

「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

<小児分野>

【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】

本邦における適応外薬

ダルベポエチン アルファ（遺伝子組換え）（要望番号；IV S-33） 1

要望番号	IV S-33	要望者名	日本新生児成育医学会
要望された医薬品	一般名	ダルベポエチン アルファ（遺伝子組換え）	
	会社名	協和キリン株式会社	
要望内容	効能・効果	未熟児貧血	
	用法・用量	通常、ダルベポエチン アルファ（遺伝子組換え）として1回10 µg/kgを週1回皮下投与する。ただし、早期貧血期を脱し、ヘモグロビン濃度が10 g/dL（ヘマトクリット値で30%）前後で臨床症状が安定したと考えられる場合は投与を中止すること。なお、貧血症状の程度により適宜増減する。	
「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		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 〔特記事項〕 新生児期は、胎盤呼吸から肺呼吸への移行により血中酸素濃度が上昇し、ヘモグロビンが胎児ヘモグロビンから成人ヘモグロビンへ入れ替わり、胎児ヘモグロビンは急速に減少する。また、血中酸素濃度の上昇に伴い、エリスロポエチン産生が低下する。生後2か月程度まではヘモグロビンが低下し、生理的な貧血状態となるが、通常は治療を必要としない。しかし、早産児や低出生体重児における未熟児貧血では、重度の貧血が生じ、呼吸不全（頻呼吸、無呼吸等）や心不全（頻拍、末梢循環障害等）等をきたすリスクがある。	
		(2) 医療上の有用性についての該当性 ☐ 医療上の有用性の基準には該当しない 〔特記事項〕 ダルベポエチン アルファ（遺伝子組換え）（以下、「本剤」）は、持続型の赤血球造血刺激因子（以下、「ESA」）製剤である。出生体重500～1,250 gかつ出生48時間以内の新生児を対象に海外で実施された無作為化比較試験において、主要評価項目とされた赤血球輸血の回数（平均値±標準偏差）は、本剤群（1.2±1.6回）とエポエチン アルファ（遺伝子組換え）群（1.2±2.4回）で同程度であったこと、副作用の発現割合は両群で同様であったことが報告されている（Pediatrics 2013; 132: e119-27）。 未熟児貧血に対しては、エポエチン アルファ（遺伝子組換え）、エポエチン ベータ（遺伝子組換え）等が承認されているものの、持続型のESA製剤である本剤では、投与回数の減少が期待でき、皮下投与による侵襲が大きな負担となる新生児において臨床的な意義はあるものと考えられる。しかしながら、上記の文献報告は本剤とエポエチン アルファ（遺伝子組換え）の有効	

	性及び安全性に大きな差はないことを示唆するにとどまるものであり、既承認の ESA 製剤と比較して、投与回数が少なくなることの有用性を示す具体的な根拠は示されていない。したがって、現時点において、本剤の有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れているとまでは判断できない。
備 考	