,400 円、施設負担分は 10 円、企業負担分は 748,290 円です。

ミコフェノール酸モフェチルは中外製薬株式会社より無償提供され、プラセボは本試験の研究資金で購入したものが被験者に提供されます。その他の治療費と検査費はすべて患者の保険及び自己負担によって支払われます。

様式第 3 号

先進医療の実施計画

1. 先進医療技術の名称

難治性頻回再発型/ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するミコフェノール酸モフェチル経口投与

2-1. 使用する医薬品又は医療機器について

①使用する医療機器（未承認又は適応外のものから記載すること。）

医療機器名	製造販売業者名及び連絡先	型式	薬事法承認又は認証番号（16桁）	薬事法承認又は認証上の適応（注1）	薬事法上の適応外使用の該当（注2）

②使用する医療材料（ディスポーザブル）及び医薬品

（未承認又は適応外のものから記載すること。）

品目名	製造販売業者名及び連絡先	規格	薬事法承認又は認証番号（16桁）	薬事法承認又は認証上の適応（注1）	薬事法上の適応外使用の該当（注2）
セルセプトカプセル 250	中外製薬株式会社 〒103-8324 東京都中央区日本橋室町 2-1-1 (TEL: 03-3273-1261)	250mg カプセル	21100AMY00240000	○腎移植後の難治性拒絶反応の治療 (既存の治療薬が無効又は副作用等のため投与できず、難治性拒絶反応と診断された場合) ○下記の臓器移植における拒絶反応の抑制 腎移植、心移植、肝移植、肺移植、脾移植	適応外

③医療機器、医療材料又は医薬品が薬事法上の適応外使用に該当する場合の薬事法承認一部変更申請状況

医療機器名又は品目名	薬事法承認一部変更申請状況
セルセプトカプセル 250	現在のところ当該適応症に対する薬事申請予定はない。

④医療機器、医療材料又は医薬品が薬事法上の未承認又は適応外使用に該当する場合の使用等方法等

小児期発症難治性頻回再発型／ステロイド依存性ネフローゼ症候群患者に対し、寛解維持のため、リツキシマブ 375 mg/m²/回（最大量 500 mg/回）を1週間間隔で計4回点滴静注投与後に、ミコフェノール酸モフェチルを 1,000～1,200 mg/m²/日（最大投与量 2 g/日）、分2食後経口投与を17ヶ月間行う。

⑤未承認又は適応外の場合は、□にレと記載する。

☒	当該医薬品・医療機器について、薬事承認の申請時及び取得時において、申請企業から情報提供がなされることとなっている。
-------------------------------------	---

注1）薬事法承認又は認証上の使用目的、効能及び効果を記入すること。

注2）薬事法において適応外使用に該当する場合は「適応外」、薬事法で承認された適応の範囲内の使用の場合は「適応内」と記載すること。

2－2．海外での承認に関する情報

・ミコフェノール酸モフェチル

米国での薬事承認の状況

1995 年承認

現在の適応症：同種腎、心または肝移植患者における移植片拒絶反応の抑制

欧州での薬事承認の状況

1996 年承認

現在の適応症：同種腎、心または肝移植を受けた患者における急性拒絶反応の抑制