

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する  
専門作業班（WG）の評価

＜小児 WG＞

目 次

＜代謝分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

オクトレオチド（要望番号；IVS-15）…… 1



|                              |  |  |                  |
|------------------------------|--|--|------------------|
| 要望番号                         | IVS-15   | 要望者名   | 一般社団法人 日本小児内分泌学会 |
| 要望された医薬品                     | 一般名  | オクトレオチド酢酸塩   |                  |
|                              | 会社名  | ノバルティスファーマ株式会社   |                  |
| 要望内容                         | 効能・効果  | ジアゾキシド不応性先天性高インスリン血症に伴う低血糖症状の改善  |                  |
|                              | 用法・用量  | オクトレオチドとして1日量5 µg/kg/日より開始する。1日3~4回に分けて皮下投与、又は24時間持続皮下投与する。なお、症状により適宜増減し、最高用量は25 µg/kg/日までとする。 |                  |
| 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価 | <p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>[特記事項]</p> <p>先天性高インスリン血症（以下、「CHI」）は、インスリン分泌過多により重症な低血糖症をきたす主に新生児・乳児期に発症する疾患である。高度の低血糖の持続により、てんかんが高頻度に生じる場合や発達遅延等の重篤な中枢神経後遺症に至る場合があるため、適切な血糖値の管理・維持が重要である。CHIに対しては、持続高カロリー輸液、栄養療法、ジアゾキシド内服等の内科的治療が行われており、これらの治療により血糖が維持できない場合は臍切除術が施行されることもある。しかしながら、術後に多くの患者はインスリン依存性糖尿病に至る。以上より、ジアゾキシド不応性CHIの重篤性は「ウ：その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>[特記事項]</p> <p>CHIに対する治療薬として国内外でジアゾキシドが使用されているが、ジアゾキシドはK<sub>ATP</sub>チャネル遺伝子異常等による重症例に対して無効の場合が多い。ジアゾキシド不応性CHIに対する薬物療法として、本邦では、オクトレオチド酢酸塩皮下投与、グルカゴン持続静脈内投与、カルシウム拮抗薬経口投与を順次試みるとされているが（日本小児内分泌学会・日本小児外科学会「先天性高インスリン血症診療ガイドライン」）、ジアゾキシド不応例に対して承認されている薬剤はない。以上より、有用性は、「ア：既存の治療法が国内にない」に該当すると判断した。なお、本邦においては、先進医療Bとしてジアゾキシド不応性CHI患者に対するオクトレオチド酢酸塩皮下投与の臨床研究が実施され、一定の有効性及び安全性の情報が得られている。</p> |  |                  |
| 備考                           |  |  |                  |