中医協　総－６参考２

８．３．１１

令和7年4月15日

厚生労働大臣
福岡　資麿　殿

日本血栓止血学会
理事長　松本　雅則

日本小児血液・がん学会
理事長　米田　光宏

# 遺伝子組換えヒトADAMTS13（販売名：アジンマ静注用1500）の在宅自己注射指導管理料等への対象追加の要望書

先天性血栓性血小板減少性紫斑病（cTTP）はADAMTS13遺伝子の異常により、全身の微小血管に血小板血栓が形成される遺伝性疾患であり、血小板減少、溶血性貧血、腎機能障害、発熱、精神神経症状などを引き起こします。症状増悪による発作を繰り返しながら、長期的に脳、腎臓、心臓等に虚血性の臓器障害を来たすことが知られているものの、根治療法が存在しないことから、多くの場合、長期にわたる治療が必要とされます。従来の治療法として、新鮮凍結血漿（FFP）の輸注が行われてきましたが、1 回当たり数時間かかる輸注を 2～3 週ごとに行う必要があり、時間的拘束に伴う QoL 低下が非常に大きな問題となっていました。また、FFP は安全性面においてもアレルギー反応や潜在的な感染症リスクの問題を抱えており、FFP に代わる有効性・安全性・利便性に優れた治療薬が求められていました。

2024 年 3 月に本邦で承認されたアジンマ静注用 1500（以下、本剤）は世界初の遺伝子組換え ADAMTS13 製剤であり、臨床試験において優れた有効性・安全性プロファイルを示したことから、本邦における cTTP の新たな標準治療となりつつあります。小児および成人を対象として実施された日本人を含む国際共同第 3 相試験において、本剤投与下では急性 TTP イベントの発現を認めず、FFP を含む既存治療と比較してアレルギー反応を含む副作用の発現頻度も低いことが示されています。一方で、本剤の投与頻度は 2 週または 1 週ごとであるため、本剤において在宅自己注射が認められない場合、病態が安定している場合でも、患者は頻回通院を長期にわたって強いられることとなります。加えて、cTTP 治療が可能な医療機関は限定されていることから、定期補充療法は患者・介護者・医療従事者各々にとって大きな負担となります。就労・就学・育児など社会生活への影響を鑑み、通院を疾患管理上、必要最低限の頻度に抑えることが重要です。

本剤の在宅自己注射は患者の負担軽減のために有用であり、国際共同第 3b 相試験では在宅自己投与の評価も行われており、その有効性・安全性に特段の懸念が認められていない旨、製造販売企業より報告を受けています。加えて、本剤の溶解器はすでに在宅自己注射での投与実績があるインヒビター保有血友病治療薬ファイバ静注用 1000 と同一であり、本剤の在宅自己注射はファイバ静注用 1000 と同様に医師がその妥当性を慎重に検討し、患者又はその家族が適切に使用可能と判断した場合にのみ適用することを想定しています。在宅自己注射は医師の管理指導のもとで実施され、使用方法、副作用発現時の速やかな医療機関への連絡の必要性、および使用済み注射器の安全な廃棄方法などを指導することを想定しています。管理指導に関しては製造販売業者から教育資材が提供される予定です。また、両学会としても、責任をもって本剤の適切な使用が行われるよう努めます。

以上のことから、本剤の在宅自己注射は cTTP の診療上、患者負担軽減のため不可欠であり、適切な措置を講じた上で十分に実施可能であると考えることから、「在宅自己注射指導管理料」、および「注入器用注射針加算」の適用を強く要望いたします。

以上

0421 第4