

中央社会保険医療協議会 総会（第 620 回）議事次第

令和 7 年 10 月 15 日（水）
9:00～

議 題

- 条件期限付き再生医療等製品の診療報酬上の算定方法の見直しについて
- 費用対効果評価専門組織からの報告について
- 臨床検査の保険適用について
- 医薬品の新規薬価収載について
- 再生医療等製品の保険適用について
- 最適使用推進ガイドラインについて
- D P Cにおける高額な新規の医薬品等への対応について
- 在宅自己注射について
- D P C対象病院の退出に係る報告について

条件期限付き再生医療等製品の診療報酬上の算定方法の見直しについて

条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品に対する対応の背景

背 景

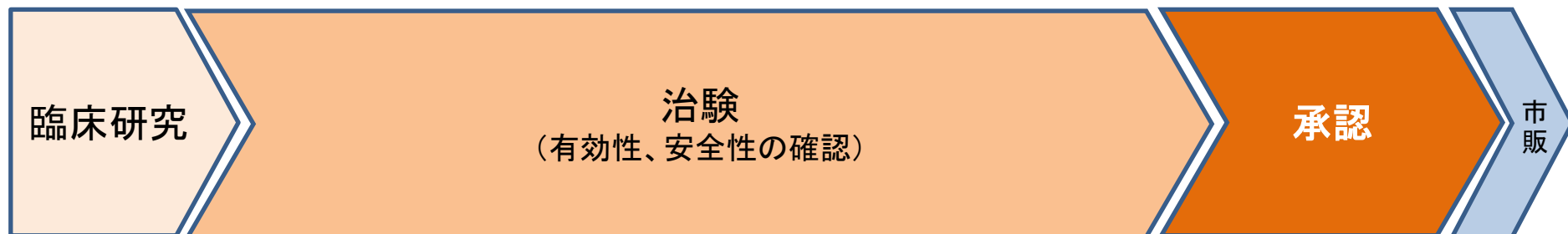
- 再生医療等製品については、国民皆保険の堅持とイノベーションの推進を両立させつつ、希望する患者への治療のアクセスを確保することが重要である。
- これまで、条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品について保険適用を認めてきたところであるが、昨年、同承認を受けた再生医療等製品 2 品目（コラテジェン筋注用 4 m g 及びハートシート）について、本承認を得られずに薬価基準又は材料価格基準から削除された。
- 令和 6 年 7 月 3 日及び同年 8 月 7 日の中医協総会において、条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品 2 品目の薬価基準又は材料価格基準からの削除について報告した際、条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品の保険適用のあり方について次期制度改正に向けて検討が必要である旨の指摘がなされた。

再生医療等製品の条件及び期限付き承認制度

【従来の承認までの道筋】

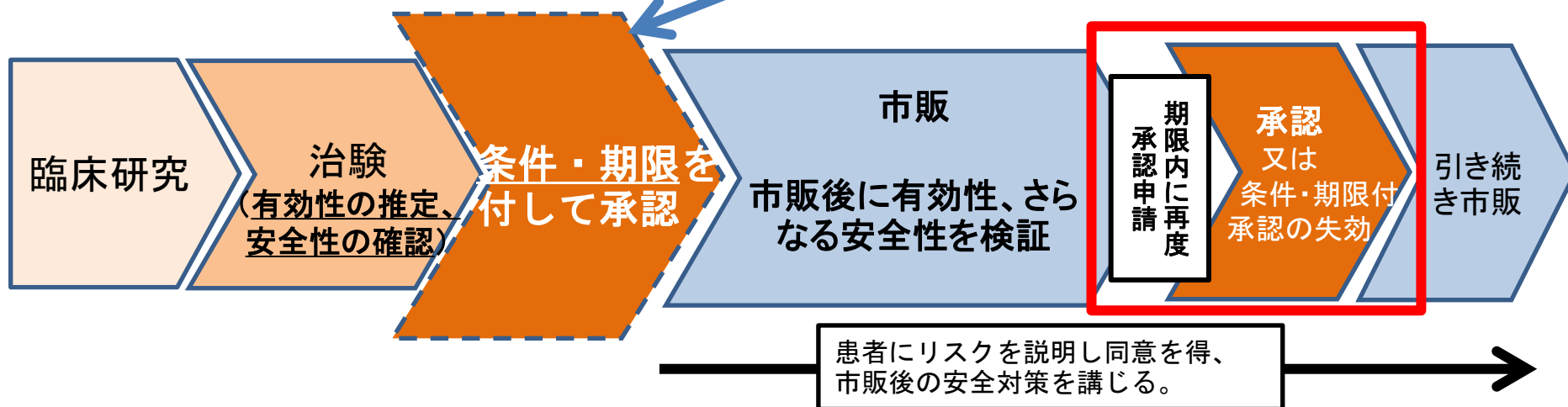
＜再生医療等製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞

人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。



※患者のアクセスをより早く！

【再生医療等製品の早期の実用化に対応した承認制度】



- ・有効性については、一定数の限られた症例から、従来より短期間で有効性を推定。
- ・安全性については、急性期の副作用等は短期間で評価を行うことが可能。

これまでに保険収載された条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品一覧

	ハートシート (テルモ株式会社)	ステミラック注 (ニプロ株式会社)	コラテジェン筋注用4mg (アンジェス株式会社)	デリタクト注 (第一三共株式会社)
製品	ヒト(自己)骨格筋由来細胞シート	ヒト(自己)骨髄由来間葉系幹細胞	ヒト肝細胞増殖因子(HGF)を発現するプラスミドDNA	改変ヘルペスウイルス
適応症	下記の基準のすべてを満たす、薬物治療や侵襲的治療を含む標準治療で効果不十分な虚血性心疾患による重症心不全の治療 ＜対象とする心不全の状態＞ ・ NYHA心機能分類がⅢ又はⅣ度 ・ 安静時における左室駆出率が35%以下	脊髄損傷に伴う神経症候及び機能障害の改善。ただし、外傷性脊髄損傷で、ASIA機能障害尺度がA、B又はCの患者に限る。	標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及びバージャー病）における潰瘍の改善	悪性神経膠腫
承認日	2015年9月18日 (承認期限 5 年 + 3 年延長)	2018年12月28日 (承認期限 7 年)	2019年3月26日 (承認期限5年)	2021年6月11日 (承認期限 7 年)
承認時 評価資料	・ 国内臨床試験：単群（7例）、多施設（3施設）	・ 国内臨床試験：単群（13例）、単施設	・ 二重盲検比較試験（ASO第Ⅲ相試験） ・ 一般臨床試験（TAO一般臨床試験） ・ 臨床研究（先進医療B臨床研究）	・ 国内臨床試験：単群（19例）、単施設

※ エレビジスの保険上の取り扱いについては、現在中医協において議論中

これまでに薬価基準又は材料価格から削除された条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品

製品の概要

ハートシート

コラテジェン筋注用 4 mg

製品概要	ハートシート	コラテジェン筋注用 4 mg
類別	ヒト細胞加工製品（ヒト体性幹細胞加工製品）	遺伝子治療用製品（プラスミドベクター製品）
一般的名称	ヒト（自己）骨格筋由来細胞シート	ベペルミノゲン ペルプラスミド
製造販売業者	テルモ株式会社	アンジェス株式会社
効能、効果又は性能	下記の基準のすべてを満たす、薬物治療や侵襲的治療を含む標準治療で効果不十分な虚血性心疾患による重症心不全の治療 ＜対象とする心不全の状態＞ ・ NYHA心機能分類がⅢ又はⅣ度 ・ 安静時における左心駆出率が35%以下	標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及びバージャー病）における潰瘍の改善
条件及び期限付き承認日	平成27年9月18日（期限 8 年） →令和6年7月25日承認整理	平成31年3月26日（期限 5 年） →令和6年6月27日承認失効
薬価基準又は材料価格	平成27年12月28日収載→令和6年9月1日削除	令和元年9月4日収載→令和6年8月1日削除
製造販売後承認条件評価計画	市販後調査において、本品移植後の生命予後（心臓疾患関連死までの期間）を外部対照（本品の適用に該当するが本品を使用しなかった症例）と比較。	市販後調査において、本品投与 12 週後の評価対象潰瘍の完全閉鎖率を対照群（本品の適用に該当するが本品を使用しなかった症例）と比較。
得られた結果に対する審査結果	主要評価項目である心臓疾患関連死までの期間について、本品群の対照群（参照群）に対する優越性は示されなかった。また、副次評価項目である心機能に関する LVEF の改善などでも、本品群で対照群（参照群）より優れた結果は認められなかった。	非盲検下で実施した市販後調査では、二重盲検の国内第Ⅲ相臨床試験成績を再現できなかった。

条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品に対する対応の論点

論 点

- 条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品の保険適用上の一般的な算定方法については、薬価専門部会、材料価格部会及び費用対効果評価専門部会における相互の検討状況を踏まえた上で効率的に議論するため、合同部会として開催して検討し、その結果を基に総会で議論することとしてはどうか。
- ※ ・ 医薬品の例による条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品の薬価算定方法（薬価収載時の算定方法、市場拡大再算定の適用等）については薬価専門部会において検討
 - ・ 医療機器の例による条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品の材料価格算定方法（材料価格収載時の算定方法、市場拡大再算定の適用等）については材料価格部会において検討
 - ・ 条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品の費用対効果評価については、費用対効果評価専門部会において検討
- 過去に本承認に至らず保険から削除された品目を踏まえた、条件及び期限付き承認を受けた再生医療等製品の保険適用の妥当性については、個別品目での議論を参考に、総会において引き続き検討することとしてはどうか。

- 參考資料

再生医療等製品の医療保険上の取扱い

再生医療等製品については、保険適用の希望のあった個別の製品の特性を踏まえ、医薬品の例により対応するか、医療機器の例により対応するかを、薬事承認の結果を踏まえて判断している。

再生医療等製品について

中医協	薬	-	2
元	.	9	. 1 1

概要

- 再生医療等製品は薬機法で定義されており、大きく2つに分けられる。
 - 人又は動物の細胞に培養その他の加工を施したもの（細胞加工製品）
 - 人又は動物の細胞に導入され、これらの体内で発現する遺伝子を含有させたもの（遺伝子治療用製品）

医療保険上の取扱い

- 平成26年11月5日の中医協総会において、以下のとおり了承された。

＜平成26年11月5日 中医協 総-2-1（抜粋）＞

1. 保険適用に係る今後の対応について

- 再生医療等製品の保険適用に関する当面の間の対応
 - ・ 薬事法改正後に承認（条件・期限付承認を含む。）された再生医療等製品については、保険適用の希望のあった個別の製品の特性を踏まえ、医薬品の例により対応するか、医療機器の例により対応するかを、薬事承認の結果を踏まえて判断
 - ・ 薬価算定組織又は保険医療材料専門組織で償還価格について検討
 - ・ 上記検討の結果を踏まえ、中医協総会で薬価基準又は材料価格基準に収載するかを審議
- 再生医療等製品に関する知見が蓄積した後の対応
 - ・ 再生医療等製品の保険上の取扱いに関し、独自の体系を作るかどうかなどについて、引き続き中医協総会で検討

医薬品の費用対効果評価案について

	品目名	効能・効果	収載時価格	うち有用性系 加算率	市場規模 (ピーク時予測)	費用対効果評価区分	総会での 指定日	頁
①	ビロイ点滴静注 用	CLDN18.2 陽性の治癒切除不能な進 行・再発の胃癌	54,502 円 (100mg1 瓶)	5 % (加算係数 1.0)	145 億円	H 1 (市場規模が 100 億円以上)	2024/ 5 /15	2

医薬品・医療機器等の費用対効果の総合的評価案について

対象品目名：ビロイ点滴静注用 100mg (ゾルベツキシマブ)

製造販売業者名：アステラス製薬株式会社

効能・効果：CLDN18.2 陽性の治癒切除不能な進行・再発の胃癌

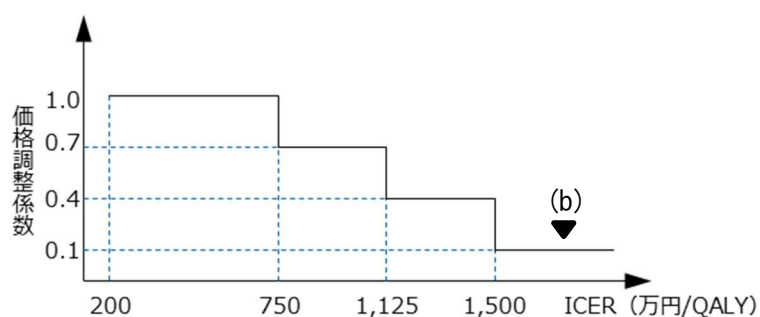
1. 対象集団	比較対照技術	ICER (円/QALY) の区分	患者割合 (%)
(a) PD-L1 CPS 5 以上の患者	ニボルマブ+オキサリプラチン併用療法 (CAPOX)	費用増加※2	47
(b) PD-L1 CPS 5 未満の患者	オキサリプラチン併用療法 (CAPOX)	1,500 万円/QALY 以上	53

※1 本分析は 2025 年 9 月時点で得られるデータをもとに分析を実施した。

※2 比較対照技術に対し効果が同等であり、かつ費用が増加するもの

(補足) 分析対象集団の ICER の区分 (有用性系加算の価格調整係数)

※営業利益の価格調整は今回対象外



注) 以下は左図に示せない
(a) 費用増加

(参考)ピロイ点滴静注用(一般名:ゾルベツキシマブ)の費用対効果評価案策定に係る主な検討事項

1. 分析枠組み

分析対象集団	化学療法歴のない HER2 陰性かつ CLDN18.2 陽性の治癒切除不能な進行・再発の胃癌患者のうち、以下の患者を分析対象集団とする。 (a) PD-L1 CPS 5 以上の患者 (b) PD-L1 CPS 5 未満の患者 ※CPS : combined positive score
分析対象集団を設定した理由 (適宜記載)	CPS 5 以上の患者と CPS 5 未満の患者では比較対照技術が異なるので、それぞれ分析対象集団を設定することが適当である。
比較対照技術名	分析対象集団 (a) : ニボルマブ+オキサリプラチン併用療法 (CAPOX) (評価対象技術 : ゾルベツキシマブ+オキサリプラチン併用療法 (CAPOX)) 分析対象集団 (b) : オキサリプラチン併用療法 (CAPOX) (評価対象技術 : ゾルベツキシマブ+オキサリプラチン併用療法 (CAPOX)) ※CAPOX : カペシタビン+オキサリプラチン併用療法
比較対照技術を選定した理由	分析対象集団 (a) : ニボルマブは、分析対象集団のうち CPS 5 以上の患者に対してオキサリプラチン併用療法と比較して有効性が示されており、胃癌に対する一次治療の選択肢の中で最も有効性が高いと考えられる。日本胃癌学会の速報 (2021 年 12 月) では、CPS 5 以上の場合に、一次化学療法においてオキサリプラチン併用療法 (CAPOX, FOLFOX, SOX*) にニボルマブを併用することを明確に推奨している。併用される化学療法レジメンについては、ニボルマブやゾルベツキシマブとの併用が想定されるオキサリプラチン併用療法では有効性や安全性について明確な違いは示されていないため、最も安価な CAPOX 療法とすることが適切である。 分析対象集団 (b) : 「胃癌治療ガイドライン 2021 年 7 月改訂 第 6 版」および日本胃癌学会の速報 (2021 年 12 月) によると、分析対象集団のうち、CPS5 未満の場合にはニボルマブ+オキサリプラチン併用療法または化学療法単独による治療が推奨されている。ニボルマブ+オキサリプラチン併用療法およびオキサリプラチン併用療法については、有効性や安全性について明確な違いは示されていない。そのため、これらのうち最も安価な CAPOX 療法を比較対照技術とすることが適切である。 * FOLFOX : 5-フルオロウラシル+レボホリナートカルシウム+オキサリプラチン併用療法 SOX : テガフル・ギメラシル・オテラシルカリウム+オキサリプラチン併用療法

「公的医療の立場」以外の分析の希望	有(その詳細:) ☐ 無 ☒
効果指標として QALY 以外を使用する場合、その指標と理由	(該当せず)
その他	以下の感度分析を行う。 分析対象集団：化学療法歴のない HER2 陰性かつ CLDN18.2 陽性の治癒切除不能な進行・再発の胃癌 比較対照技術名：ニボルマブ+オキサリプラチン併用療法 (CAPOX) ・本薬剤を用いるために実施される検査費用も考慮すること

※ 分析枠組みに係る専門組織での主な意見

(専門組織の見解)

- ・ 従来の胃癌の化学療法では、HER2 陰性の確認のみでニボルマブを使用してきた。しかし、本剤の使用に伴い、CLDN を測定する臨床上的重要性が広まってきている。このように、医療の個別化が進んでおり、今後は、CPS 値によってニボルマブの使用を検討していく必要があるのではないか。その点を踏まえると、公的分析による分析対象集団の設定は妥当と考えられる。
- ・ 今後の臨床的動向も見て、CPS 値によって検討すべきだが、カットオフ値の妥当性はどうか。ヨーロッパでは、CPS 値によってニボルマブの適応が制限されていることから、一定の妥当性があると考えられる。
- ・ CPS 値が高い場合だけでなく、CLDN 陽性で CPS 値 5 未満であっても、一部の医療者はニボルマブを使用するため、CPS 値で層別化するのではなく全体としてみることも、本品の費用対効果評価において有用かもしれない。
- ・ CPS 検査や本薬剤を用いるために実施される検査の費用も含めた検討が必要ではないか。

(企業の不服意見)

- ・ なし

2. ビロイ点滴静注用(一般名:ゾルベツキシマブ)の費用対効果評価結果案の策定に係る専門組織での主な検討事項

2-1. 公的分析から提示された論点

・ 分析対象集団(a)の追加的有用性について

製造販売業者は、ゾルベツキシマブの pivotal 試験である GLOW 試験 (CPS 5 以上のサブグループ解析) とニボルマブの pivotal 試験である CheckMate649 試験を用いた間接比較を行い、ニボルマブ+CAPOX に対するゾルベツキシマブ+CAPOX の OS および PFS のハザード比を算出した。しかし、GLOW 試験において CPS を測定した症例数が限定的であることを主な理由として、製造販売業者は「科学的に妥当な追加的有用性の評価が困難であった」との評価を提出した。公的分析で

は、ゾルベツキシマブ+CAPOX の有効性が CPS の値により異ならないという前提のもとで、分析結果の頑健性を検討するために、GLOW 試験の ITT 集団の結果を用いた感度分析を行い、「追加的有用性が示されていない」と判断した。

・ 検査費用について

製造販売業者は、評価対象技術、比較対照技術の双方で HER2 および CLDN18.2 の検査が実施されることを想定し、それぞれの検査費用を含めた。公的分析の検討の結果、現段階でのコンパニオン診断の検査費用の取り扱いとして、分析対象集団はコンパニオン診断による検査結果が確定した患者、つまり本剤では HER2 陰性かつ CLDN18.2 陽性が確定した患者に治療が行われるという前提の下で、当該費用を含めないこととして再分析を行った。

・ 薬価の変更

令和 7 年 4 月に行われた薬価改定により、本分析に関わる、評価対象技術であるゾルベツキシマブをはじめとした複数の薬剤で薬価が変更となった。公的分析では最新の薬価を用いて再分析を行った。

2-2. 製造販売業者から提示された論点

・ 分析対象集団 (a) に対する追加的有用性の評価結果

現状のエビデンスでは OS と PFS に関して、一定の不確実性がある可能性はあるものの、ゾルベツキシマブ+CAPOX の治療効果はニボルマブ+CAPOX の治療効果と同等程度であると判断したため、公的分析では「追加的有用性が示されていない」とした。しかしながら、専門組織 II で陳述したとおり、本データには多くの限界があり、公的分析が実施した感度分析の結果を考慮したとしても、科学的な評価が困難であることは否定できない。GLOW 試験における CPS 値が測定された症例数は限定的であり、CPS 値が測定された患者集団の結果が本試験の母集団の結果を必ずしも反映していない可能性がある。また、CheckMate 649 試験には、胃癌、胃食道接合部癌の他に、GLOW 試験では対象としていない食道腺癌の患者が 13~14%程度含まれていることに加えて、CLDN18.2 の発現の有無が確認されていないことなど、各試験間における異質性やデータの限界がある。

このような不確実性があり、科学的な評価が困難である以上、本データをもって追加的有用性の評価を結論づけるには限界があると考える。そのため、分析対象集団 (a) における追加的有用性の評価は、「追加的有用性が示されていない」ではなく、「その他（科学的に妥当な追加的有用性の評価が困難）」が適していると考える。

2-3. 専門組織の議論

以上を踏まえ、専門組織で議論し、分析対象集団 (a) の追加的有用性、検査費用、薬価の変更について、下記のとおり、公的分析結果が妥当であると考えられた。

- ・ 製造販売業者の「分析対象集団 (a) に対して、科学的に妥当な追加的有用性の評価が困難である」という主張について、GLOW 試験における CPS 値が測定されていない症例が一定程度存在するという点、CheckMate 649 試験において食道腺癌の患者が 13~14%存在している点、を考慮したが、公的分析結果より示された GLOW 試験の ITT 集団を用いた感度分析の頑健性や CheckMate 649 試験における食道腺癌の治療効果がそもそも胃癌より劣る

傾向がある点を考慮すると、「追加的有用性が示されていない」とした公的分析結果が妥当と考えられる。

＜参考:本資料に係る留意事項＞

- ・ 総合的評価では、企業分析及び公的分析双方とも一定の科学的妥当性が認められている。
- ・ 「専門組織での主な検討事項」は、双方の見解の主な相違部分を抜粋したものである。
- ・ 費用対効果評価の詳細については、国立保健医療科学院から公表される報告書を参照されたい。

(以上)

臨床検査の保険適用について（令和7年11月収載予定）

		販売名	測定方法	参考点数	頁数
①	E 3（新項目）	赤痢アメーバ抗体 ELISA-IBL	E L I S A法（定性）	D O 1 2 感染症免疫学的検査 49 赤痢アメーバ抗体半定量、赤痢アメーバ抗原定性 223 点	2

体外診断用医薬品に係る保険適用決定区分及び価格（案）

販売名 赤痢アメーバ抗体 ELISA-IBL
 保険適用希望企業 株式会社免疫生物研究所

販売名	決定区分	主な使用目的
赤痢アメーバ抗体 ELISA-IBL	E 3（新項目）	血清中の赤痢アメーバ抗体の検出（赤痢アメーバ感染の診断の補助）

○ 保険償還価格

測定項目	測定方法	保険点数	準用保険点数
赤痢アメーバ抗体定性	ELISA法 (定性)	223 点	D 0 1 2 感染症免疫学的検査 49 赤痢アメーバ抗体半定量、赤痢アメーバ抗原定性 223 点

○ 留意事項案

「D 0 1 2 感染症免疫学的検査」の留意事項に下記のとおり追記する。

(1)～(60) 略

(61) 赤痢アメーバ抗体定性は、関連学会の定める適正使用指針に従い、アメーバ性肝膿瘍を疑う場合又は糞便検査が陰性かつアメーバ性大腸炎を疑う場合であって、ELISA 法により血清中の赤痢アメーバ抗体を測定した場合に、一連の治療において 1 回に限り、本区分の「49」赤痢アメーバ抗体半定量、赤痢アメーバ抗原定性の所定点数を準用して算定する。

○ 推定適用患者数（ピーク時）

予測年度：10 年度

推定適用患者数：21,965 人

○ 市場規模予測（ピーク時）

予測年度：10 年度

本体外診断用医薬品使用患者数：10,982 人

本体外診断用医薬品実施回数：11,256 回

予測販売金額：0.251 億円

[参考]：企業提出資料を基に作成

○ 企業希望価格

測定項目	測定方法	保険点数	準用保険点数
赤痢アメーバ抗体定性	E L I S A法 (定性)	223 点	D 0 1 2 感染症免疫学的検査 49 赤痢アメーバ抗体半定量、赤痢アメーバ抗原定性 223 点

○ 推定適用患者数（ピーク時）

予測年度：10 年度

推定適用患者数：21,965 人

○ 市場規模予測（ピーク時）

予測年度：10 年度

本体外診断用医薬品使用患者数：10,982 人

本体外診断用医薬品実施回数：11,256 回

予測販売金額：0.251 億円

製品概要

1 販売名	赤痢アメーバ抗体ELISA-IBL
2 希望企業	株式会社免疫生物研究所
3 使用目的	血清中の赤痢アメーバ抗体の検出（赤痢アメーバ感染の診断の補助）
4 構造・原理	製品特徴 出典：企業提出資料 - 本品は、<u>血清中の赤痢アメーバ抗体の検出（赤痢アメーバ感染の診断の補助）</u>を目的として使用する体外診断用医薬品である。測定原理はELISA法で、抗原抗体反応を利用して血清検体中の赤痢アメーバ抗体を捕捉する。 - アメーバ赤痢は感染症法五類感染症であり、病型としては大腸炎（腸管）、肝膿瘍（腸管外）、劇症型（腸管）の3つに分類される。 - 本品の使用方法については、5学会（日本エイズ学会、日本寄生虫学会、日本熱帯医学会、日本臨床微生物学会、日本感染症学会）より、本品に係る適正使用指針「血清赤痢アメーバ抗体検査薬の適正使用について」が発出される予定である。
	シスト 栄養体 臨床上的有用性 本品の性能評価に関しては、既承認体外診断用医薬品（間接蛍光抗体法）との判定一致率を比較したところ、全体一致率は92.5%、陽性一致率は87.5%、陰性一致率は96.9%と高い一致率が示された。

新医薬品一覧表(令和7年10月22日収載予定)

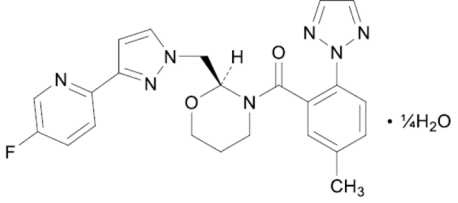
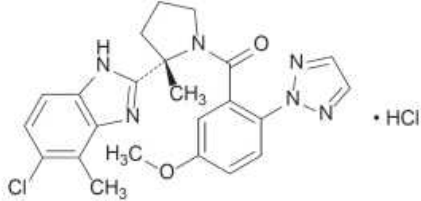
No.	銘柄名	規格単位	会社名	成分名	承認区分	算定薬価	算定方式	補正加算等	薬効分類		ページ
1	ボルズィ錠2.5mg ボルズィ錠5mg ボルズィ錠10mg	2.5mg1錠 5mg1錠 10mg1錠	大正製薬株式会社	ボルノレキサン ト水和物	新有効成分含有医薬品	47.80円 71.30円 106.40円	類似薬効比較方式(Ⅱ)	－	内119	その他の中枢神経系用薬(不眠症)	2
2	マグミット錠100mg	100mg1錠	マグミット製薬株式会社	酸化マグネシウム	新用量医薬品、剤形追加に係る医薬品(再審査期間中でないもの)	12.70円	類似薬効比較方式(Ⅰ)	小児加算A=5% 新薬創出等加算	内234 内235	制酸剤 下剤,浣腸剤 (○下記疾患における制酸作用と症状の改善 胃・十二指腸潰瘍、胃炎(急・慢性胃炎、薬剤性胃炎を含む)、上部消化管機能異常(神経性食思不振、いわゆる胃下垂症、胃酸過多症を含む) ○便秘症 ○尿路尿酸カルシウム結石の発生予防)	4
3	ヨビバス皮下注168μgペン ヨビバス皮下注294μgペン ヨビバス皮下注420μgペン	168μg0.56mL1キット 294μg0.98mL1キット 420μg1.4mL1キット	帝人ファーマ株式会社	パロベグテリバラチド	新有効成分含有医薬品	571,509円 584,139円 596,310円	原価計算方式	有用性加算(Ⅱ)A=5% 市場性加算(Ⅰ)A=10% 加算係数 0 新薬創出等加算 費用対効果評価(H1)	注243	甲状腺、副甲状腺ホルモン剤(副甲状腺機能低下症)	6
4	スピジア点鼻液5mg スピジア点鼻液7.5mg スピジア点鼻液10mg	5mg0.1mL1瓶 7.5mg0.1mL1瓶 10mg0.1mL1瓶	アキュリスファーマ株式会社	ジアゼパム	新投与経路医薬品	8,336.50円 9,337.60円 10,120.00円	類似薬効比較方式(Ⅰ)	有用性加算(Ⅱ)A=10% 市場性加算(Ⅰ)A=15% 新薬創出等加算	外113	抗てんかん剤(てんかん重積状態)	8
5	セタネオ点眼液0.002%	0.002%1mL	参天製薬株式会社	セベタプロスト	新有効成分含有医薬品	800.00円	類似薬効比較方式(Ⅰ)	－	外131	眼科用剤(緑内障、高眼圧症)	10

	品目数	成分数
内用薬	4	2
注射薬	3	1
外用薬	4	2
計	11	5

新医薬品の薬価算定について

整理番号		25-10-内-1			
薬効分類		内119 その他の中枢神経系用薬（内用薬）			
成分名		ボルノレキサント水和物			
新薬収載希望者		大正製薬（株）			
販売名 （規格単位）		ボルズィ錠2.5mg（2.5mg1錠） ボルズィ錠5mg（5mg1錠） ボルズィ錠10mg（10mg1錠）			
効能・効果		不眠症			
主な用法・用量		通常、成人にはボルノレキサントとして1日1回5mgを就寝直前に経口投与する。なお、症状により適宜増減するが、1日1回10mgを超えないこととする。			
算定	算定方式	類似薬効比較方式（Ⅱ）			
	比較薬	過去6年間に薬価収載された薬理作用類似薬の最低1日薬価：71.30円			
	規格間比	デエビゴ錠5mg及び同錠10mgの規格間比：0.5775			
	補正加算	なし			
	外国平均 価格調整	なし			
算定薬価		2.5mg1錠 47.80円 5mg1錠 71.30円（1日薬価：71.30円） 10mg1錠 106.40円			
外国価格		新薬収載希望者による市場規模予測			
なし		予測年度 （ピーク時） 8年度		予測本剤投与患者数 708千人	予測販売金額 119億円
最初に承認された国（年月）：日本					
製造販売承認日		令和7年8月25日		薬価基準収載予定日	令和7年10月22日

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式		類似薬効比較方式（Ⅱ）		第一回算定組織		令和7年9月16日	
最類似薬選定の妥当性		新 薬			最類似薬		
	成分名	ボルノレキサント水和物			ダリドレキサント塩酸塩		
	イ．効能・効果	不眠症			左に同じ		
	ロ．薬理作用	オレキシン受容体拮抗作用			左に同じ		
	ハ．組成及び化学構造						
	ニ．投与形態 剤形 用法	内用 錠剤 1日1回			左に同じ 左に同じ 左に同じ		
補正加算	画期性加算 （70～120％）	該当しない					
	有用性加算（Ⅰ） （35～60％）	該当しない					
	有用性加算（Ⅱ） （5～30％）	該当しない					
	市場性加算（Ⅰ） （10～20％）	該当しない					
	市場性加算（Ⅱ） （5％）	該当しない					
	特定用途加算 （5～20％）	該当しない					
	小児加算 （5～20％）	該当しない					
	先駆加算 （10～20％）	該当しない					
	迅速導入加算 （5～10％）	該当しない					
新薬創出・適応外薬 解消等促進加算		該当しない					
費用対効果評価への 該当性		該当しない					
当初算定案に対する 新薬収載希望者の 不服意見の要点		本剤は睡眠薬の副作用である持ち越し効果を低減し、承認審査において運転の中止を求める必要がないと評価された睡眠薬であり、薬物治療のために運転等を中止せざるを得なかった患者や生活上運転が必須で睡眠薬を服薬できなかった患者だけでなく全ての不眠症患者にとって有用であることから、有用性加算の要件ハ③－a及び③－cを満たす。					
上記不服意見に 対する見解		第二回算定組織		令和7年9月29日			
		「本剤は不眠症に対する治療選択肢の一つ」と評価され、本剤服用後の運転等は、患者の状態を十分に把握した上でその適否を慎重に判断し、眠気等があらわれた場合には、運転等に従事しないことと注意喚起されている。したがって、本剤を服用した全ての不眠症患者が運転等が可能とはされておらず、本剤は自動車の運転等危険を伴う機械の操作を中止できない患者に投与できるとまでは言えないこと、既収載品と比較して使用に際しての利便性が著しく高いとまでは言えないことから、要件ハ③－a及び③－cには該当しない。					

新医薬品の薬価算定について

整理番号	25-10-内-2		
薬効分類	234 制酸剤（内用薬） 235 下剤・浣腸剤（内用薬）		
成分名	酸化マグネシウム		
新薬収載希望者	マグミット製薬株式会社		
販売名 （規格単位）	マグミット錠100mg（100mg1錠）		
効能・効果	○下記疾患における制酸作用と症状の改善 胃・十二指腸潰瘍、胃炎（急・慢性胃炎、薬剤性胃炎を含む）、上部消化管機能異常（神経性食思不振、いわゆる胃下垂症、胃酸過多症を含む） ○便秘症 ○尿路尿酸カルシウム結石の発生予防		
主な用法・用量	成人 ＜制酸剤として使用する場合＞ 酸化マグネシウムとして、通常成人1日0.5～1.0gを数回に分割経口投与する。 ＜緩下剤として使用する場合＞ 酸化マグネシウムとして、通常成人1日2gを食前又は食後の3回に分割経口投与するか、又は就寝前に1回投与する。 ＜尿路尿酸カルシウム結石の発生予防に使用する場合＞ 酸化マグネシウムとして、通常成人1日0.2～0.6gを多量の水とともに経口投与する。なお、いずれの場合も年齢、症状により適宜増減する。 小児 ＜緩下剤として使用する場合＞ 通常、1歳以上の小児には酸化マグネシウムとして、1日20～80mg/kgを食後の2回に分割経口投与する。		
算定	算定方式	類似薬効比較方式（I）	
	比較薬	成分名：マクロゴール4000／塩化ナトリウム／炭酸水素ナトリウム／塩化カリウム 会社名：EAファーマ（株）	
		販売名（規格単位） モビコール配合内用剤LD （6.8523g1包）	薬価（1日薬価） 61.40円 （90.32円）
	剤形間比	ネキシウムカプセル20mgと同懸濁用顆粒分包20mgの剤形間比：0.7060	
	補正加算	小児加算（A＝5％） 100mg1錠 （加算前） （加算後） 12.10円 → 12.70円	
	外国平均 価格調整	なし	
算定薬価	100mg1錠 12.70円（1日薬価：66.80円） ※ 算定に当たっては、本剤の国内臨床試験での平均投与量に基づく1日薬価を合わせた。		
外国価格		新薬収載希望者による市場規模予測	
なし 最初に承認された国：日本		予測年度 （ピーク時） 7年度	予測本剤投与患者数 予測販売金額 6.5千人 0.44億円
製造販売承認日	令和7年8月25日	薬価基準収載予定日	令和7年10月22日

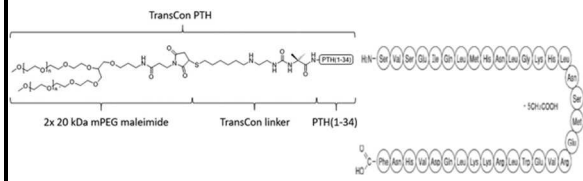
薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式		類似薬効比較方式（Ⅰ）		第一回算定組織		令和7年9月16日	
最類似薬選定の妥当性		新 薬			最類似薬		
		成分名	酸化マグネシウム			マクロゴール4000／塩化ナトリウム／炭酸水素ナトリウム／塩化カリウム	
		イ．効能・効果	○下記疾患における制酸作用と症状の改善 胃・十二指腸潰瘍、胃炎（急・慢性胃炎、薬剤性胃炎を含む）、上部消化管機能異常（神経性食思不振、いわゆる胃下垂症、胃酸過多症を含む） ○便秘症 ○尿路尿酸カルシウム結石の発生予防			慢性便秘症（器質的疾患による便秘を除く）	
		ロ．薬理作用	浸透圧性作用（腸内水分吸収阻止）			浸透圧性水分保持作用	
		ハ．組成及び化学構造	MgO			マクロゴール4000： HOCH ₂ （CH ₂ OCH ₂ ） _n CH ₂ OH （n＝59～84） 塩化ナトリウム：NaCl 炭酸水素ナトリウム：NaHCO ₃ 塩化カリウム：KCl	
		ニ．投与形態 剤形 用法	内用 錠剤 1日2回			左に同じ 散剤 水に溶かし経口投与、1日1～3回	
	d		画 期 性 加 算 （70～120％）	該当しない			
		有用性加算（Ⅰ） （35～60％）	該当しない				
		有用性加算（Ⅱ） （5～30％）	該当しない				
		市場性加算（Ⅰ） （10～20％）	該当しない				
		市場性加算（Ⅱ） （5％）	該当しない				
		特 定 用 途 加 算 （5～20％）	該当しない				
		小 児 加 算 （5～20％）	該当する（A＝5％） 本剤は小児に係る用法・用量が明示されていること等から、加算の要件に該当する。酸化マグネシウムは臨床現場で既に小児に対して使用されている薬剤であること、小児適応を有する便秘症治療薬である既収載品が複数存在していること等を踏まえ、加算率は5％が妥当である。				
		先 駆 加 算 （10～20％）	該当しない				
		迅 速 導 入 加 算 （5～10％）	該当しない				
新薬創出・適応外薬 解消等促進加算		該当する（主な理由：小児加算適用）					
費用対効果評価への 該 当 性		該当しない					
当初算定案に対する 新薬収載希望者の 不 服 意 見 の 要 点							
上 記 不 服 意 見 に 対 す る 見 解		第二回算定組織		令和 年 月 日			

新医薬品の薬価算定について

整理番号		25-10-注-1			
薬効分類		243 甲状腺, 副甲状腺ホルモン剤 (注射薬)			
成分名		パロペグテリパラチド			
新薬収載希望者		帝人ファーマ (株)			
販売名 (規格単位)		ヨビパス皮下注168μgペン (168μg0.56mL1キット) ヨビパス皮下注294μgペン (294μg0.98mL1キット) ヨビパス皮下注420μgペン (420μg1.4mL1キット)			
効能・効果		副甲状腺機能低下症			
主な用法・用量		通常、成人には、パロペグテリパラチドを、PTH(1-34)として1回18μgを開始用量とし、1日1回、皮下注射する。以後、患者の血清カルシウム濃度の十分な管理のもとに、1日1回6～60μgの範囲で適宜用量を増減して皮下投与するが、増量又は減量は3μgずつ行うこと。			
算 定	算 定 方 式		原価計算方式		
			168μg0.56mL1キット	294μg0.98mL1キット	420μg1.4mL1キット
	原 価 計 算	製品総原価	407,279円	416,280円	424,954円
		営業利益	76,425円 (流通経費を除く価格の15.8%)	78,114円 (流通経費を除く価格の15.8%)	79,742円 (流通経費を除く価格の15.8%)
		流通経費	35,849円 (消費税を除く価格の6.9%) 出典：「医薬品産業実態調査報告書」(厚生労働省医政局医薬産業振興・医療情報企画課)	36,641円 (消費税を除く価格の6.9%) 出典：「医薬品産業実態調査報告書」(厚生労働省医政局医薬産業振興・医療情報企画課)	37,405円 (消費税を除く価格の6.9%) 出典：「医薬品産業実態調査報告書」(厚生労働省医政局医薬産業振興・医療情報企画課)
		消費税	51,955円	53,104円	54,210円
	補 正 加 算		有用性加算 (Ⅱ) (A=5%)、市場性加算 (Ⅰ) (A=10%) 加算係数 0 (加算前) (加算後) 168μg0.56mL1キット 571,509円 → 571,509円 294μg0.98mL1キット 584,139円 → 584,139円 420μg1.4mL1キット 596,310円 → 596,310円		
	外国平均 価格調整		なし		
	算 定 薬 価		168μg0.56mL1キット 571,509円 294μg0.98mL1キット 584,139円 420μg1.4mL1キット 596,310円		
	外国 価 格		新薬収載希望者による市場規模予測		
168μg0.56mL1キット、294μg0.98mL1キット、 420μg1.4mL1キット 上記の規格は同一価格 独国 3,655.58 ユーロ 595,860円 外国平均価格 595,860円 (参考) 168μg0.56mL1キット、294μg0.98mL1キット、 420μg1.4mL1キット 上記の規格は同一価格 米国(AWP) 13,155.00 ドル 1,973,250円 米国(WAC) 10,962.50 ドル 1,644,375円		予測年度 予測本剤投与患者数 予測販売金額 (ピーク時) 10年度 1.2千人 129億円 (注1) 為替レートは令和6年9月～令和7年8月の平均 (注2) 米国 (AWP) は従来参照していた RED BOOK の価格 最初に承認された国 (年月) : 欧州 (2023年11月)			
製造販売承認日		令和7年8月25日		薬価基準収載予定日	令和7年10月22日

薬価算定組織における検討結果のまとめ

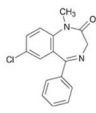
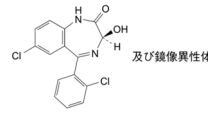
算定方式		原価計算方式		第一回算定組織	令和7年9月16日
原価計算方式を採用する妥当性		新薬			類似薬がない根拠
	成分名	パロペグテリパラチド			本剤の効能又は効果である「副甲状腺機能低下症」の適応を有する既収載品はないこと、既収載の副甲状腺ホルモン（PTH）アナログ製剤とは異なり、本剤は欠乏しているPTHを生理的範囲の濃度に維持することを目的としていること等から、薬価算定上の最類似薬はないと判断した。
	イ. 効能・効果	副甲状腺機能低下症			
	ロ. 薬理作用	副甲状腺ホルモン補充作用			
	ハ. 組成及び化学構造				
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤（キット製品） 1日1回			
補正加算	画期性加算（70～120%）	該当しない			
	有用性加算（Ⅰ）（35～60%）	該当しない			
	有用性加算（Ⅱ）（5～30%）	該当する（A＝5%） 〔ハ. 治療方法の改善（不十分例）：③－a＝1p〕 本剤は、「副甲状腺機能低下症」の効能・効果を有する初めての医薬品であり、既存の活性型ビタミンD ₃ 製剤及びカルシウム製剤による治療では腎機能障害のリスクが課題となっているのに対し、承認審査において、腎機能障害を合併する副甲状腺機能低下症患者に対して本剤の投与は可能と評価されていることから、有用性加算（Ⅱ）（A＝5%）を適用することが適当と判断した。			
	市場性加算（Ⅰ）（10～20%）	該当する（A＝10%） 本剤は希少疾病用医薬品に指定されていることから、加算の要件を満たす。			
	市場性加算（Ⅱ）（5%）	該当しない			
	特定用途加算（5～20%）	該当しない			
	小児加算（5～20%）	該当しない			
	先駆加算（10～20%）	該当しない			
	迅速導入加算（5～10%）	該当しない			
新薬創出・適応外薬 解消等促進加算		該当する（主な理由：希少疾病用医薬品として指定）			
費用対効果評価への 該当性		該当する（H1）			
当初算定案に対する 新薬収載希望者の 不服意見の要点					
上記不服意見に 対する見解		第二回算定組織		令和 年 月 日	

新医薬品の薬価算定について

整理番号		25-10-外-1	
薬効分類		113 抗てんかん剤（外用薬）	
成分名		ジアゼパム	
新薬収載希望者		アキュリスファーマ（株）	
販売名 （規格単位）		スピジア点鼻液5mg（5mg0.1mL1瓶） スピジア点鼻液7.5mg（7.5mg0.1mL1瓶） スピジア点鼻液10mg（10mg0.1mL1瓶）	
効能・効果		てんかん重積状態	
主な用法・用量		通常、成人及び2歳以上の小児にはジアゼパムとして、患者の年齢及び体重を考慮し、5～20mgを1回鼻腔内に投与する。効果不十分な場合には4時間以上あけて2回目の投与ができる。ただし、6歳未満の小児の1回量は15mgを超えないこと。	
算 定	算定方式	類似薬効比較方式（Ⅰ）	
	比較薬	成分名：ロラゼパム 会社名：ファイザー（株）	
		販売名（規格単位） ロラピタ静注2mg （2mg1mL1瓶）	薬価（1日薬価） 2,024円 （8,096円）
	剤形間比	類似薬に適切な剤型間比がない：1	
	規格間比	ダイアップ坐剤10及びダイアップ坐剤6の規格間比：0.2797	
	補正加算	有用性加算（Ⅱ）（A＝10％）、市場性加算（Ⅰ）（A＝15％） （加算前） 10mg0.1mL1瓶 8,096.00円 → 10,120.00円 （加算後）	
	外国平均 価格調整	なし	
算定薬価		5mg0.1mL1瓶 8,336.50円 7.5mg0.1mL1瓶 9,337.60円 10mg0.1mL1瓶 10,120.00円 （1日薬価：10,120.00円）	
外国価格		新薬収載希望者による市場規模予測	
5mg0.1mL1瓶 米国(NADAC) 351.07ドル 52,600.50円 外国平均価格 52,600.50円 7.5mg0.1mL1瓶 米国(NADAC) 350.81ドル 52,621.50円 外国平均価格 52,621.50円 10mg0.1mL1瓶 米国(NADAC) 350.88ドル 52,632.00円 外国平均価格 52,632.00円 (注) 為替レートは令和6年9月～令和7年8月の平均 最初に承認された国（年月）： 米国（2020年1月）		予測年度 予測本剤投与患者数 予測販売金額 (ピーク時) 8年度 7.0千人 5.3億円	
製造販売承認日	令和7年6月24日※	薬価基準収載予定日	令和7年10月22日

※ 企業都合により、今回の収載希望となった。

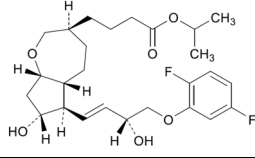
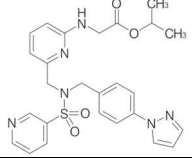
薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式		類似薬効比較方式（Ⅰ）		第一回算定組織		令和7年9月16日	
最類似薬選定の妥当性		新 薬			最類似薬		
	成分名	ジアゼパム			ロラゼパム		
	イ．効能・効果	てんかん重積状態			左に同じ		
	ロ．薬理作用	ベンゾジアゼピン受容体刺激作用			抗痙攣作用、ベンゾジアゼピン受容体 刺激作用		
	ハ．組成及び化学構造				 及び鏡像異性体		
	ニ．投与形態 剤形 用法	外用 点鼻液 鼻腔内投与			注射 注射剤 静脈内投与		
補正加算	画 期 性 加 算 （70～120％）	該当しない					
	有用性加算（Ⅰ） （35～60％）	該当しない					
	有用性加算（Ⅱ） （5～30％）	該当する（A＝10％） 〔ハ．治療方法の改善（不十分例）：③－a＝1p〕 〔ニ．製剤工夫による有用性（侵襲性が軽減）：④－a＝1p〕 ----- 本剤は、てんかん重積状態に対する病院前治療（薬物療法）及び静脈ルートが確保できない場合の新たな治療選択肢の一つという臨床的位置づけであり、18歳以上の患者においては、てんかん重積状態に対する静脈ルートが確保できない場合や医療機関外で投与できる初の治療選択肢となること、添加剤による製剤工夫により、ジアゼパム注射剤より投与時の侵襲性が著しく軽減されることから、有用性加算（Ⅱ）（A＝10％）を適用することが適当と判断した。					
	市場性加算（Ⅰ） （10～20％）	該当する（A＝15％） ----- 本剤は希少疾病用医薬品に指定されていることから、加算の要件を満たす。病院前治療を想定した本剤は開発が難しいところ、各被験者の介助者（保護者）により治験薬が投与される小児を対象とした国内試験を実施したことから、加算率は15％が妥当と判断した。					
	市場性加算（Ⅱ） （5％）	該当しない					
	特 定 用 途 加 算 （5～20％）	該当しない					
	小 児 加 算 （5～20％）	該当しない					
	先 駆 加 算 （10～20％）	該当しない					
	迅速導入加算 （5～10％）	該当しない					
	新薬創出・適応外薬 解消等促進加算	該当する（主な理由：希少疾病用医薬品として指定）					
費用対効果評価への 該 当 性	該当しない						
当初算定案に対する 新薬収載希望者の 不 服 意 見 の 要 点							
上 記 不 服 意 見 に 対 す る 見 解		第二回算定組織		令和 年 月 日			

新医薬品の薬価算定について

整理番号	25-10-外-2		
薬効分類	131 眼科用剤（外用薬）		
成分名	セタプロスト		
新薬収載希望者	参天製薬（株）		
販売名 （規格単位）	セタネオ点眼液0.002%（0.002%1mL）		
効能・効果	緑内障、高眼圧症		
主な用法・用量	1回1滴、1日1回点眼する。		
算 定	算定方式	類似薬効比較方式（I）	
	比較薬	成分名：オミデネパグ イソプロピル 会社名：参天製薬（株）	
		販売名（規格単位） エイベリス点眼液0.002% （0.002%1mL）	薬価（1日薬価） 800.10円 （40.00円）
	補正加算	なし	
	外国平均 価格調整	なし	
算定薬価	0.002%1mL 800.00円（1日薬価：40.00円）		
外国価格		新薬収載希望者による市場規模予測	
なし		予測年度 （ピーク時） 10年度	予測本剤投与患者数 148千人 予測販売金額 36億円
最初に承認された国（年月）：日本			
製造販売承認日	令和7年8月25日	薬価基準収載予定日	令和7年10月22日

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式		類似薬効比較方式（Ⅰ）		第一回算定組織		令和7年9月16日	
最類似薬選定の妥当性		新 薬			最類似薬		
	成分名	セペタプロスト			オミデネパグ イソプロピル		
	イ. 効能・効果	緑内障、高眼圧症			左に同じ		
	ロ. 薬理作用	プロスタグランジン受容体刺激作用 (プロスタノイドF P受容体刺激作用／プロスタノイドE P受容体刺激作用)			プロスタグランジン受容体刺激作用 (プロスタノイドE P 2受容体刺激作用)		
	ハ. 組成及び化学構造						
	ニ. 投与形態 剤形 用法	外用 点眼剤 1回1滴、1日1回点眼			左に同じ 左に同じ 左に同じ		
補正加算	画期性加算 (70～120%)	該当しない					
	有用性加算（Ⅰ） (35～60%)	該当しない					
	有用性加算（Ⅱ） (5～30%)	該当しない					
	市場性加算（Ⅰ） (10～20%)	該当しない					
	市場性加算（Ⅱ） (5%)	該当しない					
	特定用途加算 (5～20%)	該当しない					
	小児加算 (5～20%)	該当しない					
	先駆加算 (10～20%)	該当しない					
	迅速導入加算 (5～10%)	該当しない					
新薬創出・適応外薬 解消等促進加算		該当しない					
費用対効果評価への 該当性		該当しない					
当初算定案に対する 新薬収載希望者の 不服意見の要点							
上記不服意見に 対する見解		第二回算定組織		令和 年 月 日			

再生医療等製品の保険償還価格の算定について

類 別	遺伝子治療用製品（ウイルスベクター製品）		
成 分 名	ベレマゲン ゲペルパベク		
収 載 希 望 者	K r y s t a l B i o t e c h J a p a n（株）		
販 売 名 （規格単位）	バイジュベックゲル（2瓶1組※） ※2瓶1組あたり、投与の最大液量2mLを採取するに足る量が充填されている		
効 能 ・ 効 果 又 は 性 能	栄養障害型表皮水疱症		
主 な 用 法 ・ 用 量 又 は 使 用 方 法	通常、週1回、本品の液滴を約1cm×1cmの格子状になるように皮膚創傷部に滴下塗布する。 創傷面積1cm ² あたりの投与量は 2×10^7 PFU（10μL）を目安とする。 本品の1週あたりの最大用量及び最大液量は、下表に従い年齢に基づき算出する。		
	年齢	1週あたりの最大用量 （プラーク形成単位：PFU）	1週あたりの最大液量（mL） ^{注）}
	3歳未満	2×10^9	1
	3歳以上	4×10^9	2
	注）製剤とHPMCゲルを混合した後の液量		
算 定	算 定 方 式	原価計算方式	
	原 価 計 算	製品総原価	2, 1 2 9, 4 5 7. 5 0 円
		営 業 利 益	3 9 9, 5 8 9. 4 0 円 （流通経費を除く価格の1. 1 5 %）
		流 通 経 費	1 5 7, 5 2 8. 3 0 円 （消費税を除く価格の5. 9 %）
		出典：「医薬品産業実態調査報告書」（厚生労働省医政局医薬産業振興・医療情報企画課）	
		消 費 税	2 6 8, 6 5 7. 5 0 円
	補 正 加 算	有用性加算（I）（A＝5 0 %）、市場性加算（I）（A＝1 5 %） 加算係数 0 （加算前） 2 瓶 1 組 2, 9 5 5, 2 3 2. 7 0 円 → （加算後）2, 9 5 5, 2 3 2. 7 0 円	
	外 国 平 均 価 格 調 整	なし	
算 定 薬 価		2 瓶 1 組 2, 9 5 5, 2 3 2. 7 0 円	
外 国 価 格		収載希望者による市場規模予測	
2 瓶 1 組 米国(ASP) 25,928.00 ドル 3, 8 8 9, 2 0 0. 0 0 円 外国平均価格 3, 8 8 9, 2 0 0. 0 0 円 (参考) 2 瓶 1 組 米国(WAC) 25,230.00 ドル 3, 7 8 4, 5 0 0. 0 0 円 (注) 為替レートは令和6年9月～令和7年8月の平均 最初に承認された国（年月）： 米国（2 0 2 3 年 5 月）		予測年度 予測本剤投与患者数 予測販売金額 （ピーク時） 8 年度 3 0 6 人 1 8 1 億円	
製 造 販 売 承 認 日	令和7年7月24日	薬価基準収載予定日	令和7年10月22日

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式		原価計算方式	第一回算定組織	令和7年9月16日
原価計算方式を採用する妥当性		新 薬	類似薬がない根拠	
	成分名	ベレマゲン ゲペルパベク		本品は「栄養型表皮水疱症」を効能・効果とする初めての遺伝子治療薬であり、新薬算定類似薬はないと判断した。
	イ. 効能・効果	栄養障害型表皮水疱症		
	ロ. 薬理作用	COL7A1遺伝子補充作用		
	ハ. 組成及び化学構造	ヒトCOL7タンパク質を発現する遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型を主構成体、HPMCゲルを副構成体とする。		
	ニ. 投与形態 剤形 用法	外用 ゲル剤 週に1回滴下塗布		
補正加算	画 期 性 加 算 (70～120%)	該当しない		
	有用性加算 (Ⅰ) (35～60%)	該当する (A=50%) [イ. 新規作用機序 (異なる作用点、重篤な疾病を対象) : ①-a, ①-c=2p] [ハ. 治療方法の改善 (不十分例、利便性) : ③-a, ③-c=2p] 本品は既収載品と異なる作用機序を有し、標準的な治療法が確立されていない重篤な疾患を対象とすること、既存治療では効果が不十分な患者において効果が認められ、既存の治療法と比較して使用に際する利便性が高いことから、有用性加算 (Ⅰ) (A=50%) を適用することが適当と判断した。		
	有用性加算 (Ⅱ) (5～30%)	該当しない		
	市場性加算 (Ⅰ) (10～20%)	該当する (A=15%) 本品は希少疾病用再生医療等製品に指定されていることから、加算の要件を満たす。また、患者数が限定的である中、国内第Ⅲ相試験を実施したことを踏まえ、A=15%が妥当と判断した。		
	市場性加算 (Ⅱ) (5%)	該当しない		
	特 定 用 途 加 算 (5～20%)	該当しない		
	小 児 加 算 (5～20%)	該当しない		
	先 駆 加 算 (10～20%)	該当しない		
	迅 速 導 入 加 算 (5～10%)	該当しない		
	新薬創出・適応外薬 解消等促進加算		該当する (主な理由：希少疾病用再生医療等製品として指定)	
費用対効果評価への 該 当 性		該当しない		
当初算定案に対する 新薬収載希望者の 不 服 意 見 の 要 点				
上 記 不 服 意 見 に 対 する 見 解		第二回算定組織	令和 年 月 日	

製品概要

販売名	バイジュベックゲル										
使用目的	本品は、栄養障害型表皮水疱症（DEB）の原因遺伝子であるヒト <i>COL7A1</i> 遺伝子を搭載した非増殖性組換え単純ヘルペスウイルス 1 型（HSV-1）を成分とする再生医療等製品である。 患者の創傷部位に塗布された本品が真皮のヒト皮膚線維芽細胞及び表皮のヒトケラチノサイトに感染することにより、本品のウイルスゲノムは細胞の核内にエピソードとして留まるとともに、ヒト皮膚線維芽細胞及びヒトケラチノサイトにおいて機能的な COL7 タンパク質を発現する。発現した COL7 タンパク質により、アンカリングフィブリルが形成され、表皮と真皮が繋ぎ止められることで、DEB 患者の創傷を治癒する効果が期待される。										
主な使用方法	【用法及び用量又は使用方法】 通常、週 1 回、本品の液滴を約 1cm×1cm の格子状になるように皮膚創傷部に滴下塗布する。創傷面積 1cm² あたりの投与量は 2×10^7 PFU(10μL) を目安とする。 本品の 1 週あたりの最大用量及び最大液量は、下表に従い年齢に基づき算出する。 <table border="1"> <thead> <tr> <th>年齢</th><th>1 週あたりの最大用量 (プラーク形成単位：PFU)</th><th>1 週あたりの最大液量 (mL) 注)</th></tr> </thead> <tbody> <tr> <td>3 歳未満</td><td>2×10^9</td><td>1</td></tr> <tr> <td>3 歳以上</td><td>4×10^9</td><td>2</td></tr> </tbody> </table> 注) 製剤と HPMC ゲルを混合した後の液量		年齢	1 週あたりの最大用量 (プラーク形成単位：PFU)	1 週あたりの最大液量 (mL) 注)	3 歳未満	2×10^9	1	3 歳以上	4×10^9	2
年齢	1 週あたりの最大用量 (プラーク形成単位：PFU)	1 週あたりの最大液量 (mL) 注)									
3 歳未満	2×10^9	1									
3 歳以上	4×10^9	2									
主な有用性	本品は DEB に対して、海外第Ⅲ相試験である B-VEC-03 試験及び B-VEC-EX-02 試験、並びに国内第Ⅲ相試験である B-VEC-EX-02-JP 試験において有効性を示した。 遺伝子検査により DEB と確定診断された 6 ヶ月齢以上の DEB 患者 31 例を対象としたプラセボ対照患者内無作為化二重盲検比較試験である、海外 B-VEC-03 試験において、主要評価項目である初回投与後 6 カ月における完全治癒した一次創傷の割合（初回投与後 22 及び 24 週又は 24 及び 26 週の 2 回の visit で連続して完全閉鎖^{注 1)}と判断された割合）は、本品投与創傷で 67.4%（31 例）、プラセボ投与創傷で 21.6%（31 例）で、本品投与創傷とプラセボ投与創傷の間に統計的に有意な差が認められた（$p=0.0019$）。 海外 B-VEC-03 試験に参加した患者（継続患者）24 例、及び海外第Ⅲ相試験に参加していない、遺伝子検査により DEB と確定診断された患者（新規患者）23 例、計 47 例を対象とした非盲検非対照長期継続投与試験である B-VEC-EX-02 試験において、継続患者 24 例のうち、創傷の評価のための visit の不足により有効性評価が困難であった 5 例を除く 19 例では、B-VEC-03 試験の 3 ヶ月後及び 6 ヶ月後で観察された割合と同程度の長期間の奏効維持が認められた。 遺伝子検査により DEB と確定診断された 2 ヶ月齢以上の日本人 DEB 患者 5 例を対象とした国内 B-VEC-EX-02-JP 試験において、同意撤回 1 例を除く 4 例の本品投与後 6 カ月における一次創傷の完全閉鎖^{注 1)}率は 100%であった。 注 1) 海外 B-VEC-03 試験、海外 B-VEC-EX-02 試験及び国内 B-VEC-EX-02-JP 試験においては、創傷表面積がベースラインから 100%減少し、排液のない皮膚の再上皮化が認められた場合を「完全閉鎖」、2 回の visit で連続して完全閉鎖と判断された場合を「完全治癒」と定義された。										
承認条件	1. 製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は、全症例を対象に製造販売後調査等を実施すること。 2. DEB に関する十分な知識・経験を持つ医師のもと、有害事象の管理等の適切な対応がなされる体制下で、本品の使用方法等に係る知識を十分に習得した者が本品を使用するよう必要な措置を講ずること。 3. 「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成 15 年法律第 97 号）」に基づき承認された第一種使用規程を遵守して本品を用いるよう、その使用規程の周知等、必要な措置を講ずること。										

最適使用推進ガイドライン
ベレマゲン ゲペルパベク
(販売名：バイジュベックゲル)
～栄養障害型表皮水疱症患者～

令和 7 年 XX 月
厚生労働省

目次

1.	はじめに	2
2.	本品の特徴、作用機序	2
3.	臨床成績	3
4.	施設について	10
5.	投与対象となる患者	12
6.	投与に際して留意すべき事項	12

1. はじめに

再生医療等製品の有効性・安全性の確保のためには、添付文書等に基づいた適正な使用が求められる。さらに、近年の科学技術の進歩により革新的な新規作用機序を示す再生医療等製品が承認される中で、これらの再生医療等製品を真に必要な患者に提供することが喫緊の課題となっており、経済財政運営と改革の基本方針 2016 (平成 28 年 6 月 2 日閣議決定) においても革新的医薬品等の使用の最適化推進を図ることとされている。

新規作用機序を示す再生医療等製品は、薬理作用や安全性プロファイルが既存の医薬品等と明らかに異なることがある。このため、有効性及び安全性に関する情報が十分蓄積するまでの間、当該再生医療等製品の恩恵を強く受けることが期待される患者に対して使用するとともに、本品との因果関係が否定できない有害事象が発現した際に必要な対応をとることが可能な一定の要件を満たす医療機関で使用する事が重要である。

したがって、本ガイドラインでは、開発段階やこれまでに得られている医学薬学的・科学的見地に基づき、以下の再生医療等製品の最適な使用を推進する観点から必要な要件、考え方及び留意事項を示す。本ガイドラインは国内外での使用実績等の最新の知見に基づき、適宜必要な改訂を行う。

なお、本ガイドラインは、独立行政法人医薬品医療機器総合機構、公益社団法人日本皮膚科学会、日本小児皮膚科学会、一般社団法人日本再生医療学会、一般社団法人日本臨床皮膚科医会、公益社団法人日本小児科学会の協力のもと作成した。

対象となる再生医療等製品：バイジュベックゲル（一般名：ベレマゲン ゲペルパベク）

対象となる効能、効果又は性能：栄養障害型表皮水疱症

対象となる用法及び用量又は使用方法：通常、週1回、本品の液滴を約1 cm×1 cmの格子状になるように皮膚創傷部に滴下塗布する。創傷面積1 cm²あたりの投与量は 2×10^7 PFU (10 µL) を目安とする。

本品の1週あたりの最大用量及び最大液量は、下表に従い年齢に基づき算出する。

年齢	1 週あたりの最大用量 (ブランク形成単位：PFU)	1 週あたりの最大液量 (mL) 注)
3 歳未満	2×10^9	1
3 歳以上	4×10^9	2

注) 製剤と HPMC ゲルを混合した後の液量

選任外国製造再生医療等製品製造販売業者：Krystal Biotech Japan 株式会社

2. 本品の特徴、作用機序

バイジュベックゲル（一般名：ベレマゲン ゲペルパベク、以下、「本品」という）は、栄養障害型表皮水疱症（以下、「DEB」という）の原因遺伝子であるヒト *COL7A1* 遺伝子を搭載した非増殖性組換え単純ヘルペスウイルス 1 型（以下、「HSV-1」という）を主成分と

する再生医療等製品である。HSV-1 の KOS 株に由来し、hCMV プロモーター、ヒト COL7A1 遺伝子、及び BGH のポリアデニル化シグナル配列から構成される遺伝子発現カセットが組み込まれている。患者の創傷部位に塗布された本品が真皮のヒト皮膚線維芽細胞及びヒト表皮角化細胞に感染することにより、本品のウイルスゲノムは細胞の核内にエピソームとして留まるとともに、ヒト皮膚線維芽細胞及びヒト表皮角化細胞において機能的な VII 型コラーゲン（以下、「COL7 タンパク質」という。）を発現する。発現した COL7 タンパク質により、係留線維が形成され、表皮と真皮が繋ぎ止められることで、DEB 患者の創傷を治癒する効果が期待される。

3. 臨床成績

DEB の承認時に評価を行った主な臨床試験の成績を示す。

【有効性】

3.1. 海外第 III 相試験 (B-VEC-03 試験)

DEB 患者を対象に、本品の有効性及び安全性を検討する二重盲検被験者内プラセボ対照海外第 III 相試験 (B-VEC-03 試験) が実施された。

主な選択基準は、同意取得の時点で生後 6 カ月以上であり、DEB の臨床診断を受け、COL7A1 を含む遺伝子検査で DEB の診断 [優性栄養障害型表皮水疱症 (以下、「DDEB」という。) 又は劣性栄養障害型表皮水疱症 (以下、「RDEB」という。) のいずれか] が確認されていることであった。被験者には、以下の基準を満たす 2 つの皮膚創傷が必要であった。

- ・ 部位：サイズ、解剖学的部位及び外観が 2 つの創傷間で類似している。
- ・ 外観：肉芽組織が十分にあり、脈管形成が良好で感染していない。

主な除外基準は、治療を受ける部位に扁平上皮癌の現病歴又は既往歴があること、1 週目の時点で被験者が化学療法又は免疫療法を受けていること、過去 3 カ月以内に本品以外の臨床試験に参加していること、過去 3 カ月以内に皮膚移植を受けていることであった。

治験責任医師により、各患者において大きさ、解剖学的な部位及び外観が類似している 2 つの創傷 (一次創傷) が選択され、それぞれ本品又はプラセボに無作為に割り付けられた。二重盲検下で、各一次創傷のペアには表 1 の用量の本品又はプラセボを、最大 26 週間又は創傷が閉鎖するまで週 1 回塗布することとされた。また、一次創傷のペアに加えて、治験責任医師により最大 4 つの二次創傷が選択され、非盲検下で規定の用量の本品を週 1 回塗布することとされた。二次創傷への投与は表 2 の 1 週あたりの最大用量から一次創傷のペアに投与された用量を差し引いた分で賄うこととされ、一次創傷のペア及び二次創傷に投与される用量の合計が 1 週あたりの最大用量を超えないこととされた。本品又はプラセボ投与後、被験者は治療した創傷を約 24 時間覆っておくこととされた。

表 1 B-VEC-03 試験における 1 創傷あたりの本品の用量

患者の創傷面積 (cm ²)	用量 (PFU)
20 未満	4×10^8
20 以上 40 未満	8×10^8
40 以上 60 以下	1.2×10^9

表 2 B-VEC-03 試験における 1 週あたりの最大用量

年齢	1 週あたりの最大用量 (PFU)
6 カ月以上 3 歳未満	1.6×10^9
3 歳以上 6 歳未満	2.4×10^9
6 歳以上	3.2×10^9

ITT 集団 (N=31) において、主要評価項目である初回投与 6 カ月後の創傷の完全治癒 (22 及び 24 週目又は 24 及び 26 週目の 2 回の visit で連続しての完全閉鎖^{注 1)}) 率は、表 3 のとおりであり、両群間に統計学的な有意差が認められた。

表 3 治験製品の初回投与後 6 カ月における完全治癒した一次創傷の割合 (B-VEC-03 試験、ITT 集団)

本品投与創傷 (31 例)	プラセボ投与創傷 (31 例)	群間差 [95%CI] 両側 p 値 ^{*1}
67.4%	21.6%	45.8% [23.6, 68.0] 0.0019

欠測例については、多重補完法を用いた。

*1: 有意水準両側 5%、McNemar 検定

3.2. 海外第 III 相非盲検継続投与試験 (B-VEC-EX-02 試験)

B-VEC-03 試験を終了した DEB 患者 (以下、「継続塗布患者」という) 又は本品未治療の DEB 患者 (以下、「新規患者」という) を対象に、本品の有効性及び安全性を検討する非盲検非対照海外第 III 相試験 (B-VEC-EX-02 試験) が実施された。

主な選択基準は、同意取得の時点で、DEB の症状を示しており、*COL7A1* を含む遺伝子検査で DEB の診断 [DDEB 又は RDEB のいずれか] が確認されていることであった。

主な除外基準は、皮膚移植又はメッシュ皮膚移植の実施中の患者、過去 3 カ月以内に本品以外の臨床試験に参加していることであった。

本品の用量は表 4 のとおりであり、投与ごとに各創傷の創傷面積に応じて投与量を変更することとされた。本品は、シリンジを用いて創傷全体に 1 cm×1 cm のパターンで等間隔に小さな液滴を塗布することとされ、本品の塗布後、創傷より 1~2 cm ほど大きめにカットした疎水性被覆材を貼付することとされた。その後、医療従事者又は介護者が、疎水性被覆材の上に患者が希望する標準治療用被覆材を用いて創傷を被覆し、約 24 時間留置することとされた。また、表 5 のとおり、年齢に基づき 1 週あたりの最大用量が設定され、各創傷に塗布する本品の用量の合計が 1 週あたりの最大用量を超えないこととされた。

表 4 B-VEC-EX-02 試験における 1 創傷あたりの本品の用量

患者の創傷面積 (cm ²)	用量 (PFU)	投与液量 (mL)
20 未満	4×10^8	0.2
20 以上 40 未満	8×10^8	0.4
40 以上 60 以下	1.2×10^9	0.6

表 5 B-VEC-EX-02 試験における 1 週あたりの最大用量

年齢	1 週あたりの最大用量 (PFU)
3 歳未満	2.0×10^9
3 歳以上	4.0×10^9

治験責任医師により、各患者において本品投与創傷が複数選択され、規定の用量の本品を、創傷が閉鎖するまで週 1 回塗布することとされた。治験責任医師又は医療従事者により創傷が完全閉鎖したと判断された場合、当該創傷への投与を中止することとされ、その後に治験責任医師によって創傷が開いていると判断された時点で投与が再開された。また、創傷が完全閉鎖したと判断された場合は新たな創傷を選択し、新たに選択された創傷が閉鎖するまで本品を投与することとされた。なお、患者が毎週連続して来院できない場合には、来院日を調整することが許容された。

本試験では、有効性のデータは探索的評価項目としてのみ収集された。B-VEC-03 試験で本品による治療を受けた創傷の閉鎖の持続性が、継続塗布患者で評価された。

継続塗布患者における創傷の完全閉鎖^{注 1)}は、B-VEC-03 試験でベースライン時に選択された創傷で評価された。24 例の継続塗布患者のうち、19 例が評価された（5 例は創傷の評価のための visit の不足により有効性評価が困難であった）。各来院時における完全閉鎖率は、表 6 のとおりであり、本品投与後 12 カ月まで、B-VEC-03 試験における本品の初回投与後 3 カ月（68.4%）及び 6 カ月（73.7%）の完全閉鎖率と同程度の値を維持していた。

表 6 継続塗布患者における一次創傷の完全閉鎖率の推移

評価時期 ^{*1}	B-VEC-03 試験		B-VEC-EX-02 試験				
	3 カ月	6 カ月	1 週間	3 カ月	6 カ月	9 カ月	12 カ月
完全閉鎖率 (完全閉鎖した創傷数/ 評価対象創傷数)	68.4% (13/19)	73.7% (14/19)	89.5% (17/19)	84.2% (16/19)	61.1% (11/18)	82.4% (14/17)	62.5% (10/16)

*1：各試験での初回投与からの期間

3.3. 国内第 III 相非盲検継続投与試験（B-VEC-EX-02-JP 試験）

日本人 DEB 患者を対象に、本品の有効性及び安全性を検討する非盲検非対照国内第 III 相試験（B-VEC-EX-02-JP 試験）が実施された。

主な選択基準は、同意取得の時点で生後 2 カ月以上であり、DEB の臨床症状を示しており、COL7A1 を含む遺伝子検査で DEB の診断（DDEB 又は RDEB のいずれか）が確認されていることであった。被験者には、以下の基準を満たす 1 つの一次創傷が必要であった。

- 評価の対象となる創傷で、理想的なサイズは 20 cm² 未満であり、40 cm² を超えない。
- 外観上、清潔で十分な肉芽組織があり、血管新生が活発で、感染が認められない。

主な除外基準は、一次創傷に皮膚移植又はメッシュ皮膚移植を受けていること、治療を受ける部位に扁平上皮癌の現認又は既往歴があること、1 週目の時点で被験者が化学療法又は免疫抑制療法を受けていること、過去 3 カ月以内に本品以外の臨床試験に参加していることであった。

本品の用量は表 4 のとおりであり、投与ごとに各創傷の創傷面積に応じて投与量を変更することとされた。本品は、シリンジを用いて創傷全体に 1 cm×1 cm のパターンで等間隔に小さな液滴を塗布することとされ、本品の塗布後、創傷より 1～2 cm ほど大きめにカットした疎水性被覆材を貼付することとされた。その後、医療従事者又は介護者が、疎水性被覆材の上に患者が希望する標準治療用被覆材を用いて創傷を被覆し、約 24 時間留置することとされた。また、表 7 のとおり、年齢に基づき 1 週あたりの最大用量が設定され、二次創傷への投与は 1 週あたりの最大用量から一次創傷に投与された用量を差し引いた分で賄うこととされ、一次創傷及び二次創傷に投与される用量の合計が 1 週あたりの最大用量を超えないこととされた。したがって、一次創傷や選択された二次創傷の大きさによっては、複数の二次創傷に本品を投与するのに十分な用量がない場合もあった。

表 7 B-VEC-EX-02-JP 試験における 1 週あたりの最大用量

年齢	1 週あたりの最大用量 (PFU)
2 カ月以上 3 歳未満	2.0×10 ⁹
3 歳以上	4.0×10 ⁹

有効性について、主要評価項目である、本品の初回投与後 6 カ月における一次創傷の完全閉鎖^{注 1)} 率(本品の初回投与後 22、24 又は 26 週いずれかの visit で完全閉鎖と判断された割合)は 100%であった。また、副次評価項目である本品の初回投与後 3 カ月における一次創傷の完全閉鎖率(8、10 又は 12 週のいずれかの visit で完全閉鎖と判断された割合)も 100%であった。

個々の患者における一次創傷の閉鎖状況の推移は表 8 のとおりであった。

表 8 個々の患者における一次創傷の閉鎖状況の推移 (B-VEC-EX-02-JP 試験、PPS)

患者 番号	ベース ライン	8 週	10 週	12 週	22 週	24 週	26 週	36 週	38 週	40 週	48 週	50 週	52 週
01-01	OPEN	完全 閉鎖	完全 閉鎖	OPEN	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	OPEN	OPEN	OPEN	OPEN	OPEN	OPEN
01-02	OPEN	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖
02-01	OPEN	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖
02-03	OPEN	OPEN	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖	完全 閉鎖

注1) B-VEC-03 試験、B-VEC-EX-02 試験及び B-VEC-EX-02-JP 試験においては、創傷
表面積がベースラインから 100%減少し、排液のない皮膚の再上皮化が認められた場
合を「完全閉鎖」と定義された。

【安全性】

3.4. 海外第 III 相試験 (B-VEC-03 試験、データカットオフ日：2021 年 10 月 29 日)

有害事象の発現率は 58.1% (18/31 例) であった。本品との因果関係が否定できない有害
事象の発現率は 3.2% (1/31 例) であった。本品との因果関係が否定できない有害事象は軽
度の紅斑であり、回復した。無傷及び未処置の皮膚における創傷被覆材下の断続的な紅斑と
報告されており、標的部位に特異的ではなく、一般的な所見であると考えられた。

死亡は認められなかった。

2 例以上に発現した有害事象を表 9 に示した。

表 9 2 例以上に発現した SOC 及び PT 別の有害事象 (安全性解析対象集団) : B-VEC-03
試験

器官別大分類 基本語	31 例 例数 (%)
全有害事象	12 (38.7)
皮膚および皮下組織障害	
そう痒症	3 (9.7)
紅斑	2 (6.5)
発疹	2 (6.5)
一般・全身障害および投与部位の状態	
悪寒	3 (9.7)
呼吸器、胸郭および縦隔障害	
咳嗽	2 (6.5)
鼻漏	2 (6.5)
良性、悪性および詳細不明の新生物 (嚢胞およびポリープを含む)	
扁平上皮癌	3 (9.7)

3.5. 海外第 III 相非盲検継続投与試験 (B-VEC-EX-02 試験、データカットオフ日：2023 年

7月31日)

有害事象の発現率は 74.5% (35/47 例) であった。本品との因果関係が否定できない有害事象の発現率は 2.1% (1/47 例) であった。本品との因果関係が否定できない有害事象は創部出血であった。

死亡は認められなかった。

5%以上に発現した有害事象を表 1010 に示した。

表 10 5%以上に発現した SOC 及び PT 別の有害事象 (B-VEC-EX-02 試験)

器官別大分類 基本語	継続塗布患者 (24 例)		新規患者 (23 例)		全被験者 (47 例)	
	例数 (%)	件数	例数 (%)	件数	例数 (%)	件数
全有害事象	17 (70.8)	102	18 (78.3)	72	35 (74.5)	174
感染症および寄生虫症						
COVID-19	9 (37.5)	9	6 (26.1)	8	15 (31.9)	17
皮膚感染	4 (16.7)	4	2 (8.7)	4	6 (12.8)	8
蜂巣炎	3 (12.5)	4	1 (4.3)	1	4 (8.5)	5
鼻炎	3 (12.5)	3	1 (4.3)	1	4 (8.5)	4
創傷感染	2 (8.3)	2	1 (4.3)	2	3 (6.4)	4
呼吸器、胸郭および縦隔障害						
咳嗽	6 (25.0)	8	3 (13.0)	3	9 (19.1)	11
鼻漏	2 (8.3)	2	2 (8.7)	2	4 (8.5)	4
一般・全身障害および投与部位 の状態						
発熱	5 (20.8)	7	2 (8.7)	2	7 (14.9)	9
胃腸障害						
嘔吐	2 (8.3)	2	3 (13.0)	3	5 (10.6)	5
下痢	2 (8.3)	2	1 (4.3)	1	3 (6.4)	3
代謝および栄養障害						
脱水	2 (8.3)	2	1 (4.3)	1	3 (6.4)	3

3.6. 国内第 III 相非盲検継続投与試験 (B-VEC-EX-02-JP 試験、データカットオフ日: 2025 年 1 月 7 日)

有害事象の発現率は 80.0% (4/5 例) であった。本品との因果関係が否定できない有害事象は認められなかった。

死亡は認められなかった。

有害事象を表 11 に示した。

表 11 SOC 及び PT 別の有害事象 (B-VEC-EX-02-JP 試験)

器官別大分類 基本語	全被験者 (5 例)	
	例数 (%)	件数
全有害事象	4 (80.0)	10
胃腸障害		
下痢	1 (20.0)	1

器官別大分類 基本語	全被験者 (5 例)	
	例数 (%)	件数
感染症および寄生虫症		
上咽頭炎	2 (40.0)	4
皮膚感染	1 (20.0)	1
上気道感染	1 (20.0)	1
傷害、中毒および処置合併症		
挫傷	1 (20.0)	1
皮膚および皮下組織障害		
接触皮膚炎	1 (20.0)	1
そう痒症	1 (20.0)	1

4. 施設について

本品は、DEB の診断及び治療に十分な知識・経験を持ち、かつ本品の性能を熟知し、取扱いを習得した医師により使用される必要がある。そのため、本品納入前に、製造販売業者による講習を実施し、医療従事者向け資材を用いて、本品の適正使用に関する情報を提供する。

以上から、患者の治療を行う医療機関では①、②、③を満たす施設において使用する必要がある。

① 施設について

①-1.医療機関については、下記の(1) 及び(2)を満たす施設である事

- (1) 遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物多様性の確保に関する法律（以下、「カルタヘナ法」という）に基づく第一種使用規程（名称:1 つの *ICP22* 遺伝子及び 2 つの *ICP4* 遺伝子領域を欠失し、2 つの *ICP4* 遺伝子領域にヒト VII 型コラーゲンをコードする配列が挿入された遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス 1 型 (B-VEC)) に従い、本品を適切に取扱うことが可能であること。
- (2) 本品の有効性及び安全性に関する情報を収集するため、本品に課せられている製造販売後調査を適切に実施することが可能であること。

①-2. DEB の診断、治療及び不具合・副作用発現時の対応並びに十分な知識と経験を有し、製造販売業者が実施する、本品の使用にあたっての講習を修了した医師が、本品を用いた治療の責任者として配置されており、かつ本品の使用にあたっての講習を修了した薬剤師等の調剤担当者が配置されていること。具体的には以下のすべてに該当する医師が治療の責任者として配置されていること。

治療の責任者に関する要件

- (a) 日本皮膚科学会専門医の資格を有すること
- (b) 表皮水疱症の診療に必要な学識・技術を習得していること
- (c) 製造販売業者による本品の適正使用に関する講習を受講していること
- (d) カルタヘナ法を十分に理解し、施設内における第一種使用規程に従った取扱いが行えること

② 院内の再生医療等製品に関する情報管理の体制について

再生医療等製品に関する情報管理に従事する担当者が配置され、製造販売業者からの情報窓口、有効性・安全性等に関する情報の管理及び医師等に対する情報提供、不具合・副作用が発生した場合の報告業務等が速やかに行われる体制が整っていること。

③ 不具合・副作用への対応について

③-1 施設体制に関する要件

重篤な不具合・副作用が発生した際に、当該施設又は連携施設において、発現した副作用に応じて必要な検査の結果が当日中に得られ、直ちに対応可能な体制が整っていること。

③-2 医療従事者による不具合・副作用への対応に関する要件

DEB の診療に携わる専門的な知識及び技能を有する医療従事者が不具合・副作用のモニタリングを含め主治医と情報を共有できるチーム医療体制が整備されていること。なお、その体制について、患者とその家族に十分に周知されていること。

③-3 投与医療機関における不具合・副作用の診断や対応に関して

不具合・副作用に対して、当該施設又は連携施設の専門性を有する医師と連携（副作用の診断や対応に関して指導及び支援を受けられる条件にあること）し、直ちに適切な処置ができる体制が整っていること。

5. 投与対象となる患者

遺伝学的検査または免疫蛍光染色マッピングや電子顕微鏡検査によって DEB（DDEB 又は RDEB）と確定診断された患者に適用すること。遺伝学的検査が行われている場合は、必要に応じて患者への遺伝カウンセリングの実施を検討すること。

なお、本品は、肉芽組織が十分にあり、血管新生が良好で、かつ創部が清潔で感染していないと判断される創傷に適用すること。また、他の治療法の適用も考慮し、以下の点も踏まえ、本品を適用する創傷部位を適切に選択すること。

下記に該当する患者・創傷は本品の投与対象とはならない。

- 本品の成分に対し過敏症の既往歴のある患者。
- 眼等の粘膜部位。
- 扁平上皮癌が確定診断された又は疑われる創傷。
- 皮膚移植又はジェイスにより治療が行われた直後、又は表皮が定着している部位。

6. 投与に際して留意すべき事項

- ① 添付文書等に加え、製造販売業者が提供する資料等に基づき本品の特性及び適正使用のために必要な情報を十分に理解してから使用すること。
- ② 治療開始に先立ち、患者又はその家族に有効性及び危険性を十分説明し、同意を得てから投与すること。

【投与継続の判断について】

- 創傷が閉鎖するまで同じ創傷に本品を投与し、創傷が閉鎖したら、当該創傷への投与を終了すること。
- 閉鎖創傷が再度開いた場合は、原則として新たな創傷よりも当該創傷への本品の投与を優先すること。
- 本品投与中は定期的に効果の確認を行い、改善が認められないと主治医により判断された創傷には、投与を継続しないこと。本品の国内第Ⅲ相試験（B-VEC-EX-02-JP 試験）では、副次評価項目及び主要評価項目として、それぞれ投与後 3 か月及び 6 か月における完全閉鎖率を評価している（3.項参照）。

【在宅投与に関する事項】

患者又は患者家族が在宅で投与を行う場合は、以下の条件を満たす投与者が投与すること。また、主治医は受診時には必ず、投与者が在宅での投与を適切に実施できているかどうかを確認し、在宅での投与継続が可能かどうか定期的に評価すること。

- 主治医より、在宅での本品の投与が必要と判断されていること。
- 主治医よりカルタヘナ法遵守に関する説明を受け、十分に理解していると主治医により判断されていること。

- 主治医より本品の投与に関するトレーニングを受け、自宅でも適切な手技を実施可能と主治医により判断されていること。
- 主治医による経過観察や治療方針の決定等のために定期的に受診すること、及び予期せぬ事象が発生した際に必ず受診し主治医の指示を仰ぐことについて、患者等の同意が得られていること。定期受診については、患者ごとに疾患の容態等を踏まえて適切な頻度を決定すること。
- 定期的な受診以外でも、主治医が定期的に電話等を用いて、創傷の状態や投与の状況等を確認可能であること。
- 自宅等に他と明確に区別された投与に適したスペースを確保できること。
- 自宅等での投与における保管時の温度管理、投与等に関する逸脱情報等について、主治医に適時適切な情報共有を行うことについて、患者等の同意が得られていること。

本品を投与する創傷部位については、主治医より患者又は患者家族に指導を行うこと。ただし、患者の臨床症状に応じて一定程度柔軟な対応が必要と判断される場合は、投与する創傷部位の優先度等について、あらかじめ主治医は資材を用いて患者又は患者家族に指導を行い、患者又は患者家族が十分に理解していることを確認した上で、創傷の状態や投与の状況等の主治医への連絡頻度を定めておくこと。その場合にあっては、5.投与対象となる患者の記載や添付文書等を参照し、適正な使用にあたって必要な事項を説明すること。

【カルタヘナ第一種使用規程について】

本品は、遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成15年法律第97号）第4条の規定に基づき、第一種使用規程の承認を受けた遺伝子組換え生物等を含む製品である（名称：B-VEC、承認日：令和7年6月9日、承認番号：25-36V-0005）。以下承認を受けた第一種使用規程に従い、適切に使用・管理・廃棄すること。

この第一種使用規程において、次に掲げる用語の意義は、それぞれ次のとおり定める。

- 1) 「治療施設」とは、本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の調製及び患者への投与の両方を行う施設をいう。
- 2) 「調製施設」とは、本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の調製を行うが、本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の患者への投与を行わない施設をいう。
- 3) 「投与施設」とは、本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の患者への投与を行うが、本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の調製を行わない施設をいう。
- 4) 「保管施設」とは、未開封の本遺伝子組換え生物等の原液を保管するのみで、原液の開封を伴う作業を行わない施設をいう。

本遺伝子組換え生物等の原液の保管

- (1) 本遺伝子組換え生物等の原液は、容器に密封された状態で遺伝子組換え生物等である旨を表示し、治療施設内又は調製施設内の適切に管理された冷凍庫において保管する。

本遺伝子組換え生物等の原液の希釈液の調製及びシリンジへの充填並びに保管

- (2) 本遺伝子組換え生物等の原液の添加剤ゲルでの希釈及び本遺伝子組換え生物等の希釈液の投与デバイスへの充填は、治療施設又は調製施設の他の区画と明確に区別された作業室内で行い、作業室内での本遺伝子組換え生物等の拡散を最小限に留める。
- (3) 治療施設内又は調製施設内における本遺伝子組換え生物等の希釈液の保管は、容器に入れ、漏出しない状態で遺伝子組換え生物等である旨を表示し、適切に保管する。

運搬

- (4) 本遺伝子組換え生物等の治療施設及び調製施設内での運搬は、漏出させない措置を執って行う。
- (5) 本遺伝子組換え生物等の希釈液の投与施設までの運搬は、容器に入れ、漏出させない措置を執って冷凍された状態で行う。本遺伝子組換え生物等の希釈液の投与施設内での運搬は、漏出させない措置を執って行う。

投与施設における本遺伝子組換え生物等の希釈液の保管

- (6) 投与施設において、本遺伝子組換え生物等の希釈液は、投与室内の適切に管理された冷凍庫において遺伝子組換え生物等である旨を表示し、適切に保管する。

患者への投与

- (7) 本遺伝子組換え生物等の投与は、治療施設又は投与施設の決められた投与室内で、本遺伝子組換え生物等の希釈液を患者の皮膚創部に塗布する。投与時は、投与室内での本遺伝子組換え生物等の拡散を最小限に留める。

投与後の患者からの排出等の管理

- (8) 投与後、患者の創部から排出される本遺伝子組換え生物等の環境への拡散が最小限となるよう、医師の判断により必要とされる期間対策を講じる。
- (9) 投与を受けた患者が本遺伝子組換え生物等の投与を受けた治療施設以外の医療施設（以下「外部医療施設」という。）で治療を受ける場合には、本遺伝子組換え生物等の投与後、排出等の管理が不要となるまでの期間、外部医療施設に対し第一種使用規程の承認を受けた遺伝子組換え生物等が投与された患者であることが情報提供されるよう、当該患者に適切な指導を行う。
- (10) 本遺伝子組換え生物等の投与後、排出等の管理が不要となるまでの期間、患者からの本遺伝子組換え生物等を含む排泄物等の環境への放出を最小限に留めるよう当該患者に適切な指導を行う。

患者検体の取扱い

- (11) 患者から採取した検体（以下「検体」という。）は、治療施設及び外部医療施設（以下「施設等」という。）の規定に従って取り扱う。
- (12) 本遺伝子組換え生物等の投与後、排出等の管理が不要となるまでの期間、検体の検査が外部の受託検査機関（以下「検査機関」という。）に委託される場合は、本遺伝子組換え生物等が漏出しない容器に入れ、施設等から検査機関へ運搬する。運搬は、第一種使用規程の承認を受けている遺伝子組換え生物等が投与された患者の検体である旨を情報提供して行う。検体は検査機関の規定に従って取り扱う。
- (13) 検体の廃棄は、廃棄物の処理及び清掃に関する法律（昭和 45 年法律第 137 号）に基づいて施設等又は検査機関で定められた医療廃棄物の管理に係る規程（以下「医療廃棄物管理規程」という。）に従って行う。

感染性廃棄物等の処理

- (14) 治療施設又は調製施設における本遺伝子組換え生物等の原液の廃棄は、各施設内で不活化処理を行った上で、医療廃棄物管理規程に従って行う。
- (15) 治療施設又は調製施設における本遺伝子組換え生物等の希釈液並びに本遺伝子組換え生物等が付着した可能性のある機器及び器材の廃棄は、医療廃棄物管理規程に従って行う。再利用する機器及び器材にあっては、不活化処理を行い、十分に洗浄する。
- (16) 治療施設又は調製施設において生じた本遺伝子組換え生物等の原液の廃棄を感染性廃棄物処理業者に委託する場合には、本遺伝子組換え生物等の原液は、漏出しない容器に入れた上で他の医療廃棄物と区別して保管し、感染性廃棄物処理業者へ運搬し、廃棄物の処理及び清掃に関する法律施行令（昭和 46 年政令第 300 号）の別表第 1 の 4 の項に定める感染性廃棄物（以下「感染性廃棄物」という。）として廃棄する。運搬は、第一種使用規程の承認を受けている遺伝子組換え生物等を含む廃棄物である旨を情報提供して行う。
- (17) 治療施設又は調製施設において生じた本遺伝子組換え生物等の希釈液等の廃棄を感染性廃棄物処理業者に委託する場合には、本遺伝子組換え生物等の希釈液は漏出しない容器に入れ、本遺伝子組換え生物等が付着した可能性のある機器及び器材は、二重袋等に厳重に封じ込めた状態で、感染性廃棄物処理業者へ運搬し、感染性廃棄物として廃棄する。
- (18) 投与施設において、本遺伝子組換え生物等の希釈液が付着した可能性のある機器、器材等は、二重袋等に厳重に封じ込めた状態で治療施設又は調製施設が回収し、(15) 又は (17) の規定に従って廃棄する。
- (19) 患者が自宅等で用いたドレッシング材等は、不活化処理を行い、二重袋等に厳重に封じ込めた状態で自宅等にて廃棄する。
- (20) 保管施設で保管された未開封の本遺伝子組換え生物等を廃棄する場合は、密封された状態で高圧蒸気滅菌処理、焼却処理等により不活化処理を行い、廃棄する。

最適使用推進ガイドラインの取扱いに係る通知について

平成 29 年 9 月 13 日中央社会保険医療協議会了承

1. 本制度の趣旨

医薬品は、添付文書等に基づいた適正な使用が求められる。また、昨今、革新的かつ非常に高額な医薬品が登場しているが、こうした医薬品に対して、国民負担や医療保険財政に与える影響が懸念されており、経済財政運営と改革の基本方針 2016 においても、革新的医薬品の使用の最適化推進を図ることとされている。

また、革新的な新規作用機序を有する医薬品は、薬理作用や安全性プロファイルが既存の医薬品と明らかに異なることがある。したがって、有効性及び安全性に関する情報が十分蓄積するまでの間、当該医薬品の恩恵を強く受けることが期待される患者に対して使用するとともに、副作用が発現した際に必要な対応を迅速にとることが可能な一定の要件を満たす医療機関で使用する事が重要である。

そのため、新規作用機序を有する革新的な医薬品については、当該医薬品の最適な使用を推進する観点から必要な患者及び医療機関等の要件、考え方及び留意事項を示すガイドライン（以下「GL」という。）を審査と並行して作成する。

2. 対象医薬品

本制度の趣旨を踏まえ、以下の観点を総合的に判断。投与対象となる患者数が非常に多く、多施設で使用される可能性が高い医薬品を対象とする。

- ① 薬理作用が既存の医薬品と比較して大きく異なる
- ② 安全性のプロファイルが既存の医薬品と比較して大きく異なり、使用の上で特別な注意が必要
- ③ 既存の医薬品と比較した有効性が著しく高い
- ④ 既存の医薬品と比較した臨床的位置づけが異なり、より広い患者に使用される可能性が高い
- ⑤ 他の疾患を対象とした開発（効能又は効果の追加）等による使用患者の拡大の可能性

3. 手続き

- 対象となると考えられる医薬品が承認申請された場合、直近の薬事・食品衛生審議会の担当部会に報告。
- 関係学会等及び PMDA に GL 案の検討を依頼。
- 対象医薬品の承認について審議等を行う部会で GL 案を事務局が説明、了承を得る。
- 対象医薬品の薬価収載の審議を行う中央社会保険医療協議会（以下「中医協」）総会で GL 案を事務局が報告、了承を得る。
※効能追加等の一部変更承認の場合には、中医協には事後的に報告する。
- 対象医薬品の薬価収載までに、保険適用上の留意事項と GL を通知。

最適使用推進GLが策定された再生医療等製品の
保険適用上の留意事項について

1 概要

- 今般、下記の品目について、最適使用推進ガイドラインが策定されたので、それに係る保険適用上の留意事項を検討したい。

2 対象品目の概要

品目	製造販売業者	GLが策定された効能・効果
バイジュベックゲル	K r y s t a l B i o t e c h J a p a n (株)	栄養障害型表皮水疱症

3 留意事項の内容

(1) 共通

基本的考え方として、対象品目について、最適使用推進GLに従って使用する旨を明記。

(2) 診療報酬明細書の摘要欄に記載を求める事項

① 治療の責任者の要件への該当性

(参考) 最適使用推進ガイドライン(案) ベレマゲン ゲペルパベク～栄養障害型表皮水疱症患者～(抄)

① 施設について

- ①-2. DEB の診断、治療及び不具合・副作用発現時の対応並びに十分な知識と経験を有し、製造販売業者が実施する、本品の使用にあたっての講習を修了した医師が、本品を用いた治療の責任者として配置されており、かつ本品の使用にあたっての講習を修了した薬剤師等の調剤担当者が配置されていること。具体的には以下のすべてに該当する医師が治療の責任者として配置されていること。

治療の責任者に関する要件

- (a) 日本皮膚科学会専門医の資格を有すること
- (b) 表皮水疱症の診療に必要な学識・技術を習得していること
- (c) 製造販売業者による本品の適正使用に関する講習を受講していること
- (d) カルタヘナ法を十分に理解し、施設内における第一種使用規定に従った取扱いが行えること

② 患者又は患者家族が在宅で投与を行う場合の要件への該当性

(参考) 最適使用推進ガイドライン(案) ベレマゲン ゲペルパベク～栄養障害型表皮水疱症患者～(抄)

【在宅投与に関する事項】

患者又は患者家族が在宅で投与を行う場合は、以下の条件を満たす投与者が投与すること。また、主治医は受診時には必ず、投与者が在宅での投与を適切に実施できているかどうかを確認し、在宅での投与継続が可能かどうか定期的に評価すること。

- ・主治医より、在宅での本品投与が必要と判断されていること。
- ・主治医よりカルタヘナ法遵守に関する説明を受け、十分に理解していると主治医により判断されていること。

- ・主治医より本品の投与に関するトレーニングを受け、自宅でも適切な手技を実施可能と主治医により判断されていること。
- ・主治医による経過観察や治療方針の決定等のために定期的に受診すること、及び予期せぬ事象が発生した際に必ず受診し主治医の指示を仰ぐことについて、患者等の同意が得られていること。定期受診については、患者ごとに疾患の容態等を踏まえて適切な頻度を決定すること。
- ・定期的な受診以外でも、主治医が定期的に電話等を用いて、創傷の状態や投与の状況等を確認可能であること。
- ・自宅等に他と明確に区別された投与に適したスペースを確保できること。
- ・自宅等での投与における保管時の温度管理、投与等に関する逸脱情報等について、主治医に適時適切な情報共有を行うことについて、患者等の同意が得られていること。

③ 継続投与に当たって、診療報酬明細書の摘要欄に記載を求める事項

(参考) 最適使用推進ガイドライン(案) ベレマゲン ゲペルパベク～栄養障害型表皮水疱症患者～(抄)

【投与継続の判断について】

- ・創傷が閉鎖するまで同じ創傷に本品を投与し、創傷が閉鎖したら、当該創傷への投与を終了すること。
- ・閉鎖創傷が再度開いた場合は、原則として新たな創傷よりも当該創傷への本品の投与を優先すること。
- ・本品投与中は定期的に効果の確認を行い、改善が認められないと主治医により判断された創傷には、投与を継続しないこと。本品の国内第Ⅲ相試験(B-VEC-EX-02-JP 試験)では、副次評価項目及び主要評価項目として、それぞれ投与後3か月及び6か月における完全閉鎖率を評価している(3.項参照)。

【在宅投与に関する事項】

患者又は患者家族が在宅で投与を行う場合は、以下の条件を満たす投与者が投与すること。また、主治医は受診時には必ず、投与者が在宅での投与を適切に実施できているかどうかを確認し、在宅での投与継続が可能かどうか定期的に評価すること。

- ・主治医より、在宅での本品投与が必要と判断されていること。
- ・主治医よりカルタヘナ法遵守に関する説明を受け、十分に理解していると主治医により判断されていること。
- ・主治医より本品の投与に関するトレーニングを受け、自宅でも適切な手技を実施可能と主治医により判断されていること。
- ・主治医による経過観察や治療方針の決定等のために定期的に受診すること、及び予期せぬ事象が発生した際に必ず受診し主治医の指示を仰ぐことについて、患者等の同意が得られていること。定期受診については、患者ごとに疾患の容態等を踏まえて適切な頻度を決定すること。
- ・定期的な受診以外でも、主治医が定期的に電話等を用いて、創傷の状態や投与の状況等を確認可能であること。
- ・自宅等に他と明確に区別された投与に適したスペースを確保できること。
- ・自宅等での投与における保管時の温度管理、投与等に関する逸脱情報等について、主治医に適時適切な情報共有を行うことについて、患者等の同意が得られていること。

4 留意事項通知の発出日及び適用日

発出日：令和7年10月21日

適用日：令和7年10月22日

D P Cにおける高額な新規の医薬品等への対応について

中医協 総－ 7
7． 1 0． 1 5

- 1 新規に薬価収載された医薬品等については、DPC/PDPSにおける診療報酬点数表に反映されないことから、一定の基準に該当する医薬品等を使用した患者については、包括評価の対象外とし、次期診療報酬改定までの間、出来高算定することとしている。
包括評価の対象外とするか否かは個別DPC（診断群分類）毎に判定し、また、前年度に使用実績のない医薬品等は、当該医薬品等の標準的な使用における薬剤費（併用する医薬品含む）の見込み額が、使用していない症例の薬剤費の84%ileを包括評価の対象外とすることとしている。
- 2 令和7年8月25日に新たに効能又は効果及び用法又は用量が追加された医薬品、令和7年7月24日及び7月31日に公知申請が受理された医薬品並びに令和7年10月22日に薬価収載を予定している医薬品等のうち以下に掲げるものは、上記基準に該当する。よって、これらの薬剤を使用した患者であって当該薬剤に対応する診断群分類に該当するものについては、次期診療報酬改定までの間、出来高算定することとしてはどうか。

区分	銘 柄 名	成分名	規格単位	薬 価	効能効果	用 法 用 量	1 回投与当たりの 標準的な費用 (A)	出来高算定対象		平均在院日数を加味した 1 入院当たり標準的費用		包括範囲薬剤 の 84%tile値
								診断群分類番号	(告示) 番号	仮想投与回数 (日数) (B)	標準的費用 (A×B)	
一変	ドプテレット錠20mg	アバトロンボ パグマレイン 酸塩	20mg1錠	7, 106. 6円	持続性及び慢性免疫 性血小板減少症	通常、成人には、アバトロンボ パグとして初回投与量20mgを1日 1回、食後に経口投与する。投与 開始後、血小板数、症状に応じ て用法・用量を適宜調節する。 また、最高投与量は40mgを1日1 回とする。	7, 106. 6円/回	130110 出血性疾患（その他）				
								130110x0xxx0xx	2084	18. 00回	127, 919円	68, 932円
								130110x1xxx0xx	2087	5. 00回	35, 533円	2, 680円
一変	ケサンラ点滴静注液 350mg	ドナネマブ （遺伝子組換 え）	350mg20mL1瓶	66, 948円	アルツハイマー病に よる軽度認知障害及 び軽度の認知症の進 行抑制	通常、成人にはドナネマブ（遺 伝子組換え）として初回は 350mg、2回目は700mg、3回目は 1050mg、その後は1回1400mgを4 週間隔で、少なくとも30分かけ て点滴静注する。	(初回) 66, 948円/回 (2回目) 133, 896円/回 (3回目) 200, 844円/回 (4回目) 267, 792円/回	01021x 認知症				
								01021xxxxx0xxx	293	1. 00回	66, 948円	26, 166円
一変	カルケンス錠100mg	アカラブルチ ニブマレイン 酸塩水和物	100mg1錠	12, 921. 9円	マントル細胞リンパ 腫	・未治療の場合 ベンダムスチン塩酸塩及びリツ キンマブ（遺伝子組換え）との 併用において、通常、成人には アカラブルチニブとして1回 100mgを1日2回経口投与する。な お、患者の状態により適宜減量 する。 ・再発又は難治性の場合 通常、成人にはアカラブルチ ニブとして1回100mgを1日2回経口 投与する。なお、患者の状態に より適宜減量する。	12, 921. 9円/回 このほかに併用薬の費 用がかかる。	130030 非ホジキンリンパ腫				
								130030xx99x7xx	2007	28. 00回	508, 713円	498, 041円
								130030xx97x70x	2024	68. 00回	1, 172, 489円	908, 248円
								130030xx97x71x	2025	130. 00回	2, 120, 547円	1, 863, 590円
公知	メキシスト錠0. 5mg メキシスト錠2mg	トラメチニブ ジメチルスル ホキシド付加 物	0. 5mg1錠 2mg1錠	8, 517. 6円 31, 970. 7円	がん化学療法後に増 悪した低異型度漿液 性卵巢癌	通常、成人にはトラメチニブと して2mgを1日1回、空腹時に経口 投与する。なお、患者の状態に より適宜減量する。	31, 970. 7円/回	060030 小腸の悪性腫瘍、腹膜の悪性腫瘍 120010 卵巢・子宮附属器の悪性腫瘍				
								060030xx99x2xx	952	25. 00回	799, 268円	75, 169円
								060030xx99x31x	954	11. 00回	351, 678円	225, 490円
								060030xx97x2xx	960	32. 00回	1, 023, 062円	285, 630円
								060030xx97x3xx	961	20. 00回	639, 414円	245, 932円
								120010xx99x2xx	1836	23. 00回	735, 326円	91, 582円
								120010xx99x30x	1837	5. 00回	159, 854円	44, 000円
								120010xx99x31x	1838	9. 00回	287, 736円	103, 025円

区分	銘 柄 名	成分名	規格単位	薬 価	効能効果	用 法 用 量	1 回投与当たりの 標準的な費用 (A)	出来高算定対象		平均在院日数を加味した 1 入院当たり標準的費用		包括範囲薬剤 の 84%tile値
								診断群分類番号	(告示) 番号	仮想投与回数 (日数) (B)	標準的費用 (A×B)	
1ペー ジの続 き								120010xx97x2xx	1845	28. 00回	895, 180円	212, 736円
								120010xx97x30x	1846	12. 00回	383, 648円	75, 260円
								120010xx97x31x	1847	33. 00回	1, 055, 033円	268, 358円
								120010xx01x30x	1851	22. 00回	703, 355円	110, 434円
								120010xx01x31x	1852	43. 00回	1, 374, 740円	313, 216円
公知	リツキサン点滴静注 100mg リツキサン点滴静注 500mg	リツキシマブ (遺伝子組換 え)	100mg10mL1瓶 500mg50mL1瓶	17, 897円 89, 606円	自己免疫性溶血性貧 血	通常、リツキシマブ（遺伝子組 換え）として1回量375mg/m ² を1週 間間隔で4回点滴静注する。	107, 382円/回	130090 貧血（その他）				
								130090xx99x0xx	2073	2. 00回	214, 764円	16, 810円
								130090xx99x1xx	2074	4. 00回	429, 528円	267, 390円
								130090xx97x0xx	2075	2. 00回	214, 764円	23, 857円
								130090xx97x1xx	2076	4. 00回	429, 528円	212, 905円
新薬 (3)	ヨビバス皮下注168μgペ ン ヨビバス皮下注294μgペ ン ヨビバス皮下注420μgペ ン	パロペグテリ パラチド	168μg0. 56mL1キッ ト 294μg0. 98mL1キッ ト 420μg1. 4mL1キッ ト	571, 509円 584, 139円 596, 310円	副甲状腺機能低下症	通常、成人には、パロペグテリ パラチドを、PTH（1-34）として 1回18μgを開始用量とし、1日1 回、皮下注射する。以後、患者 の血清カルシウム濃度の十分な 管理のもとに、1日1回6～60μg の範囲で適宜用量を増減して皮 下投与するが、増量又は減量は3 μgずつ行うこと。	584, 139円/回	100240 副甲状腺機能低下症				
								100240xxxxxxxxx	1635	1. 00回	584, 139円	25, 864円
新薬	バイジュベックゲル	ベレマゲン ゲペルパベク	2瓶1組	2, 955, 232. 7円	栄養障害型表皮水疱 症	通常、週1回、本品の液滴を約 1cm×1cmの格子状になるように 皮膚創傷部に滴下塗布する。創 傷面積1cm ² あたりの投与量は2× 10 ⁷ PFU（10μL）を目安とする。	5, 910, 465. 4円/回	080110 水疱症				
								080110xxxxx0xx	1523	5. 00回	29, 552, 327円	71, 542円

※ (参考) 現行のいわゆる「高額薬剤判定」の運用方法について

- 新たに保険収載・効能追加となった高額薬剤については、医療の技術革新の導入が阻害されないよう、一定の基準に該当する薬剤を使用した患者については、当該薬剤の十分な使用実績データが収集され DPC 包括評価が可能となるまでの期間、包括評価の対象外としている（以下、当該対応を「高額薬剤判定」という。）。
- 「高額薬剤判定」は、包括評価の対象外となる薬剤および当該薬剤が使用される診断群分類を告示するいわゆる「高額薬剤告示」への追加および診断群分類の定義（傷病名・手術・処置等）を定める「定義告示」への追加の2つの作業からなり、新薬の薬価収載に合わせ、年4回実施している（なお、緊急に薬価収載された新薬については、必要に応じて追加的な判定作業を実施する）。
- 高額薬剤判定の具体的な作業は次の通り。

【高額薬剤告示への追加】

- 新たに保険適用される以下の医薬品について、その効能・効果から当該医薬品を使用する可能性のある 診断群分類（14 桁コード）を抽出する。
 - ① 新薬
 - ② 効能効果・用法用量の一部変更（薬事・食品衛生審議会で審査・報告されたもの）
 - ③ 事前評価済公知申請
- 各診断群分類について、該当医薬品を入院初日から退院まで添付文書に記載された用法・用量に従って投与した場合の投与回数（仮想投与回数）から、当該医薬品の1入院あたり薬剤費を算出する。
- 当該1入院あたりの薬剤費が、各診断群分類で使用されている1入院あたり薬剤費の84%tile 値を超えている場合、当該医薬品を高額薬剤として指定する。

【定義告示への追加】

- 類似薬効比較方式で算定された新薬であり、当該算定の際の比較薬が該当する診断群分類の定義テーブルにおいて分岐として定義されている場合は、当該新薬を定義テーブルに追加する。

保険医が投与することができる注射薬 (処方箋を交付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の追加について（案）

- 在宅自己注射指導管理料等の対象薬剤に係る運用基準（令和5年8月23日中医協総会において承認）及び学会からの要望書等を踏まえ、以下の薬剤について、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してはどうか。

1. パロペグテリパラチド徐放性製剤

【販売名】

ヨビパス皮下注168 μ gペン、同294 μ gペン及び同420 μ gペン

【効能・効果】

副甲状腺機能低下症

【用法・用量】

通常、成人には、パロペグテリパラチドを、PTH（1-34）として1回18 μ gを開始用量とし、1日1回、皮下注射する。以後、患者の血清カルシウム濃度の十分な管理のもとに、1日1回6～60 μ gの範囲で適宜用量を増減して皮下投与するが、増量又は減量は3 μ gずつ行うこと。

【薬理作用】

パロペグテリパラチドは、PTH（1-34）にリンカーを介してメトキシポリエチレングリコールを結合させたプロドラッグであり、皮下投与後、リンカー部分が加水分解することにより、PTH（1-34）が持続的に遊離する。

PTH（1-34）及び主な代謝物であるPTH（1-33）は、内因性PTH（1-84）と同様にPTH受容体に作用し、骨組織からのカルシウムの動員や腎臓の尿細管からのカルシウム再吸収の促進、小腸における活性型ビタミンD合成亢進を介した間接的なカルシウム輸送の促進により、血中カルシウム濃度を上昇させる。また、腎臓のリン再吸収を抑制すること等により、血中リン濃度を低下させる。

【主な副作用】

注射部位反応（紅斑、内出血、発疹等）、頭痛、下痢、悪心、浮動性めまい、体位性めまい、動悸 等

【必要な在宅療養指導管理材料加算】

注入器用注射針加算

【承認状況】

令和7年8月 薬事承認

(参考) 関連する告示及び通知等 (抜粋)

◎ 保険医療機関及び保険医療費担当規則 (昭和 32 年厚生省令第 15 号) (抄)

第二十条 医師である保険医の診療の具体的方針は、前十二条の規定によるほか、次に掲げるところによるものとする。

一 (略)

二 投薬

イ～ヘ (略)

ト 注射薬は、患者に療養上必要な事項について適切な注意及び指導を行い、厚生労働大臣の定める注射薬に限り投与することができることとし、その投与量は、症状の経過に応じたものでなければならない、厚生労働大臣が定めるものについては当該厚生労働大臣が定めるものごとに一回十四日分、三十日分又は九十日分を限度とする。

三～七 (略)

◎ 高齢者の医療の確保に関する法律の規定による療養の給付等の取扱い及び担当に関する基準 (昭和 58 年厚生省告示第 14 号) (抄)

第二十条 医師である保険医の診療の具体的方針は、第十二条から前条までの規定によるほか、次に掲げるところによるものとする。

一・二 (略)

三 投薬

イ～ヘ (略)

ト 注射薬は、患者に療養上必要な事項について適切な注意及び指導を行い、別に厚生労働大臣の定める注射薬に限り投与することができることとし、その投与量は、症状の経過に応じたものでなければならない、別に厚生労働大臣が定めるものについては当該別に厚生労働大臣が定めるものごとに一回十四日分、三十日分又は九十日分を限度とする。

四～八 (略)

◎ 療担規則及び薬担規則並びに療担基準に基づき厚生労働大臣が定める揭示事項等 (平成 18 年厚生労働省告示第 107 号) (抄)

第十 厚生労働大臣が定める注射薬等

一 療担規則第二十条第二号ト及び療担基準第二十条第三号トの厚生労働大臣が定める保険医が投与することができる注射薬

インスリン製剤、ヒト成長ホルモン剤、遺伝子組換え活性型血液凝固第Ⅶ因子製剤、乾燥濃縮人血液凝固第Ⅹ因子加活性化第Ⅶ因子製剤、乾燥人血液凝固第Ⅷ因子製剤、遺伝子組換え型血液凝固第Ⅷ因子製剤、乾燥人血液凝固第Ⅸ因子製剤、遺伝子組換え型血液凝固第Ⅸ因子製剤、活性化プロトロンビン複合体、乾燥人血液凝固因子抗体迂回活性複合体、性腺刺激ホルモン放出ホルモン剤、性腺刺激ホルモン製剤、ゴナドトロピン放出ホルモン誘導体、ソマトスタチンアナログ、顆粒球コロニー形成刺激因子製剤、自己連続携行式腹膜灌流用灌流液、在宅中心静脈栄養法用輸液、インターフェロンアルファ製剤、インターフェロンベータ製剤、ブプレノルフィン製剤、抗悪性腫瘍剤、グルカゴン製剤、グルカゴン様ペプチド-1受容体アゴニスト、ヒトソマトメジンC製剤、人工腎臓用透析液(在宅血液透析を行っている患者(以下「在宅血液透析患者」という。)に対して使用する場合に限る。)、血液凝固阻止剤(在宅血液透析患者に対して使用する場合に限る。)、生理食塩水(在宅血液透析患者に対して使用する場合及び本号に掲げる注射薬を投与するに当たりその溶解又は希釈に用いる場合に限る。)、プロスタグランジン₁₂製剤、モルヒネ塩酸塩製剤、エタネルセプト製剤、注射用水(本号に掲げる注射薬を投与するに当たりその溶解又は希釈に用いる場合に限る。)、ペグビソマント製剤、スマトリプタン製剤、フェンタニルクエン酸塩製剤、複方オキシコドン製剤、ベタメタゾンリン酸エステルナトリウム製剤、デキサメタゾンリン酸エステルナトリウム製剤、デキサメタゾンメタスルホ安息香酸エステルナトリウム製剤、プロトンポンプ阻害剤、H₂遮断剤、カルバゾクロムスルホン酸ナトリウム製剤、トラネキサム酸製剤、フルルビプロフェンアキセチル製剤、メトクロプラミド製剤、プロクロルペラジン製剤、ブチルスコポラミン臭化物製剤、グリチルリチン酸モノアンモニウム・グリシン・L-システイン塩酸塩配合剤、アダリムマブ製剤、エリスロポエチン(在宅血液透析又は在宅腹膜灌流を行っている患者のうち腎性貧血状態にあるものに対して使用する場合に限る。)、ダルベポエチン(在宅血液透析又は在宅腹膜灌流を行っている患者のうち腎性貧血状態にあるものに対して使用する場合に限る。)、テリパラチド製剤、アドレナリン製剤、ヘパリンカルシウム製剤、オキシコドン塩酸

塩製剤、アポモルヒネ塩酸塩製剤、セルトリズマブペゴル製剤、トシリズマブ製剤、メトレプレチン製剤、アバタセプト製剤、pH4処理酸性人免疫グロブリン(皮下注射)製剤、電解質製剤、注射用抗菌薬、エダラボン製剤(筋萎縮性側索硬化症患者に対して使用する場合に限る。)、アスホターゼ アルファ製剤、グラチラマー酢酸塩製剤、脂肪乳剤、セクキヌマブ製剤、エボロクマブ製剤、ブロダルマブ製剤、アリロクマブ製剤、ベリムマブ製剤、イクセキズマブ製剤、ゴリムマブ製剤、エミシズマブ製剤、イカチバント製剤、サリルマブ製剤、デュピルマブ製剤、ヒドロモルフォン塩酸塩製剤、インスリン・グルカゴン様ペプチド-1受容体アゴニスト配合剤、ヒドロコルチゾンコハク酸エステルナトリウム製剤、遺伝子組換えヒトvon Willebrand因子製剤、ブロスマブ製剤、アガルシダーゼ アルファ製剤、アガルシダーゼ ベータ製剤、アルグルコシダーゼ アルファ製剤、イデュルスルファーズ製剤、イミグルセラーゼ製剤、エロスルファーズ アルファ製剤、ガルスルファーズ製剤、セベリパーゼ アルファ製剤、ベラグルセラーゼ アルファ製剤、ラロニダーゼ製剤、メポリズマブ製剤、オマリズマブ製剤(季節性アレルギー性鼻炎の治療のために使用する場合を除く。)、テデュグルチド製剤、サトラリズマブ製剤、ビルトラルセン製剤、レムデシビル製剤、ガルカネズマブ製剤、オフアツムマブ製剤、ボソリチド製剤、エレヌマブ製剤、アバロパラチド酢酸塩製剤、カプラシズマブ製剤、乾燥濃縮人C1-インアクチベーター製剤、フレマネズマブ製剤(四週間に一回投与する場合に限る。)、メトトレキサート製剤、チルゼパチド製剤、ビメキズマブ製剤(四週間を超える間隔で投与する場合を除く。)、ホスレボドパ・ホスカルビドパ水和物配合剤、ペグバリアーゼ製剤、パビナフスブアルファ製剤、アバルグルコシダーゼ アルファ製剤、ラナデルマブ製剤、ネモリズマブ製剤、ペグセタコプラン製剤、ジルコプランナトリウム製剤、コンシズマブ製剤、テゼベルマブ製剤、オゾラリズマブ製剤、トラロキヌマブ製剤、エフガルチギモド アルファ・ボルヒアルロニダーゼ アルファ配合剤、ドブタミン塩酸塩製剤、ドパミン塩酸塩製剤、ノルアドレナリン製剤、ベドリズマブ製剤、ミリキズマブ製剤、乾燥濃縮人プロテインC製剤、メコバラミン製剤、ベンラリズマブ製剤、マルスタシマブ製剤、ロザノリキシズマブ製剤、レブリキズマブ製剤及びクロバリマブ製剤
二 (略)

◎ 特掲診療料の施設基準等（平成20年厚生労働省告示第63号）（抄）

第四 在宅医療

六 在宅自己注射指導管理料、間歇注入シリンジポンプ加算、持続血糖測定器加算及び注入器用注射針加算に規定する注射薬

別表第九に掲げる注射薬

六の七の四 注入器加算に規定する注射薬

別表第九の一の三に掲げる注射薬

六の十 注入ポンプ加算に規定する注射薬

別表第九の一の五に掲げる注射薬

別表第九 在宅自己注射指導管理料、間歇注入シリンジポンプ加算、持続血糖測定器加算及び注入器用注射針加算に規定する注射薬

インスリン製剤

性腺刺激ホルモン製剤

ヒト成長ホルモン剤

遺伝子組換え活性型血液凝固第Ⅶ因子製剤

遺伝子組換え型血液凝固第Ⅷ因子製剤

遺伝子組換え型血液凝固第Ⅸ因子製剤

乾燥濃縮人血液凝固第Ⅹ因子加活性化第Ⅶ因子製剤

乾燥人血液凝固第Ⅷ因子製剤

乾燥人血液凝固第Ⅸ因子製剤

顆粒球コロニー形成刺激因子製剤

性腺刺激ホルモン放出ホルモン剤

ソマトスタチンアナログ
ゴナドトロピン放出ホルモン誘導体
グルカゴン製剤
グルカゴン様ペプチド—1受容体アゴニスト
ヒトソマトメジンC製剤
インターフェロンアルファ製剤
インターフェロンベータ製剤
エタネルセプト製剤
ペグビソマント製剤
スマトリプタン製剤
グリチルリチン酸モノアンモニウム・グリシン・L—システイン塩酸塩配合剤
アダリムマブ製剤
テリパラチド製剤
アドレナリン製剤
ヘパリンカルシウム製剤
アポモルヒネ塩酸塩製剤
セルトリズマブペゴル製剤
トシリズマブ製剤
メトレレプチン製剤
アバタセプト製剤
pH 4 処理酸性人免疫グロブリン(皮下注射)製剤
アスホターゼ アルファ製剤
グラチラマー酢酸塩製剤
セクキヌマブ製剤
エボロクマブ製剤
ブロダルマブ製剤
アリロクマブ製剤
ベリムマブ製剤
イキセキズマブ製剤
ゴリムマブ製剤
エミシズマブ製剤
イカチバント製剤
サリルマブ製剤
デュピルマブ製剤
インスリン・グルカゴン様ペプチド—1受容体アゴニスト配合剤
ヒドロコルチゾンコハク酸エステルナトリウム製剤
遺伝子組換えヒト von Willebrand 因子製剤
ブロスマブ製剤
メポリズマブ製剤
オマリズマブ製剤
テデュグルチド製剤
サトラリズマブ製剤
ガルカネズマブ製剤
オフアツムマブ製剤
ボソリチド製剤
エレヌマブ製剤
アバロパラチド酢酸塩製剤
カプラシズマブ製剤

乾燥濃縮人C1ーインアクチベーター製剤
 フレマネズマブ製剤
 メトトレキサート製剤
 チルゼパチド製剤
 ビメキズマブ製剤
 ホスレボドパ・ホスカルビドパ水和物配合剤
 ペグバリアーゼ製剤
 ラナデルマブ製剤
 ネモリズマブ製剤
 ペグセタコプラン製剤
 ジルコプランナトリウム製剤
 コンシズマブ製剤
 テゼペルマブ製剤
 オゾラリズマブ製剤
 トラロキヌマブ製剤
 エフガルチギモド アルファ・ボルヒアルロニダーゼ アルファ配合剤
 ベドリズマブ製剤
 ミリキズマブ製剤
 乾燥濃縮人プロテインC製剤
 メコバラミン製剤
 ベンラリズマブ製剤
 マルスタシマブ製剤
 ロザノリキシズマブ製剤
 レブリキズマブ製剤
 クロバリマブ製剤

別表第九の一の三 注入器加算に規定する注射薬

別表九に規定する注射薬のうち、pH4処理酸性人免疫グロブリン（皮下注射）製剤、ペグセタコプラン製剤及びロザノリキシズマブ製剤以外のもの

別表第九の一の五 注入ポンプ加算に規定する注射薬

pH4処理酸性人免疫グロブリン（皮下注射）製剤
 ペグセタコプラン製剤
 ロザノリキシズマブ製剤

◎ 在宅自己注射を実施するに当たっての留意事項（保医発第0427002号 平成17年4月27日）

患者に対する注射は、医師等の有資格者が実施することが原則であるが、在宅自己注射を実施するに当たっては、以下の点に留意すること。

- （１）在宅自己注射に係る指導管理は、当該在宅自己注射指導管理料の算定の対象である注射薬の適応となる疾患の患者に対する診療を日常の診療において行っており、十分な経験を有する医師が行うこと。
- （２）在宅自己注射の導入前には、入院又は週2回若しくは3回以上の外来、往診若しくは訪問診療により、医師による十分な教育期間を取り、十分な指導を行うこと。
- （３）かかりつけ医師と異なる医師が在宅自己注射に係る指導管理を行う場合には、緊急時の対応等について当該かかりつけ医師とも十分な連携を図ること。
- （４）在宅自己注射の実施に伴う廃棄物の適切な処理方法等についても、併せて指導を行うこと。

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

在宅自己注射指導管理料の対象薬剤に係る運用基準

平成 28 年 8 月 24 日
中央社会保険医療協議会 总会
承 認
令和 5 年 8 月 23 日
改 正 案 承 認

1 対象薬剤

(1) 対象薬剤の要件

補充療法等の頻回投与又は発作時に緊急投与が必要で、かつ、剤形が注射によるものでなければならないもので、以下のいずれも満たすもの。

- (ア) 関連学会等のガイドライン等において、在宅自己注射を行うことについての診療上の必要性が確認されているもの。
- (イ) 医薬品医療機器法上の用法・用量として、維持期における投与間隔が概ね 4 週間以内のもの。
- (ウ) 上記を踏まえ、在宅自己注射指導管理料対象薬剤への追加の要望があるもの。

なお、学会からの要望書については、下記①～⑤までの事項が記載されているものであること。

- ① 自己注射の安全性の確認
- ② 自己注射の対象となる患者の要件
- ③ 使用にあたっての具体的な留意点（廃棄物の適切な処理方法を含む使用法の指導、病状の確認頻度、予想される副作用への対応等）
- ④ 頻回投与や長期間の治療が必要になる理由
- ⑤ 在宅自己注射指導管理料に関し、在宅療養指導管理材料加算を要望する場合は、要望する加算の名称及び理由

- (エ) 発作時に緊急投与が必要な薬剤及び補充療法に使用する薬剤以外の薬剤については、上記（ア）～（ウ）に加え、要望書を提出した学会以外の学会の意見を確認する等、診療上の必要性について十分な確認がなされていること。

(2) バイオ後続品の追加

先行バイオ医薬品が在宅自己注射指導管理料の対象となっているバイオ後続品については、当分の間、個別品目毎に中医協において審議する。

(3) 既存の対象薬剤の再評価

既に対象となった薬剤については、その使用状況等を踏まえ、定期的に見直すこととし、中医協において審議する。

2 対象への追加時期

(1) 医薬品のうち、14日未満の間隔で注射を行う医薬品については、1の内容を満たす場合は、原則、薬価収載の時期にあわせ対象薬剤に追加することを検討する。

(2) 14日以上の間隔をあけて注射を行う医薬品については、14日を超える投薬が可能な場合であって(※)、1の内容を満たす場合は、原則、薬価収載の時期にあわせ対象薬剤に追加することを検討する。

※ 新医薬品については、原則、薬価への収載の日の属する月の翌月の初日から起算して1年が経過するまでの間、投薬期間が14日に制限される。

3 その他

(1) 保険医が投薬することができる注射薬の対象薬剤への追加に当たっても、本運用基準を準用する。

(2) 本運用基準は、令和5年8月23日より適用する。

D P C対象病院の退出に係る報告について

- D P C制度においては、診療報酬改定以外の時期であっても、入院基本料に係る施設基準の変更の届出により対象病床数が0となる場合については、D P C制度からの退出を認めることとしている。
- 今般、以下の3病院から、入院基本料に係る施設基準の変更の届出により対象病床数が0となる旨の届出書が提出されたため、遠賀中間医師会おんが病院については、令和7年9月1日付で、医療法人社団志朋会加納渡辺病院及び医療法人貝塚病院については、令和7年11月1日付でD P C制度から退出することとなった。

医療機関名	退出理由
遠賀中間医師会 おんが病院 (福岡県)	地域包括医療病棟への病棟再編を行うため。
医療法人社団志朋会 加納渡辺病院 (岐阜県)	地域包括医療病棟への病棟再編を行うため。
医療法人貝塚病院 (福岡県)	地域包括医療病棟への病棟再編を行うため。

令和 6 年 11 月 29 日保医発 1129 第 11 号

「D P C 制度への参加等の手続きについて」の一部改正について（抜粋）

第 1 4 D P C 制度からの退出について

（略）

（２） 退出の手続き

① （略）

② 入院基本料に係る施設基準の変更の届出により対象病床数が 0 となる場合
入院基本料に係る施設基準の変更の届出により第 1 の 1 の（２）の④イに
規定する病床数（以下「対象病床数」という。）が 0 となる病院（特定機
能病院を除く。）は、入院基本料にかかる施設基準の変更の届出と併せて、
別紙 8 「D P C 制度からの退出に係る届出書」を地方厚生（支）局医療課
長を経由して厚生労働省保険局医療課長に提出すること。

③、④ （略）

（３） （略）

（４） 退出した病院の D P C 調査への参加について

①～③ （略）

④ 入院基本料に係る施設基準の変更の届出により対象病床数が 0 となる場合又
はその他の理由により退出する場合

入院基本料に係る施設基準の変更の届出により対象病床数が 0 となった病院
又はその他の理由により退出した病院は、厚生労働省保険局医療課において定
める期間について、D P C 調査に適切に参加しなければならないものとする。