

様式第 5 号

先進医療の内容 (概要)

先進医療の名称：小児の神経因性排尿筋過活動による膀胱機能障害に対するボツリヌス毒素の膀胱内局所注入療法
適応症：小児の神経因性排尿筋過活動 (Neurogenic detrusor overactivity, NDO) による膀胱機能障害
内容： (先進性) 神経因性排尿筋過活動による膀胱機能障害に対するボツリヌス毒素の膀胱内局所注入療法は、NDO の臨床症状の改善が期待出来、侵襲性の高い膀胱拡大術を回避しつつ、長期的な腎機能保持が出来る可能性があるが、現時点で、小児における当該疾患に対する保険適応はない。さらに、本邦において小児に対する泌尿器科領域の使用実績が全くなく、小児に対する投与に関しては、手技の普及も必要と考えられる。 (概要) <試験薬の使用方法> (1) 抗菌薬 全ての被験者は治療薬投与前に抗菌薬投与を行う。 抗菌薬の投与は担当主治医の判断に基づいて行うが、投与は施術前、および、施術後 1～3 日間実施する。 (2) 麻酔 麻酔は麻酔医による管理の上、全身麻酔で行う。 (3) 試験薬の準備 A 型ボツリヌス毒素を生理食塩水 10mL で溶解する。 (4) 試験薬の投与 カテーテルを挿入し、膀胱内を空にする。 膀胱鏡を尿道から挿入し、三角部の約 1cm 上から試験薬の注射を開始する。 針先は膀胱壁に約 2mm 挿入して投与する。膀胱頂部・三角部への投与は避け、少なくとも 1cm 以上離す。1ヶ所につき 0.5mL の試験薬を、合計 20ヶ所投与する。それぞれの投与間隔は約 1cm を開けて膀胱壁に注入する。 最後の注入部では生理食塩水で注射針に残っている試験薬をフラッシュし、試験薬の規定量が被験者に完全に投与されるようにする。

(効果)

成人に対しては、すでに米国、欧州で当該疾患に対して承認が得られており、小児に対しても第 3 相試験が進んでいる。様々な臨床研究においては、小児においても有効性が確認されており、ボトックス®は、新たな治療選択肢となり得る

(先進医療にかかる費用)

本技術に係る総費用は 429,010 円である。先進医療に係る費用は 159,000 円で、このうち薬剤は企業から無償提供を受けるため、患者負担額は 101,675 円である。

様式第 3 号

先進医療の実施計画

1. 先進医療技術の名称					
小児の神経因性排尿筋過活動による膀胱機能障害に対するボツリヌス毒素の膀胱内局所注入療法					
2-1. 使用する医薬品、医療機器又は再生医療等製品について					
①使用する医療機器（未承認又は適応外のものから記載すること。）					
医療機器名	製造販売業者名及び連絡先	型式	医薬品医療機器法承認又は認証番号（16桁）	医薬品医療機器法承認又は認証上の適応（注1）	医薬品医療機器法上の適応外使用の該当（注2）
なし					
②使用する医療材料（ディスプレイザブル）及び医薬品 （未承認又は適応外のものから記載すること。）					
品目名	製造販売業者名及び連絡先	規格	医薬品医療機器法承認又は認証番号（16桁）	医薬品医療機器法承認又は認証上の適応（注1）	医薬品医療機器法上の適応外使用の該当（注2）
ボトックス注用	グラクソ・スミスクライン株式会社 カスタマー・ケア・センター TEL:0120-561-007 FAX:0120-561-047	50 単位 100 単位	22100AMX00488 22100AMX00489	眼瞼痙攣、片側顔面痙攣、痙性斜頸、上肢痙縮、下肢痙縮、2歳以上の小児脳性麻痺患者における下肢痙縮に伴う尖足、重度の原発性腋窩多汗症、斜視、痙攣性発声障害	適応外

デフラックスメタルニードル ※国内で入手可能な膀胱内局所注入が可能な医療機器として、選定。将来的に、承認予定のものがあるため、承認された際は変更予定。	光洋産業株式会社 住所：〒289-1537 千葉県山武市松尾町借毛本郷 665 電：0479-86-4141	ニードル /箱	22200BZI00002000	デフラックスを膀胱又は壁内尿管の粘膜下に注入するために使用される。	適応外
--	---	------------	------------------	-----------------------------------	-----

③使用する再生医療等製品（未承認又は適応外のものから記載すること。）

品目名	製造販売業者名及び連絡先	規格	医薬品医療機器法承認又は 認証番号 (16桁)	医薬品医療機器法承認 又は 認証上の適応 (注1)	医薬品医療機器法上の 適応外使用の該当 (注2)
なし					

④医療機器、医療材料、医薬品又は再生医療等製品が医薬品医療機器法上の適応外使用に該当する場合の医薬品医療機器法承認一部変更申請状況

医療機器名又は品目名	医薬品医療機器法承認一部変更申請状況
A型ボツリヌス毒素	申請無し
デフラックスメタルニードル	申請無し

⑤医療機器、医療材料、医薬品又は再生医療等製品が医薬品医療機器法上の未承認又は適応外使用に該当する場合の使用法等

膀胱内視鏡下で膀胱粘膜下に医薬品を局所注入する。

⑥未承認又は適応外の場合は、□にレと記載する。

✓

当該医薬品・医療機器・再生医療等製品について、薬事承認の申請時及び取得時において、申請企業から情報提供がなされることとなっている。

注1) 医薬品医療機器法承認又は認証上の使用目的、効能及び効果を記入すること。

注2) 医薬品医療機器法において適応外使用に該当する場合は「適応外」、医薬品医療機器法で承認された適応の範囲内の使用の場合は「適応内」と記載すること。

2-2. 海外での承認に関する情報

Onabotulinumtoxin A (BOTOX®) は、「抗コリン薬では効果不十分又は忍容性不良の成人患者における、神経疾患(脊髄損傷、多発性硬化症)に伴う排尿筋過活動による尿失禁」の治療薬として、2011年に米国、カナダ、欧州の主要国、中東、南米及び多くのアジア太平洋地域の国々で承認された。更に、「抗コリン薬では十分に管理できない成人のOAB」に対しても、2012年に米国、カナダ、欧州の主要国、中東、南米及び多くのアジア太平洋地域の国々で承認された。