

「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
＜代謝・その他 WG＞

目 次

＜その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）＞
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】
本邦における適応外薬
リツキシマブ（遺伝子組換え）
（要望番号；IV-168, 169）…………… 1

| | | | |
|------------------------------|---|--|--------------|
| 要望番号 | IV-168, 169 | 要望者名 | 一般社団法人日本血液学会 |
| 要望された医薬品 | 一般名 | リツキシマブ（遺伝子組換え） | |
| | 会社名 | 全薬工業株式会社 | |
| 要望内容 | 効能・効果 | 広義の自己免疫性溶血性貧血（温式、冷式を含む） | |
| | 用法・用量 | リツキシマブ（遺伝子組換え）として1回量 375 mg/m ² を1週間間隔で計4回点滴静注する。 | |
| 「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 type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>自己免疫性溶血性貧血（以下、「AIHA」）は、赤血球膜上の抗原に対する自己抗体により赤血球の傷害及び溶血が生じる免疫性溶血性貧血の総称であり、自己抗体が体温（37℃）近くで反応する場合（温式 AIHA）と、体温以下の低温条件で反応する場合（冷式 AIHA：寒冷凝集素症〈以下、「CAD」〉）及び発作性寒冷ヘモグロビン尿症〈以下、「PCH」〉）がある。</p> <p>温式 AIHA、CAD 及び PCH の臨床像は多様であり、重度の貧血等により死亡に至る場合がある。また、慢性的に溶血が持続しステロイド剤等の長期投与が必要となった場合でも、感染症等の生命に重大な影響を及ぼす副作用を発現するおそれがある。したがって、重篤性は「ア：生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）」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 type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>要望された適応について、リツキシマブ（遺伝子組換え）（以下、「本剤」）に欧米等6カ国における承認はないものの、以下の理由等から、有用性は「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」に該当すると判断した。</p> <p>① 海外の臨床試験や国内外の症例報告等において、温式 AIHA、CAD 及び PCH に対する本剤の有用性が報告されていること（温式 AIHA：Br J Haematol 2013; 163: 393-9、Am J Hematol 2017; 92: 23-7 等、CAD：Blood 2004; 103: 2925-8、Leuk Lymphoma 2006; 47: 253-60 等、PCH：Transfusion 2007; 47: 1902-4）。また、国内外の診療ガイドラインにおいて、温式 AIHA、CAD 及び PCH に対する治療選択肢として本剤が記載されていること。</p> <p>② AIHA は臨床症状や好発年齢等、種々の観点から異なる特徴を有する病態を包含するが、自己抗体（温式抗体又は冷式抗体）</p> | | |

| | |
|-----|---|
| | により溶血が生じる病態は共通であり、B 細胞傷害作用により自己抗体の産生を抑制する本剤は、温式 AIHA、CAD 及び PCH のいずれに対しても治療効果を示すことが期待されること。 |
| 備 考 | |