中医協　総－７－１
参考１
８．１１．６

令和 8 年 6 月 8 日

厚生労働大臣
上野　賢一郎　殿

一般社団法人 日本神経免疫学会
理事長　中島　一郎

一般社団法人 日本神経学会
代表理事　和泉　唯信

一般社団法人 日本神経治療学会
理事長　青木　正志

新規補体 C5 阻害薬ゲフルリマブ皮下投与製剤の
在宅自己注射保険適用に関する要望書

拝啓　時下ますますご清栄のこととお慶び申し上げます。平素は当学会の活動に格別のご高配を賜り、厚く御礼申し上げます。

重症筋無力症（MG）は、本邦では「指定難病」に指定され、神経筋伝達異常によって引き起こされる稀な消耗性の後天性自己免疫性神経障害であり、神経筋接合部でシグナル伝達に関与するタンパク質に自己抗体が結合することによって生じます。筋力低下が全身に及ぶ全身型重症筋無力症（gMG）の具体的な臨床所見としては、不明瞭な会話、構音障害、息詰まり、嚥下障害、方向感覚の喪失、体動時及び安静時の息切れ、四肢筋力低下、運動障害、日常生活動作（ADL）の著しい低下などが挙げられます。ADL の低下によって生活の質（QOL）が低下し、社会生活に困難をきたすことは gMG 患者にとって大きな問題であり、ADL 低下を抑えることが gMG の治療上重要です。さらに、症状の管理が困難な患者では、極度の疲労感及び MG クリーゼの発現などが認められます。MG クリーゼでは、呼吸筋の筋無力症状によって呼吸困難に陥ることから、気管内挿管や人工呼吸器管理といった換気補助が必要となります。したがって、疾患を長期的にコントロールし、MG クリーゼの発現を抑制することも gMG の治療上非常に重要です。

本邦で gMG に対する有用な治療法として承認されている C5 阻害薬はエクリズマブ、ラ

保医収　0609第6号
8.6.9

ブリズマブ及びジルコプランですが、既存の治療法では入院治療や頻回な通院が必要な場合があります。

新規 C5 阻害薬ゲフルリマブは週 1 回投与の皮下投与製剤［オートインジェクター（AI）製剤及び安全装置付きプレフィルドシリンジ（PFS-SD）製剤］であり、在宅自己注射が可能となることで、治療に必要な入院や頻回な通院が不要となることから患者/介護者の負担を軽減し、ひいては QOL を向上することが期待される新規治療法です。

本剤（PFS-SD 製剤を使用）の gMG に対する有効性（ADL の改善、QOL の改善等）及び安全性は日本人 gMG 患者も参加した ALXN1720-MG-301 試験（MG-301 試験）にて確認されています。また、AI 製剤は gMG 患者での使用経験はないものの、外国人健康成人を対象とした ALXN1720-HV-103 試験（HV-103 試験）にて PFS-SD 製剤との PK 並びに PD の同等性が確認され、安全性にも差が認められなかったことから、日本人 gMG 患者においても AI 製剤は大きな問題なく使用できると考えます。ちなみに、PFS-SD 製剤を用いたときに全量投与を達成した割合は、健康成人で 100%（HV-103 試験）、gMG 患者で 99.7%（MG-301 試験）でした。同様に、AI 製剤を用いたときに全量投与を達成した割合は、健康成人で 98.9%（HV-103 試験）でした。gMG 患者を対象とした MG-301 試験における在宅自己注射で特に問題となることはありませんでした。

なお、本剤は他の C5 阻害薬と同様に髄膜炎菌感染の潜在的リスクが存在します。本剤を使用する患者に対しては、治療開始前の髄膜炎菌ワクチン接種の確認、本剤治療開始後の「患者安全性カード」携帯の徹底等の安全性確保対策を実施します。また、本剤の在宅自己注射が認められた際には、本剤の処方にあたって患者/介護者に十分な教育・指導を行います。

以上を鑑み、日本神経免疫学会、日本神経学会及び日本神経治療学会は、gMG 患者の治療選択肢を広げ、QOL 向上を高めるために本剤の在宅自己注射指導管理料の適用を強く要望いたします。何卒よろしくお願い申し上げます。

敬具