

## 「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

### ＜精神・神経 WG＞

#### 目 次

＜精神・神経用薬分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

deflazacort

2

要望番号	R7-21	要望者名	
要望された医薬品	一般名	deflazacort	
	会社名	Marathon Pharmaceuticals, LLC	
要望内容	効能・効果	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	
	用法・用量	体重 1 kg 当たり 0.9 mg を 1 日 1 回経口投与する。	
「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"/> 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）</p> <p>〔特記事項〕</p> <p>デュシェンヌ型筋ジストロフィー（Duchenne muscular dystrophy ; DMD）は、3-4 歳ごろから筋力低下に伴い運動能力が低下し、10 歳前後に歩行不能となる。10 歳前から呼吸不全、心筋症の合併を認めるが、発症時期や進行には個人差がある<sup>1)</sup>。2014 年の報告によると<sup>2)</sup>、2012 年の死亡時平均年齢は 32.4 歳であり、死因の半数は心臓関連死であった。以上より、DMD は生命に重大な影響がある疾患と言える。</p> <p>1) 厚生労働科学研究委託費（障害者対策総合研究事業）筋強直性ジストロフィー治験推進のための臨床基盤整備の研究 H26-神経・筋一般-004 平成 26 年度 委託業務成果報告書（業務項目）筋ジストロフィー指定難病検討資料の作成. Tokyo: 厚生労働科学研究成果データベース.; 1999 Mar 29 Available from:<a href="https://mhlw-grants.niph.go.jp/system/files/2014/147111/201446031A/201446031A0003.pdf">https://mhlw-grants.niph.go.jp/system/files/2014/147111/201446031A/201446031A0003.pdf</a>.</p> <p>2) Saito T, Tatara K, Kawai M. [Changes in clinical condition and causes of death of inpatients with Duchenne muscular dystrophy in Japan from 1999 to 2012]. Rinsho Shinkeigaku. 2014;54(10):783-90. doi: 10.5692/clinicalneuro.54.783. PMID: 25342011.</p>	
		<p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/> 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</p> <p>〔特記事項〕</p> <p>本邦では、DMD 治療薬として deflazacort と同種同効薬の prednisolone が承認されている。また、viltolarsen や delandistrogene</p>	

	<p>moxeparvovec も DMD 治療薬として承認（条件及び期限付承認を含む）されているが、viltolarsen はジストロフィン遺伝子のエクソン 53 を標的とするアンチセンス核酸であり、適応患者はエクソン 53 欠損患者に限定され、delandistrogene moxeparvovec は遺伝子治療用製品であり、投与対象はエクソン 8 及び／又はエクソン 9 の一部又は全体の欠失変異を有さず、抗 AAVrh74 抗体が陰性である 3 歳以上 8 歳未満の歩行可能な方に限定されることから、遺伝子変異に依存せず、全ての DMD 患者に使用できる既承認薬は prednisolone に限られる。海外の診療ガイドラインにおいて、deflazacort は、prednisone（または prednisolone）とともに DMD に対する治療選択肢の一つとして推奨されており<sup>3)</sup>、DMD の標準的療法に位置づけられていると考えられる。</p> <p>3) Birnkrant DB, Bushby K, Bann CM, et al., Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and neuromuscular, rehabilitation, endocrine, and gastrointestinal and nutritional management. Lancet Neurol. 2018 Mar;17(3):251-267. doi: 10.1016/S1474-4422(18)30024-3. Epub 2018 Feb 3. PMID: 29395989.</p>
備 考	