

再生医療等製品の医療保険上の取扱いについて

- 再生医療等製品の保険適用に係る取扱いについては、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ところ。

<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

- 令和 7 年 5 月 13 日に以下の再生医療等製品が薬事承認され、製造販売業者より保険収載を希望する旨の申出がなされている。

<エレビジス点滴静注>

製造販売業者：中外製薬株式会社

一般的名称：デランジストロゲン モキセパルボベク

適 応 症：デュシェンヌ型筋ジストロフィー ただし、以下のいずれも満たす場合に限る

- ・ 抗 AAVrh74 抗体が陰性の患者
- ・ 歩行可能な患者
- ・ 3 歳以上 8 歳未満の患者

- 今般、平成 26 年の中医協了承及び、本品目に係る令和 7 年 5 月 14 日、6 月 18 日及び 10 月 8 日及び本日中医協での議論に基づき、本品目の再生医療等製品の取扱いについて審議するもの。

再生医療等製品の取扱いについて

類別	遺伝子治療用製品（ウイルスベクター製品）
一般的名称	デランジストロゲン モキセパルボベク
収載希望者	中外製薬（株）
販売名	エレビジス点滴静注
形状、成分、分量等	1 バイアル（10.0mL）中に、アデノ随伴ウイルス rh74 のカプシドタンパク質を有し、デランジストロゲン モキセパルボベク マイクロジストロフィンタンパク質を発現する遺伝子を搭載した非増殖性遺伝子組換えアデノ随伴ウイルス 1.33×10^{14} ベクターゲノムを含有
承認区分	新再生医療等製品（希少疾病用再生医療等製品）
効能、効果又は性能	デュシェンヌ型筋ジストロフィー ただし、以下のいずれも満たす場合に限る <ul style="list-style-type: none"> ・ 抗 AAVrh74 抗体が陰性の患者 ・ 歩行可能な患者 ・ 3 歳以上 8 歳未満の患者
用法及び用量又は使用方法	通常、体重 10 kg 以上 70 kg 未満の患者には 1.33×10^{14} ベクターゲノム (vg) /kg を、体重 70 kg 以上の患者には 9.31×10^{15} vg を、60 分から 120 分かけて静脈内に単回投与する。本品の再投与はしないこと。本品の投与量は下記表に基づき算出する。 (表略)
医療保険上の取扱い（案）	
<p>本品目の医療保険上の取り扱いとしては以下のような対応が想定されるが、これについてどのように考えるか。</p> <p>○ <u>本品目は、米国で既に本承認されていること、また、長期の経過を確認することにより、有効性の確認が可能な状況になることが合理的に予想され、先行する米国と同様の判断になり得ると期待されることから、本品目の保険適用の手続きを進める。</u></p> <p>○ <u>審査報告書において、「本品に搭載された遺伝子発現構成体が細胞の核内にエピソームとして留まるとともに、心筋、呼吸筋及び骨格筋内で機能的なマイクロジストロフィンタンパク質を発現する。」とされ、発現するマイクロジストロフィンタンパク質が筋細胞膜に局在し筋機能を改善すること、及び本品は静脈内に注射して投与する点も医薬品のような投与方法であることを踏まえ、医薬品の例により対応することとし、薬価算定組織において償還価格について検討し、中央社会保険医療協議会総会において薬価基準への収載について審議する。</u></p>	

製品概要

販売名	エレビジス点滴静注																																												
使用目的	本品は、ヒトジストロフィンタンパク質の機能を維持するために必須のドメインのみを保持した短縮型ジストロフィン（デランジストロゲン モキセパルボベク マイクロジストロフィン、以下、「マイクロジストロフィン」）をコードする遺伝子を搭載した非増殖性組換えアデノ随伴ウイルスを成分とする再生医療等製品である。静脈内に投与された本品が患者の骨格筋細胞及び心筋細胞に感染することにより、本品に搭載された遺伝子発現構成体が細胞の核内にエピソームとして留まるとともに、心筋、呼吸筋及び骨格筋内で機能的なマイクロジストロフィンタンパク質を発現する。発現したマイクロジストロフィンタンパク質により筋細胞膜が安定化し、筋破壊を防ぐことで筋肉の減少を防ぎ、筋機能を改善することが期待される。																																												
主な使用方法	【用法及び用量又は使用方法】 通常、体重 10kg 以上 70kg 未満の患者には 1.33×10 ¹⁴ ベクターゲノム(vg)/kg を、体重 70kg 以上の患者には 9.31×10 ¹⁵ vg を、60 分から 120 分かけて静脈内に単回投与する。本品の再投与はしないこと。本品の投与量は下記表に基づき算出する。（表略）																																												
主な有用性	<p>○ 4 歳以上 8 歳未満の男児のデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象に、本品の有効性及び安全性を検討することを目的としたプラセボ対照無作為化二重盲検比較試験（国際共同第Ⅲ相試験）では、主要評価項目である、NSAA 総スコアのベースラインから本品投与後 52 週までの変化量について、調整済み平均値の群間差 [95%CI] は 0.65 [－0.45, 1.74] であり、統計的に有意な差は認められなかった一方で、運動機能の評価項目について、床上起き上がり時間、10 m 歩行/走行時間及び 4 段階段昇り時間に関して本品群ではプラセボ群と比較して改善が認められた。</p> <p>運動機能評価項目のベースラインから本品投与後 52 週までの変化量 (301 試験パート 1、mITT 集団、2023 年 9 月 13 日データカットオフ)</p> <table><tr><td></td><td></td><td>本品群 (63 例)</td><td>プラセボ群 (62 例)</td></tr><tr><td rowspan="3">床上起き上がり時間 (秒)</td><td>ベースライン</td><td>3.52±0.81 (63 例)</td><td>3.60±0.68 (62 例)</td></tr><tr><td>投与後 52 週までの変化量</td><td>－0.26±0.95 (63 例)</td><td>0.39±1.39 (61 例)</td></tr><tr><td>調整済み平均値の群間差* [95%CI]</td><td colspan="2">－0.64 [－1.06, －0.23]</td></tr><tr><td rowspan="3">10 m 歩行/走行時間 (秒)</td><td>ベースライン</td><td>4.82±0.79 (63 例)</td><td>4.92±0.73 (62 例)</td></tr><tr><td>投与後 52 週までの変化量</td><td>－0.34±0.69 (63 例)</td><td>0.09±1.03 (61 例)</td></tr><tr><td>調整済み平均値の群間差* [95%CI]</td><td colspan="2">－0.42 [－0.71, －0.13]</td></tr><tr><td rowspan="3">100 m 歩行/走行時間 (秒)</td><td>ベースライン</td><td>60.67±15.55 (63 例)</td><td>63.01±17.01 (59 例)</td></tr><tr><td>投与後 52 週までの変化量</td><td>－6.65±14.54 (59 例)</td><td>－4.18±18.46 (57 例)</td></tr><tr><td>調整済み平均値の群間差* [95%CI]</td><td colspan="2">－3.29 [－8.28, 1.70]</td></tr><tr><td rowspan="3">4 段階段昇り時間 (秒)</td><td>ベースライン</td><td>3.17±1.01 (63 例)</td><td>3.37±1.09 (61 例)</td></tr><tr><td>投与後 52 週までの変化量</td><td>－0.41±0.85 (62 例)</td><td>－0.12±1.28 (60 例)</td></tr><tr><td>調整済み平均値の群間差* [95%CI]</td><td colspan="2">－0.36 [－0.71, －0.01]</td></tr></table> <p>平均値±標準偏差 *：投与群、年齢、時点、投与群と時点の交互作用、スクリーニング時の NSAA 総スコア、副次評価項目のベースライン値、副次評価項目のベースライン値と時点の交互作用を共変量とし、分散共分散構造として無構造を仮定した反復測定混合効果モデル</p> <p>○ 臨床試験（海外第Ⅰ/Ⅱa 相試験、海外第Ⅱ相試験及び海外Ⅰb 相試験コホート 1）で本品 1.33×10¹⁴vg/kg を投与された患者における本品投与後 3 年時点の NSAA 総スコア、床上起き上がり時間及び 10m 歩行/走行時間について、外部対照（3つの臨床研究のデータから、本品の臨床試験の組入れ基準に合致した患者を抽出）と比較した結果、本品投与後の患者では、外部対照と比較して運動機能の低下は緩徐であり、その群間差は時間経過に伴い大きくなる傾向が認められた。</p>			本品群 (63 例)	プラセボ群 (62 例)	床上起き上がり時間 (秒)	ベースライン	3.52±0.81 (63 例)	3.60±0.68 (62 例)	投与後 52 週までの変化量	－0.26±0.95 (63 例)	0.39±1.39 (61 例)	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	－0.64 [－1.06, －0.23]		10 m 歩行/走行時間 (秒)	ベースライン	4.82±0.79 (63 例)	4.92±0.73 (62 例)	投与後 52 週までの変化量	－0.34±0.69 (63 例)	0.09±1.03 (61 例)	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	－0.42 [－0.71, －0.13]		100 m 歩行/走行時間 (秒)	ベースライン	60.67±15.55 (63 例)	63.01±17.01 (59 例)	投与後 52 週までの変化量	－6.65±14.54 (59 例)	－4.18±18.46 (57 例)	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	－3.29 [－8.28, 1.70]		4 段階段昇り時間 (秒)	ベースライン	3.17±1.01 (63 例)	3.37±1.09 (61 例)	投与後 52 週までの変化量	－0.41±0.85 (62 例)	－0.12±1.28 (60 例)	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	－0.36 [－0.71, －0.01]	
		本品群 (63 例)	プラセボ群 (62 例)																																										
床上起き上がり時間 (秒)	ベースライン	3.52±0.81 (63 例)	3.60±0.68 (62 例)																																										
	投与後 52 週までの変化量	－0.26±0.95 (63 例)	0.39±1.39 (61 例)																																										
	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	－0.64 [－1.06, －0.23]																																											
10 m 歩行/走行時間 (秒)	ベースライン	4.82±0.79 (63 例)	4.92±0.73 (62 例)																																										
	投与後 52 週までの変化量	－0.34±0.69 (63 例)	0.09±1.03 (61 例)																																										
	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	－0.42 [－0.71, －0.13]																																											
100 m 歩行/走行時間 (秒)	ベースライン	60.67±15.55 (63 例)	63.01±17.01 (59 例)																																										
	投与後 52 週までの変化量	－6.65±14.54 (59 例)	－4.18±18.46 (57 例)																																										
	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	－3.29 [－8.28, 1.70]																																											
4 段階段昇り時間 (秒)	ベースライン	3.17±1.01 (63 例)	3.37±1.09 (61 例)																																										
	投与後 52 週までの変化量	－0.41±0.85 (62 例)	－0.12±1.28 (60 例)																																										
	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	－0.36 [－0.71, －0.01]																																											
承認条件	1. 条件及び期限付承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中は、本品の長期の有効性及び安全性の確認を目的とした臨床試験並びに本品を使用する全症例を対象とした製造販売後調査により製造販売後承認条件評価を行うこと。 2. デュシェンヌ型筋ジストロフィーに関する十分な知識及び経験を有する医師が、本品の臨床試験成績及び有害事象等の知識を十分に習得した上で、デュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療に係る体制が整った医療機関において、「効能、効果又は性能」並びに「用法及び用量又は使用方法」を遵守して本品を用いるよう、関連学会との協力により作成された適正使用指針の周知等、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。																																												