

2025 年 6 月 16 日

厚生労働省 保険局長

鹿沼 均 殿

一般社団法人 日本内分泌外科学会



パロペグテリパラチド皮下注製剤の在宅自己注射保険適用に関する要望書

副甲状腺機能低下症は副甲状腺ホルモン（PTH）が欠乏する希少な内分泌疾患であり、カルシウム及びリン濃度の恒常性異常に加えて、腎臓でのカルシウムの再吸収及びリンの排泄障害、骨リモデリングの抑制による骨代謝異常、並びに生活の質（QOL）の低下等を引き起こします。副甲状腺機能低下症は、遺伝子異常や免疫異常等にもとづく原発性と、頸部手術後や肉芽腫性疾患等にもとづく二次性に分類され、いずれも長期の治療が必要とされています。二次性副甲状腺機能低下症患者の多くは術後性副甲状腺機能低下症とされています¹⁾。現行の治療では、血中カルシウム濃度を維持するために活性型ビタミンD3製剤やカルシウム製剤が使用されますが、これらの治療は病因に基づく治療ではないうえ、高カルシウム血症や高カルシウム尿症、腎石灰化や尿路結石、腎機能障害などの有害事象を引き起こす可能性があります。このような現行治療の問題を解決するために、副甲状腺機能低下症の根本的な治療法が必要であり、具体的には、欠乏している血中のPTH濃度を生理的範囲で長期的に維持できるPTHの補充療法が求められています。

パロペグテリパラチド皮下注製剤はPTH（1-34）の徐放性プロドラッグとして、副甲状腺機能低下症患者に1日1回皮下投与することにより、生理的範囲のPTH濃度を24時間安定して維持するようにデザインされた日本初のPTHの補充療法剤です。本剤から放出されたPTH（1-34）は、カルシウム及びリン濃度の恒常性を維持し、活性型ビタミンD3製剤及びカルシウム製剤の投与からの離脱を可能にします。また、身体的、精神的側面でのQOLの改善が認められています²⁾。さらに、事後解析の結果から腎機能の維持又は改善が示唆されました³⁾。したがって、本剤は現行の治療薬では解決が困難な臨床的課題（QOL低下、腎機能低下等）に対応する、副甲状腺機能低下症の根本的治療薬として大いに期待されています。欧州では2023年11月に、米国では2024年8月に慢性副甲状腺機能低下症での製造販売承認を取得しています。本邦でも2024年12月に副甲状腺機能低下症を効能効果として、承認申請が行われております。

本剤の投与対象は、長期の治療が必要な副甲状腺機能低下症であり、定期的に医療機関を受診し、血中カルシウム濃度を正常範囲内に維持するように管理します。また、医師に

0618 第4

よる自己注射の指導を理解し、適切に自己注射ができると医師が判断した患者を想定しています。

本剤は1日1回の皮下投与製剤であり、来院による注射は患者の時間的制約や身体的・経済的負担が大きく治療継続に対する大きな障害となるため、本剤には在宅自己注射が必要不可欠と考えます。

なお、本剤は米国及びドイツにおいて既に在宅自己注射製剤として使用されていますが、明らかな安全性上の懸念は認められておりません。また、日本の臨床試験も自己注射にて実施されており、特段の問題はないことが確認されています。

本剤の使用に際しては、自己注射の方法、起こり得る副作用、問題が生じた場合には速やかに医療機関に連絡すべきこと、使用済みのペン及び注射針等の適切な廃棄方法などを指導すべきものと考えます。したがって、患者が自己注射を適切に行うために必要な情報や資材については、製造販売業者から容易に参照できる形で提供されるべきと考えます。

以上を踏まえ、当学会といたしましては、本剤を在宅自己注射指導管理料の算定対象薬剤へ追加いただけますよう強く要望いたします。また、在宅自己注射を行うにあたり、本剤に加えて注射針の処方が必要となることから、「C101 在宅自己注射指導管理料」の適用に合わせて、「C153 注入器用注射針加算」の保険適用についても要望いたします。

引用文献：

- 1) Shishiba Y, Imai T, Kanmori M, et al. Prevalence of postsurgical hypoparathyroidism in Japan: Estimated from the data of multiple institutes. J JAES JSTS. 2017;34(1):51-56.
- 2) Clarke BL, Khan AA, Rubin MR, et al. Efficacy and Safety of TransCon PTH in Adults with Hypoparathyroidism: 52-Week Results From the Phase 3 PaTHway Trial. J Clin Endocrinol Metab. 2024 Oct 8:dgae693.
- 3) Rejnmark L, Gosmanova EO, Khan AA, et al. Palopegteriparatide treatment improves renal function in adults with chronic hypoparathyroidism: 1-year results from the Phase 3 PaTHway Trial. Adv Ther. 2024;41(6):2500-2518.

以上