

様式第 5 号

先進医療の内容 (概要)

先進医療の名称：難治性高コレステロール血症に随伴して重度尿蛋白を呈する糖尿病性腎症に対する LDL アフェレシス療法
適 応 症：難治性高コレステロール血症に随伴して重度尿蛋白を呈する糖尿病性腎症
内容： (先進性) 糖尿病性腎症は本邦における新規血液透析療法導入の第一位の原因疾患であることから、患者 QOL の向上に加え医療経済への影響軽減の観点から、腎および生命予後の改善は医学的・社会的に喫緊の課題である。とりわけ、重度尿蛋白を伴うネフローゼ状態の持続は早期に腎機能を低下させ、短期間に末期腎不全に至るリスクを高めることが知られている。しかしながら、第一選択薬のステロイド剤は糖尿病性腎症には禁忌であるため炎症に対しては免疫抑制剤等の選択により代替するが、腎負担との兼合いから、病勢コントロールに難渋することが多い。また、重度尿蛋白を伴う糖尿病性腎症では高コレステロール血症の合併が多く認められ、LDL コレステロールは糸球体への脂質沈着による腎障害を引き起こすことから、総合的な治療が重要となる。 かねてより、腎疾患等に対してアフェレシス療法が施行されているが、LDL アフェレシスは難治性高コレステロール血症に対して国内薬事承認を受けており、家族性高コレステロール血症、閉塞性動脈硬化症、巣状糸球体硬化症に保険適用がある。同様に、重度尿蛋白を伴う糖尿病性腎症治療に係る実績並びに臨床研究報告もあり、LDL コレステロールの低下に加え血清クレアチニンやアルブミン等の改善並びに尿中蛋白やポドサイトの低下、生命・腎予後の改善（2 年間の生命・腎機能維持率 95%）が確認されていることから、有望な治療法として期待されている。 (概要) 本件は、重度尿蛋白（3 g/day 以上、又は尿蛋白/尿クレアチニン 3 g/gCr 以上）を伴い血清クレアチニンが 2 mg/dL 未満、薬物治療下で血清 LDL-コレステロールが 120 mg/dL 以上である糖尿病性腎症患者を対象として、LDL アフェレシス治療の有効性及び安全性を評価する多施設共同単群試験である。リポソバーを用い、LDL アフェレシスを施行する。原則として、登録後 2 週間以内に LDL アフェレシスを開始し、これまでの報告（添付文献 1 から 3 及び 5）に沿って、6 から 12 回を 12 週間以内に施行する。なお、LDL アフェレシス開始以降の LDL コレステロールや尿蛋白等の低下推移や全身状態の変化等が多様であり、上記のとおりこれまでの報告に沿い 6 から 12 回までで総合的に施行回数を判断するため、被験者毎にその回数が異なる。標準的には、1 回の施行時間を 2～3 時間、血漿処理量を約 3,000 mL（目安：体重 kg あたり血漿処理量 50 mL）、施行間隔を 2～7 日とするが、被験者の体重や状態により調節する。抗凝固薬は、ヘパリンを標準的に使用する。ブラッドアクセスは、直接穿刺又は留置カテーテルにて行う。 (効果) 重度尿蛋白の改善、透析導入の回避・延長等が期待できる。 (先進医療にかかる費用) 1 回施行あたり 149,514 円（10 回施行で 1,495,140 円）

様式第5号

但し、使用する医療機器（1回施行あたり124,300円、10回施行で1,243,000円）や発生する人件費（1回施行あたり24,000円、10回施行で240,000円）は企業より無償提供等されるため、患者負担はLDLアフェレシス時に使用する抗凝固薬や液剤等の実費（1,214円、10回施行で12,140円）となる。

先進医療の実施計画

1. 先進医療技術の名称

難治性高コレステロール血症に随伴して重度尿蛋白を呈する糖尿病性腎症に対する LDL アフ
ェレシス療法

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。）

：医療材料（ディスプレイ）以外の医療機器は使用しない。

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(ディスプレイ)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)
リポソーパー LA-15 / LA-S	株 式 会 社 カネカ		16200BZZ01995000 /16100BZZ00108000	難 治 性 高 コ レ ス テ ロール血症	適応内
サルフラッ クス FP	旭 化 成 メ ディカル 株式会社		16300BZZ00991A01	血 漿 交 換 療 法 に お いて血液中から血 漿を分離する	適応内
血 漿 交 換 療 法用回路	日 機 装 株 式会社		21500BZY00191000	血液および血漿浄 化療法	適応内

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

：薬事法上の未承認又は適応外の医療機器、医療材料又は医薬品は使用しない。

医療機器名又は品目名	薬事法承認一部変更申請状況

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
方法等

：薬事法上の未承認又は適応外の医療機器、医療材料又は医薬品は使用しない。

--

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

米国での薬事承認の状況

：家族性高コレステロール血症（1996 年 2 月承認）

巣状糸球体硬化症（小児、2013 年 10 月承認）

欧州での薬事承認の状況

：家族性高コレステロール血症（1996 年 2 月承認）