

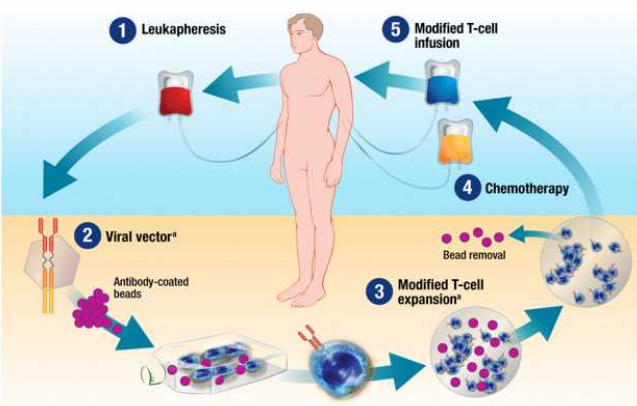
再生医療等製品の保険償還価格の算定について

類 別	ヒト細胞加工製品（ヒト体細胞加工製品）		
成 分 名	チサゲンレクルユーセル		
収 載 希 望 者	ノバルティスファーマ（株）		
販 売 名 （規格単位）	キムリア点滴静注（1患者当たり）		
効 能、効 果 又は性能	1. 再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病 2. 再発又は難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫		
主な用法及び用量 又は使用方法	<p>(1) 再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病に用いる場合 通常、25歳以下（投与時）の患者には、体重に応じて以下の投与量を単回静脈内投与する。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・体重50kg以下の場合には、CAR発現生T細胞として<math>0.2 \times 10^6 \sim 5.0 \times 10^6</math>個/kg</li> <li>・体重50kg超の場合には、CAR発現生T細胞として<math>0.1 \times 10^8 \sim 2.5 \times 10^8</math>個（体重問わず）</li> </ul> <p>(2) 再発又は難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫に用いる場合 通常、成人には、CAR発現生T細胞として<math>0.6 \times 10^8 \sim 6.0 \times 10^8</math>個（体重問わず）を単回静脈内投与する。</p>		
算 定	算定方式	原価計算方式	
	原 価 計 算	製品総原価	23,632,062円
		営業利益	4,137,694円 (流通経費を除く価格の14.9%)
		流通経費	682,000円 (消費税を除く価格の2.4% (収載希望者の自己申告に基づく))
		消費税	2,276,140円
	補正加算	有用性加算(I) (A=35%)、市場性加算(I) (A=10%)、加算係数=0.2 (加算前) (加算後) 1患者当たり 30,727,896円 → 33,493,407円	
	外国平均価格調整	なし	
算定薬価	1患者当たり 33,493,407円		
外 国 価 格		収載希望者による市場規模予測	
なし		<p>予測年度 予測本剤投与患者数 予測販売金額</p> <p>(ピーク時) 8年度 216人 72億円</p>	
<p>(参考)</p> <p>米国 (CMS) 439,388.306 ドル 48,332,714 円</p> <p>米国 (AWP) 【B-ALL】 570,000.00 ドル 62,700,000 円</p> <p>米国 (AWP) 【DLBCL】 447,600.00 ドル 49,236,000 円</p> <p>英国 (NHS) 282,000 ポンド 41,172,000 円</p> <p>独国 (Lauer-Taxe) 320,000 ユーロ 41,280,000 円</p> <p>(注1) 為替レートは平成30年4月～平成31年3月の平均</p> <p>(注2) 米国(AWP)は従来参照していたRED BOOKの価格</p>		<p>最初に承認された国 (年月) : 米国 (2017年8月)</p>	
製造販売承認日	平成31年 3月26日	薬価基準収載予定日	令和元年 5月22日

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式	原価計算方式	第一回算定組織	平成31年 4月18日
原価計算方式を採用する妥当性		新薬	類似薬がない根拠
	成分名	チサゲンレクルユーセル	本品と同様の効能・効果、薬理作用、組成及び化学構造等を有する既収載品はないことから、新薬算定最類似薬はないと判断した。
	イ. 効能・効果	1. 再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病 2. 再発又は難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫	
	ロ. 薬理作用	CAR導入T細胞依存性細胞傷害作用	
	ハ. 組成及び化学構造	抗CD19キメラ抗原受容体(CAR)発現遺伝子を患者自身のT細胞に導入したCAR発現T細胞	
ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 静脈内投与		
補正加算	画期性加算 (70~120%)	該当しない	
	有用性加算(Ⅰ) (35~60%)	該当する(A=35%) イ. 新規作用機序(異なる標的部位): ①-b=1p ハ. 治療方法の改善(不十分例): ③-a=1p 合計: 5p(有用性加算(Ⅰ))+1p+1p = 7p  以下を踏まえ、有用性加算(Ⅰ)A=35%が妥当と判断した。 ・本品は、主要組織適合遺伝子複合体(MHC)に拘束されることなくCD19陽性B細胞に特異的に結合し、抗腫瘍効果を発揮する。さらに、投与したT細胞自身が体内で活性化、増殖、生存して免疫監視機構が働き続けるため、1回の投与で持続的な抗腫瘍効果が期待できる。 ・本品の臨床試験は、再発又は難治性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病患者及び再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫患者を対象としたものであり、既存の治療方法で効果不十分な症例において、有用性が示されている。	
		有用性加算(Ⅱ) (5~30%)	該当しない
	市場性加算(Ⅰ) (10~20%)	該当する(A=10%)	
		本品は希少疾病用再生医療等製品の指定を受けている。本品と同一の効能・効果を有する薬剤はないものの、B細胞性急性リンパ芽球性白血病及びびまん性大細胞型B細胞リンパ腫に対する治療薬は既に存在することから、A=10%が妥当と判断した。	
	市場性加算(Ⅱ) (5%)	該当しない	
	小児加算 (5~20%)	該当しない	
先駆け審査指定制度加算 (10~20%)	該当しない		
新薬創出・適応外薬解消等促進加算	該当する(主な理由: 希少疾病用再生医療等製品として指定)		
費用対効果評価への該当性	該当する(H3)		
当初算定案に対する新薬収載希望者の不服意見の要点			
上記不服意見に対する見解	第二回算定組織	平成 年 月 日	

# 製品概要

販売名	キムリア点滴静注
使用目的	<p>本品はCAR-T細胞療法に使用される再生医療等製品であり、患者末梢血由来のT細胞の遺伝子を改変してキメラ抗原受容体（CAR）を発現させたものである。医薬品と同様に薬理的作用による治療効果を期待して、点滴で静脈内に投与される。</p> <p>本品に導入されるCARは、主にB細胞で発現する糖タンパク質のCD19を特異的に認識する一本鎖抗体ドメイン、及び細胞内シグナル伝達ドメイン等から構成される。一本鎖抗体ドメインがCD19を発現した細胞を認識すると、細胞内シグナル伝達ドメインに増殖、標的細胞に対する攻撃、及び細胞の持続・残存等に関する信号が伝達される。</p> <p>これらの作用により、本品はCD19陽性のB細胞性の腫瘍において、腫瘍細胞を死滅させる効果が長期に持続することが期待されている。</p>
主な使用方法	<p style="text-align: center;"><b>CTL019治療の概要</b></p>  <p>①患者の非動員末梢血単核球を採取 ②ex vivo でレンチウイルスベクターを用いたCAR遺伝子導入 ③遺伝子導入した細胞を培養、増殖後ハーベスト ④患者は前処置として、リンパ球除去化学療法を施行 ⑤CTL019を投与</p> <p><small>* Cellular reprogramming and ex vivo expansion are conducted at a cell processing facility</small></p>
主な有用性	<p>再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病の小児患者では、従来の標準治療では深い寛解の持続が難しい場合もある。</p> <p>3歳（スクリーニング時）～21歳以下（初回診断時）の再発又は難治性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病患者を対象とした国際共同第II相試験において、主要評価項目とされた全寛解率（完全寛解又は血球数回復が不十分な完全寛解）は中間解析時点（N=50）で82.0% [98.9%信頼区間：64.5%, 93.3%]であった。</p> <p>また、再発又は難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫の患者では、従来の標準治療ではそれまでの治療に抵抗性であったり、再発を繰り返す場合もあることから、治療選択肢が限られる。</p> <p>18歳以上の再発又は難治性の成人びまん性大細胞型B細胞リンパ腫患者を対象とした国際共同第II相試験において、主要評価項目とされた奏効率（完全奏効又は部分奏効）は、中間解析時点（N=51）で58.8% [99.06%信頼区間：39.8%, 76.1%]であった。</p>
承認条件	<p>1. 緊急時に十分対応できる医療施設において、造血器悪性腫瘍及び造血幹細胞移植に関する十分な知識・経験を持つ医師のもとで、サイトカイン放出症候群の管理等の適切な対応がなされる体制下で本品を使用すること。</p> <p>2. 国内での治験症例が極めて限られていることから、製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は、全症例を対象に使用の成績に関する調査を実施することにより、本品使用患者の背景情報を把握するとともに、本品の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本品の適正使用に必要な措置を講じること。</p>

# キムリア点滴静注の投与に係る技術料について

<手順>

<準用技術>

末梢血単核球の採取

K921 造血幹細胞採取(一連につき)

2 末梢血幹細胞採取

□ 自家移植の場合 17,440点



T細胞へのCAR遺伝子の導入  
細胞の培養増殖

製造施設  
(薬価)



リンパ球除去化学療法

G004 点滴注射等



投与

K922 造血幹細胞移植

2 末梢血幹細胞移植

□ 自家移植の場合 30,850点

※ 診療報酬の算定方法の一部改正に伴う実施上の留意事項について  
別添1 医科診療報酬点数表に関する事項(平成30年3月5日保医発0305第1号)

## 第10部 手術

<通則>

第1節手術料に掲げられていない手術のうち、簡単な手術の手術料は算定できないが、特殊な手術(点数表にあっても、手技が従来の手術と著しく異なる場合等を含む。)の手術料は、その都度当局に内議し、最も近似する手術として準用が通知された算定方法により算定する。

例えば、従来一般的に開胸又は開腹により行われていた手術を内視鏡下において行った場合等はこれに該当する。