

条件及び期限付き承認された再生医療等製品に対する対応

条件及び期限付き承認された再生医療等製品（エレビジス）に対する対応

前回の中医協総会（令和 7 年 6 月 1 8 日）でお示した事項

- エレビジス点滴静注（以下、本品）は重篤な疾患に用いられる再生医療等製品として 5 月 13 日に条件及び期限付き承認されたが、6 月 16 日に本品の開発会社（ロシュ社）が以下の新たな安全性情報に関する発表をした。
 - ・ 歩行不能な患者で致死的な経過を辿った急性肝不全の報告。
 - ・ これにより国内で実施中の歩行不能な患者を対象とした臨床試験も投与を中断すること。
 - ・ （承認されている）歩行可能な患者における本品のベネフィット・リスクプロファイルに変更はないこと。
- 上記の情報についての評価は現時点で明らかでないことから、まずは、新たな安全性情報に関して更なる情報を収集した上で、医療保険上の取扱いについて議論することとしてはどうか。

条件及び期限付き承認された再生医療等製品（エレビジス）に対する対応

前回の中医協総会（令和7年6月18日）でいただいた主なご意見

- 本品を承認した制度は、有効性は推定であるものの、安全性を認める場合に早期に条件付きで承認を与えるもの。
- 本制度の大前提となる安全性が揺らいでいることから、承認された使用方法や対象患者の設定なども含め、薬事で専門的に再検討していただくことも含め、厚生労働省としてしっかり情報収集、整理した上で、丁寧で慎重な検討が必要。
- 保険給付をする限りは、最低限、安全性の担保は不可欠であり、メーカーと厚労省におかれては、速やかに安全性の確認をお願いしたい。

エレビス点滴静注の安全性について（総－１－２）

急性肝不全関連事象に係る対応について

<対応の概要>

- 中外製薬が本年６月に発生した急性肝不全関連事象への対応について厚生労働省及びPMDAに相談。
- 報告症例に基づき、PMDAにおいて安全対策を検討、専門家の意見聴取（専門協議）を実施。



「使用上の注意」の改訂について」（令和７年８月２８日付け医薬安発０８２８第１号）を発出。

以下のとおり、添付文書の改訂を指示。

<添付文書改定（案）の概要>

1. 「８. 重要な基本的注意」の項における肝機能検査に関する注意喚起に、急性肝不全に関連する検査項目及び画像検査を行うこと、及び異常が認められた場合には投与の延期等の適切な対応を行うことを追記。
2. 「８. 重要な基本的注意」の項に、副腎皮質ステロイドの投与による感染症に関する注意喚起を追記し、感染症を合併している患者に対する注意喚起を「９. 特定の背景を有する患者に関する注意」の「９.１ 合併症・既往歴等のある患者」の項に移行。
3. 「１１.１ 重大な副作用」の「１１.１.２ 肝機能障害」の項に「急性肝不全」を追記し、歩行不能患者への本品投与後に死亡に至った症例が海外で報告されている旨を追記。

エレブジス点滴静注の医療保険上の取り扱いと今後の進め方（案）

医療保険上の取り扱いと今後の進め方（案）

- 本年6月に報告された本品の急性肝不全関連事象については、本年8月末に添付文書の「使用上の注意」の改訂を行い、同事象に係る注意喚起を行った。
- 本品の医療保険上の取り扱いについて、本年5月14日の中医協で示された課題に沿って、引き続き議論を進めていくこととしてはどうか。

（参考）中医協総会（令和7年5月14日）で示された課題

- 患者に新しい治療の選択肢をなるべく早く届けるという、条件及び期限付き承認制度の意義を否定しない。
一方で、有効性が推定された段階の、言わば「仮免許」の製品の保険適用上の取扱いが、本承認されたものと同じということは疑問である。
- 医療保険で患者に使用している以上、最終的に有効性が確認されずに保険適用から除外されるようなケースは可能な限り避けるべきである。過去事例を踏まえ、本品が本承認に至る見通しがある程度高いことを説明すること。
- 本品の米国での価格を踏まえると、日本国内での価格が相当高くなると見込まれ、本品の価格設定の妥当性について、慎重に検討した上で、丁寧に説明すること。

参考

歩行不能な患者における本品の安全性情報

(令和7年6月16日中外製薬プレスリリース)

中医協 総-2 参考
7 . 6 . 1 8



News Release

2025年6月16日

各 位

ロシュ社による、歩行不能のデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する Elevidys の新たな安全性情報の発表について

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：奥田 修）は、ロシュ社が、歩行不能のデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）患者に対する Elevidys™ の新たな安全性情報を発表しましたのでお知らせいたします（6月15日（現地時間））。

日本国内において「エレビジス®点滴静注」〔一般名：デランジストロゲン モキセパルボベク〕（以下、エレビジス）は、2025年5月13日に歩行可能なDMDを対象に厚生労働省より条件及び期限付承認に該当する製造販売承認を取得しております。

今回の新たな海外安全性情報は、歩行不能なDMD患者で致死的な経過を辿った急性肝不全の報告です。これにより国内で実施中の歩行不能なDMD患者を対象とした臨床試験も投与を中断いたします。歩行可能なDMD患者におけるエレビジスのベネフィット・リスクプロファイルに変更はありません。

患者さんの安全性を確保するため、関係する規制当局、治験責任医師、医療関係者等への情報提供を実施し、緊密に連携し対応して参ります。

詳細は、以下ロシュ社のメディアリリースをご参照ください。

Roche provides safety update on Elevidys™ gene therapy for Duchenne muscular dystrophy in non-ambulatory patients

<https://www.roche.com/media/releases/med-cor-2025-06-15>

Media & Investor Release



Ad hoc announcement pursuant to Art. 53 LR

Roche provides safety update on Elevidys™ gene therapy for Duchenne muscular dystrophy in non-ambulatory patients

- After a thorough clinical review, the benefit-risk for the use of Elevidys in non-ambulatory patients with Duchenne has been re-assessed, following two cases of fatal acute liver failure
- Effective immediately, dosing of non-ambulatory patients, irrespective of age, is paused in the clinical setting; dosing of non-ambulatory patients is discontinued in the commercial setting
- Roche is working closely with relevant health authorities, investigators and prescribing physicians to ensure they are informed and patient care is being appropriately modified
- The benefit-risk of Elevidys treatment in ambulatory Duchenne patients remains positive and treatment guidance is unchanged

Basel, 15 June 2025 - Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) announced today new dosing restrictions, effective immediately, for ELEVIDYS™ (delandistrogene moxeparvovec), for non-ambulatory Duchenne muscular dystrophy (DMD) patients, irrespective of age, in both clinical and commercial settings. In the commercial setting, non-ambulatory patients should no longer receive Elevidys. In the clinical trial setting, enrolment and dosing of non-ambulatory patients will be immediately paused until additional risk mitigation measures (e.g. immune modulatory treatment) are implemented in the study protocol. Health authorities, investigators and physicians are being informed so that patient care can be quickly adjusted.

This decision follows careful assessment of two cases in non-ambulatory patients of fatal acute liver failure (ALF), an identified risk of Elevidys and other AAV-mediated gene therapies, which led to a reassessment of the benefit-risk profile as unfavourable for patients with DMD who are non-ambulatory.

参考和訳

- 致死的な急性肝不全の2例の報告を受けて、徹底的な臨床レビューの後、歩行不能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者におけるElevidysの使用のベネフィット・リスクが再評価されました。
- 臨床試験では、年齢にかかわらず歩行不能患者への投与を直ちに中断します。市販後での歩行不能患者への投与は中止します。
- ロシュ社は、これらの情報が提供され、患者さんの治療が適切に変更されていることを保証するために、関係する規制当局、治験責任医師及び処方医と緊密に連携しています。
- 歩行可能なデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者におけるElevidys投与のベネフィット・リスクは依然として良好であり、治療ガイダンスに変更はありません。

※参考和訳であり、正文はロシュ社のプレスリリース