

(別添様式 1 - 1)

未承認薬・適応外薬の要望（募集対象（１）（２））

1. 要望内容に関連する事項

要 望 者 (該当するものにチェックする。)	☐ 学会 (学会名 ;) ☒ 患者団体 (患者団体名 ; 骨髓増殖性腫瘍患者・家族会 (MPN-JAPAN)) ☐ 個人 (氏名 ;)	
要望する医薬品	成 分 名 (一 般 名)	ペグインターフェロン アルファ-2a (遺伝子組換え)
	販 売 名	ペガシス皮下注 90 μ g / ペガシス皮下注 180 μ g
	会 社 名	中外製薬株式会社
	国内関連学会	日本血液学会 (選定理由) 真性多血症への適応拡大のため
	未承認薬・適応外薬の分類 (必ずいずれかをチェックする。)	☐ 未承認薬 ☒ 適応外薬
要望内容	効能・効果 (要望する効能・効果について記載する。)	真性多血症
	用法・用量 (要望する用法・用量について記載する。)	週 1 回皮下に投与する。推奨開始用量は、45 μ g/週を皮下投与する。血液学的パラメータが安定するまで、45 μ g/月ずつ徐々に増量する。最大投与量は 180 μ g/週とする。真性多血症の血液学的パラメータは、ヘマトクリット(HCT)<45% (瀉血なしで)、血小板数 $\leq 400 \times 10^9/L$ 、白血球数 $< 10 \times 10^9/L$ である。
	備 考	(特記事項等) プレフィルドシリンジあり(文献 12、P.120) ペガシス皮下注 90 μ g / ペガシス皮下注 180 μ g での両方の容量での提供の継続を要望する。血液学的にペガシス皮下注 90 μ g の継続注射で足りるた

		め。 ☐ 小児に関する要望 (該当する場合はチェックする。)
希少疾病 用医薬品 の該当性 (推定対象患者数、 推定方法 についても記載す る。)	約 <u>0.01~5.87 人/10 万</u> <u>人の発症率</u> ＜推定方法＞ 希少疾病用医薬品に該当する 骨髓増殖性腫瘍患者・家族会が発行している『骨髓増殖性腫瘍につ いて』第 12 版（2025 年 3 月発行）（文献 1）に下記の記載があり ます。 真性多血症(PV) P.18 の Q3 : PV の発症率 0.01~5.87 人/10 万人	
国内の承 認 内 容 (適応外 薬のみ)	(効能・効果及び用法・用量を記載する) 【効能・効果】 1) C 型慢性肝炎におけるウイルス血症の改善 2) B 型慢性活動性肝炎におけるウイルス血症の改善 【用法・用量】 〈C 型慢性肝炎におけるウイルス血症の改善〉 使用にあたっては、HCV-RNA が陽性であることを確認したうえで 行う。 通常、成人にはペグインターフェロン アルファ-2a（遺伝子組換え） 1 回 180 μg（インターフェロン アルファ-2a（遺伝子組換え）とし て）を週 1 回、皮下に投与する。 本剤の投与に際しては、患者の状態を考慮し、減量、中止等の適 切な処置を行うこと。 〈B 型慢性活動性肝炎におけるウイルス血症の改善〉 使用にあたっては、HBV-DNA 量の測定等によりウイルスの増殖 を確認したうえで行う。 通常、成人にはペグインターフェロン アルファ-2a（遺伝子組換え） 1 回 90 μg（インターフェロン アルファ-2a（遺伝子組換え）とし て）を週 1 回、皮下に投与する。なお、年齢、HBV-DNA 量等に応 じて、1 回の投与量を 180 μg とすることができる。 本剤の投与に際しては、患者の状態を考慮し、減量、中止等の適 2) 切な処置を行うこと。	

「医療上の必要性に係る基準」への該当性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な 1 つにチェックする。)	1. 適応疾病の重篤性 ☒ ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) ☐ イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 ☐ ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 (上記の基準に該当すると考えた根拠) 出血、血栓症のリスクがとて高い疾患である 2. 医療上の有用性 ☐ ア 既存の療法が国内にない ☐ イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている ☐ ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる (上記の基準に該当すると考えた根拠) EMA では、すでに本態性血小板血症と真性多血症に対してペガシスが承認されている。また米国の MPN Education Foundation で開催される 2 年ごとのカンファレンスにおいても、約 20 年前から、MPN の専門家により、ペガシスが標準治療として説明されてきていること。 (参考) ○MPN Education Foundation (米国) https://mpninfo.org/
追加のエビデンス (使用実態調査を含む) 収集への協力	☒ 可 ☐ 不可 (必ずいずれかをチェックする。)
備考	

2. 要望内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 (該当国にチェックし、該	☒ 米国 ☒ 英国 ☒ 独国 ☒ 仏国 ☒ 加国 ☒ 豪州 [欧米等 6 か国での承認内容] <table border="1" data-bbox="405 1953 1385 2004"> <tr> <td data-bbox="405 1953 507 2004"></td> <td data-bbox="507 1953 1385 2004">欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所に下線)</td> </tr> </table>		欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所に下線)
	欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所に下線)		

当国の承認内容を記載する。）	米国	販売名（企業名）	ペガシス（zr pharma& GmbH）
		効能・効果	1)C 型慢性肝炎におけるウイルス血症の改善 2)B 型慢性活動性肝炎におけるウイルス血症の改善
		用法・用量	週 1 回皮下投与
		備考	
	英国	販売名（企業名）	ペガシス（pharmaand GmbH (pharma&))
		効能・効果	1)C 型慢性肝炎におけるウイルス血症の改善 2)B 型慢性活動性肝炎におけるウイルス血症の改善 3)本態性血小板血症 4) <u>真性多血症</u>
		用法・用量	週 1 回皮下投与する。推奨開始用量は、 45 μ g/週 を皮下投与する。血液学的パラメータが安定するまで、 45 μ g/月 ずつ徐々に増量する。最大投与量は 180 μ g/週 とする。真性多血症の血液学的パラメータは、 HCT<45%(瀉血なし) で、血小板数 $\leq 400 \times 10^9/L$ 、白血球数 $<10 \times 10^9/L$ である。患者の状態に応じて投与量の調整、投与間隔の延長を行う。副作用が生じた場合は症状が軽減するまで減量、中止を行う。投与再開する場合は副作用が生じた用量よりも低用量で投与する。 血液学的パラメータの上昇が見られたら、患者の状態に応じて投与量、投与間隔を調整する。
		備考	EMA 承認済（文献 13、英国添付文書）
	独国	販売名（企業名）	ペガシス（pharmaand GmbH (pharma&))
		効能・効果	1)C 型慢性肝炎におけるウイルス血症の改善 2)B 型慢性活動性肝炎におけるウイルス血症の改善 3) <u>本態性血小板血症</u> 4) <u>真性多血症</u>
		用法・用量	週 1 回皮下投与する。推奨開始用量は、 45 μ g/週 を皮下投与する。血液学的パラメータが安定するまで、 45 μ g/月 ずつ

			徐々に増量する。最大投与量は $180 \mu\text{g/週}$ とする。真性多血症の血液学的パラメータは、 $\text{HCT} < 45\%$ (瀉血なしで)、血小板数 $\leq 400 \times 10^9/\text{L}$ 、白血球数 $< 10 \times 10^9/\text{L}$ である。患者の状態に応じて投与量の調整、投与間隔の延長を行う。副作用が生じた場合は症状が軽減するまで減量、中止を行う。投与再開する場合は副作用が生じた用量よりも低用量で投与する。 血液学的パラメータの上昇が見られたら、患者の状態に応じて投与量、投与間隔を調整する。
		備考	EMA 承認済 (文献 2、文献 10)
	仏国	販売名 (企業名)	ペガシス (pharmaand Gmhb (pharma&))
		効能・効果	1)C 型慢性肝炎におけるウイルス血症の改善 2)B 型慢性活動性肝炎におけるウイルス血症の改善 3) <u>本態性血小板血症</u> 4) <u>真性多血症</u>
		用法・用量	週 1 回皮下投与する。推奨開始用量は、 $45 \mu\text{g/週}$ を皮下投与する。血液学的パラメータが安定するまで、 $45 \mu\text{g/月}$ ずつ徐々に増量する。最大投与量は $180 \mu\text{g/週}$ とする。真性多血症の血液学的パラメータは、 $\text{HCT} < 45\%$ (瀉血なしで)、血小板数 $\leq 400 \times 10^9/\text{L}$ 、白血球数 $< 10 \times 10^9/\text{L}$ である。患者の状態に応じて投与量の調整、投与間隔の延長を行う。副作用が生じた場合は症状が軽減するまで減量、中止を行う。投与再開する場合は副作用が生じた用量よりも低用量で投与する。 血液学的パラメータの上昇が見られたら、患者の状態に応じて投与量、投与間隔を調整する。
	加国	備考	EMA 承認済 (文献 2、文献 10)
		販売名 (企業名)	ペガシス (pharmaand Gmhb (pharma&))
		効能・効果	1)C 型慢性肝炎におけるウイルス血症の改善

			2)B 型慢性活動性肝炎におけるウイルス血症の改善																		
		用法・用量	週 1 回皮下投与																		
		備考																			
	豪州	販売名（企業名）	ペガシス（Echo Therapeutics Pty Ltd）																		
		効能・効果	1)C 型慢性肝炎におけるウイルス血症の改善 2)B 型慢性活動性肝炎におけるウイルス血症の改善																		
		用法・用量	週 1 回皮下投与																		
		備考	プレフィルドシリンジ																		
	☒ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☒ 加国 ☒ 豪州 〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕 <table border="1"> <tr> <td></td><td colspan="2">欧米各国での標準的使用内容（要望内容に関連する箇所を下線）</td></tr> <tr> <td rowspan="5">米国</td><td>ガイドライ ン名</td><td>NCCN ガイドライン</td></tr> <tr> <td>効能・効果 （または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所）</td><td><u>真性多血症</u></td></tr> <tr> <td>用法・用量 （または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所）</td><td>週 1 回皮下投与</td></tr> <tr> <td>ガイドライン の根拠論文</td><td>NCCN ガイドライン（文献 3、4）</td></tr> <tr> <td>備考</td><td> 各種医療保険(“United”、“Cigna”、“Blue Cross Blue Shield”等)が保険適用され長年広く使用されてきている。 MPN Education Foundation (https://mpninfo.org/) のカンファレンスでも 2000 年ごろからペガシスが標準治療として説明されてきている。 保険適用で使用されている。 (MPN Advocates Network (https://www.mpn-advocates.net/) でのアンケート調査結果。非公表) </td></tr> <tr> <td rowspan="2">英国</td><td>ガイドライ ン名</td><td></td></tr> <tr> <td>効能・効果</td><td></td></tr> </table>				欧米各国での標準的使用内容（要望内容に関連する箇所を下線）		米国	ガイドライ ン名	NCCN ガイドライン	効能・効果 （または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所）	<u>真性多血症</u>	用法・用量 （または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所）	週 1 回皮下投与	ガイドライン の根拠論文	NCCN ガイドライン（文献 3、4）	備考	各種医療保険(“United”、“Cigna”、“Blue Cross Blue Shield”等)が保険適用され長年広く使用されてきている。 MPN Education Foundation (https://mpninfo.org/) のカンファレンスでも 2000 年ごろからペガシスが標準治療として説明されてきている。 保険適用で使用されている。 (MPN Advocates Network (https://www.mpn-advocates.net/) でのアンケート調査結果。非公表)	英国	ガイドライ ン名		効能・効果
	欧米各国での標準的使用内容（要望内容に関連する箇所を下線）																				
米国	ガイドライ ン名	NCCN ガイドライン																			
	効能・効果 （または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所）	<u>真性多血症</u>																			
	用法・用量 （または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所）	週 1 回皮下投与																			
	ガイドライン の根拠論文	NCCN ガイドライン（文献 3、4）																			
	備考	各種医療保険(“United”、“Cigna”、“Blue Cross Blue Shield”等)が保険適用され長年広く使用されてきている。 MPN Education Foundation (https://mpninfo.org/) のカンファレンスでも 2000 年ごろからペガシスが標準治療として説明されてきている。 保険適用で使用されている。 (MPN Advocates Network (https://www.mpn-advocates.net/) でのアンケート調査結果。非公表)																			
英国	ガイドライ ン名																				
	効能・効果																				

		(または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	<u>真性多血症</u>
		用法・用量 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	週 1 回皮下投与
		ガイドライン	

		の根拠論文	
		備考	保険適用で真性多血症に使用されている。(MPN Advocates Network でのアンケート調査結果。非公表)
	豪州	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	<u>真性多血症</u>
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	週 1 回皮下投与
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	保険適用で真性多血症に使用されている。(MPN Advocates Network でのアンケート調査結果。非公表)

3. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験、薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等＞

1)

＜海外における臨床試験等＞

1) 海外では実施済（文献 2、5、6、11）

＜日本における臨床試験等※＞

1) 日本では実施されていない。

※ICH-GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1) 不明

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞

1) NCCN ガイドライン（文献 3、4）

2) 2005. Jan Jacques Michiels, Hans Michael Kvasnicka, Juergen Thiele. Myeloproliferative Disorders -Current Perspectives on Diagnostic Criteria, Histopathology and Treatment in Essential Thrombocythemia, Polycythemia Rubra Vera, and Chronic Idiopathic Myelofibrosis（文献 7）

＜日本における教科書等＞

1) 不明

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞

1) NCCN ガイドラインに記載されている（文献 3、4）

＜日本におけるガイドライン等＞

1) 造血器腫瘍ガイドライン（妊娠中に保険適用外で使用されているという記載あり）（文献 8）

(5) 要望内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1) ペガシスについては何も実施されていない。

(6) 上記の（1）から（5）を踏まえた要望の妥当性について

＜要望効能・効果について＞

1) 真性多血症

＜要望用法・用量について＞

1) 週 1 回皮下投与

＜臨床的位置づけについて＞

1) ベスレミ（¥518,246、¥272,587）、スミフェロン(¥25,865)等と比較して、ペガシス(¥8,491)は薬価が安い。ベスレミ、スミフェロンと有効性はほとんど変わらない。ペガシスにおいても、*JAK2 V617F* のアレルバーデン値の減少効果が報告されている。医療経済的（費用対効果）に考えても、ペガシスの選択肢は必要である。また、ペガシスは、週 1 回皮下投与が必要であり、ベスレミ（1 回/2 週）よりも治療薬量のコントロールがしやすく、使いやすいと考えられる。

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

6. 参考文献一覧

文献 1) 『骨髄増殖性腫瘍について』第 12 版（2025 年 3 月発行）

文献 2) EMA Pegasys An overview of Pegasys and why it is authorized in the EU（英語版、日本語翻訳版）

文献 3) NCCN ガイドライン MPN Version 1.2025

文献 4) NCCN ガイドライン MPN Version 2.2024

文献 5) 2025. Michael Daunov, Rebecca B. Klisovic. Pegylated Interferons: Still a Major Player for the Treatment of Myeloproliferative Neoplasms

文献 6) 2012. Krisstina Gowin, et.al. Experience with pegylated Interferon α -2a In advanced myeloproliferative neoplasms in an international cohort of 118 patients.

文献 7) 2005. Jan Jacques Michiels, Hans Michael Kvasnicka, Juergen Thiele. Myeloproliferative Disorders -Current Perspectives on Diagnostic Criteria, Histopathology and Treatment in Essential Thrombocythemia, Polycythemia Rubra Vera, and Chronic Idiopathic Myelofibrosis

文献 8) 2024. 造血器腫瘍ガイドライン

文献 9) 2015. Yan Beauverd, et, al. Pegylated interferon alpha-2a for essential thrombocythemia during pregnancy, outcome and safety: a case series.

文献 10) PHARMIWEB.COM. pharma& Receives EMA A approval for Pegasys Manufacturing Site Variation, Adding Loba biotech for API Production and Securiing a Stable, Long-term Supply.

文献 11) Alfonso Quintas-Candama, et. al. Pegylated Interferon Alfa-2a Yields High Rates of Hematologic and Molecular Response in Patients With Advanced Essential Thrombocythemia and Polycythemia Vera.

文献 12) ANNEX I SUMMARY OF PRODUCT CHARACTERISTICS

米国添付文書

https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2023/103964s5276lbl.pdf

英国添付文書

<https://www.medicines.org.uk/emc/ingredient/1666#gref>

カナダ添付文書

Government of Canada, Health Canada

Product information

<https://health-products.canada.ca/dpd-bdpp/info?lang=eng&code=72399>

https://pdf.hres.ca/dpd_pm/00074540.PDF

オーストラリア

Australian Government, Department of Health and Aged Care

<https://www.tga.gov.au/resources/artg/91837>

<https://www.ebs.tga.gov.au/ebs/picmi/picmirepository.nsf/pdf?OpenAgent=&iid=CP-2022-PI-02046-1&d=20250518172310101>

<https://www.ebs.tga.gov.au/ebs/picmi/picmirepository.nsf/pdf?OpenAgent=&iid=CP-2022-CMI-02047-1>