

令和 6 年 1 1 月 2 2 日

厚生労働大臣  
福岡 資麿 殿

一般社団法人 日本血液学会  
理事長 高折 晃史

一般社団法人 日本小児血液・がん学会  
理事長 米田 光宏

### クロバリマブ製剤の在宅自己注射指導管理料算定対象薬剤への追加に関する要望書

拝啓 時下ますますご清栄のこととお慶び申し上げます。平素は当学会の活動に格別のご高配を賜り、厚く御礼申し上げます。

発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）は、補体介在性の血管内・血管内外溶血と血栓症を特徴とし、生命を脅かす可能性のある、稀で慢性かつ後天性の血液疾患であり、指定難病に指定されていません。

PNH を適応症として 2024 年 3 月 26 日に国内製造販売承認されたクロバリマブ製剤（以下、本剤）は、補体第 5 成分（C5）に結合し、C5 が C5a と C5b に開裂する反応を阻害し、終末補体複合体 C5b9（膜侵襲複合体：membrane attack complex；MAC）の生成が阻止されることにより、PNH 患者における補体介在性の血管内溶血を抑制する作用を有しており、治療選択肢の 1 つとされています。本剤は 2024 年 2 月に中国、6 月に米国、8 月に欧州で承認され、欧州では長期の治療継続が必要となる薬剤であることから、自己注射が認められています。

本剤の国際共同第Ⅲ相臨床試験（本邦からも参加）では、小児を含む PNH と診断された患者に対し、患者又は介護者が本剤の皮下投与についてトレーニングを受け、治験担当医師が自己投与可能と判断した場合、本剤の投与開始後 9 週目から自己投与がなされていました。当該試験では、本剤の使用を妨げるような安全性上の問題は認められませんでした。

一般的な在宅自己投与の課題として、薬剤調製・投与手技の不備や投与の失念等が考えられますが、本剤の国際共同第Ⅲ相臨床試験においては、治験依頼企業が本剤（バイアル製剤）の薬剤調製及び皮下投与に関する手順書を提供し、自己投与開始前の医療関係者による適切なトレーニングと治験担当医師による習熟度確認を実施し、さらに、アドヒアランス確保を目的としたダイアリーを提供したことによって、上述のとおり投与量の変更や投与の失念等の投薬過誤は発生しませんでした。したがって、本剤の製造販売業者は患者の安全性確保を最大限に高めるべく、本剤が今後在宅自己投与を許可された場合においても、各患者の在宅自己投与実施前には医療従事者によるトレーニングを確実にする手順書やダイアリーを提供する予定です。

臨床試験の実施状況も踏まえ、また、頻回の通院に伴う患者の身体的、時間的負担の軽減を考慮すると、本剤の在宅自己注射が可能となる必要があると考えます。

クロバリマブ製剤の在宅自己注射が認められた場合には、日本血液学会及び日本小児血液・がん学会からも適切な情報を発信し、安全な診療のための啓発活動を継続していく予定です。

以上の状況を鑑み、当学会としては、クロバリマブ製剤を「保険医が投与することができる注射薬」及び「在宅自己注射指導管理料の対象薬剤」に追加することを要望いたします。

12/24/1