

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	アキシカブタゲン シロルユーセル			
収載希望者	第一三共（株）			
販売名 （規格単位）	イエスカルタ点滴静注（1患者当たり）			
効能、効果 又は性能	以下の再発又は難治性の大細胞型B細胞リンパ腫 ・びまん性大細胞型B細胞リンパ腫、原発性縦隔大細胞型B細胞リンパ腫、形質転換濾胞性リンパ腫、高悪性度B細胞リンパ腫			
主な用法及び用量 又は使用方法	通常、成人には抗CD19 CART細胞として 2.0×10^6 個/kg（体重）を目安に（体重100kg以上の患者の最大投与量は 2×10^8 個を）、5分以上かけて30分を超えないように単回静脈内投与する。なお、本品の再投与はしないこと。			
算 定	算定方式	類似薬効比較方式（I）		
	比較薬	成分名：チサゲンレクルユーセル 会社名：ノバルティスファーマ（株）		
		販売名（規格単位）	薬価（1日薬価）	
		キムリア点滴静注 （1患者当たり）	34,113,655円 （34,113,655円）	
	補正加算	なし		
外国平均価格調整	なし			
算定薬価	1患者当たり 34,113,655円			
外国価格		収載希望者による市場規模予測		
仏国（VIDAL）	327,000 ユロ	39,567,000円	予測年度 予測本剤投与患者数 予測販売金額 （ピーク時） 5年度 232人 79億円	
（参考）				
米国（AWP）	447,600ドル	48,340,800円		
英国（NHS）	280,451ポンド	38,702,238円		
独国（Lauer-Taxce）	282,000 ユロ	34,122,000円		
（注1）為替レートは令和2年1月～令和2年12月の平均 （注2）米国（AWP）は従来参照していたRED BOOKの価格				
最初に承認された国（年月）： 米国（2017年10月）				
製造販売承認日	令和3年1月22日		薬価基準収載予定日 令和3年4月21日	

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式		類似薬効比較方式（Ⅰ）		第一回算定組織		令和3年3月23日	
最類似薬選定の妥当性			新薬		最類似薬		
	成分名		アキシカブタゲン シロルユーセル		チサゲンレクルユーセル		
	イ. 効能・効果		以下の再発又は難治性の大細胞型B細胞リンパ腫 ・びまん性大細胞型B細胞リンパ腫、原発性縦隔大細胞型B細胞リンパ腫、形質転換濾胞性リンパ腫、高悪性度B細胞リンパ腫		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		左に同じ		
	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発現生T細胞		左に同じ		
ニ. 投与形態 剤形 用法		注射 注射剤 静脈内投与		左に同じ			
補正加算	画期性加算 (70～120%)		該当しない				
	有用性加算（Ⅰ） (35～60%)		該当しない				
	有用性加算（Ⅱ） (5～30%)		該当しない				
	市場性加算（Ⅰ） (10～20%)		該当しない				
	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（H5）					
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	イエスカルタ点滴静注
使用目的	<p>本品は、患者末梢血由来のT細胞に、遺伝子組換えガンマレトロウイルスベクターを用いてCD19を特異的に認識するCAR遺伝子を導入し、培養・増殖させたT細胞を構成細胞とし、医薬品と同様に薬理的作用による治療効果を期待して、静脈内に投与される再生医療等製品である。</p> <p>本品に遺伝子導入されるCARは、CD19を特異的に認識するマウス由来scFv、ヒトCD28（細胞外ドメインの一部、膜貫通ドメイン及び細胞内ドメインの一部）、並びに細胞内シグナル伝達ドメインであるヒトCD3ζ（細胞内ドメインの一部）から構成され、CD19を発現した細胞を認識すると、導入T細胞に対して活性化、増殖、細胞傷害等のエフェクター機能の獲得をもたらす。これらの作用により、CD19陽性のB細胞性の腫瘍に対し、腫瘍細胞を死滅させる効果が期待される。</p>
主な使用方法	<p>〈医療機関での白血球アフェレーシス～製造施設への輸送〉 白血球アフェレーシスにより非動員末梢血単核球を採取する。採取した白血球アフェレーシス産物を2～8℃に設定された保冷輸送箱で梱包して本品製造施設へ輸送する。</p> <p>〈医療機関での受入れ～投与〉</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 製造施設で製造された本品を受領後、使用直前まで液体窒素気相下（-150℃以下）で凍結保存する。 ・ 本品の投与にあたり、末梢血リンパ球数等を確認し、必要に応じて前処置として、本品投与の5日前から3日間連続で、シクロホスファミド（無水物として）500 mg/m²を1日1回、フルダラビンリン酸エステル30 mg/m²を1日1回、それぞれ点滴静注する。なお、患者の状態により適宜減量する。 ・ 本品を融解後、5分以上かけて30分を超えないように単回静脈内投与する。
主な有用性	<ul style="list-style-type: none"> ・ 18歳以上の治療抵抗性又は再発の大細胞型B細胞リンパ腫患者を対象とした単群非盲検海外第I/II相試験において、101例全例で24ヵ月の観察が終了した時点において、治験責任医師判定による奏効率（完全奏効又は部分奏効を達成した患者の割合）は83.2%（95%信頼区間：74.4 - 89.9%）であった。 ・ 20歳以上の治療抵抗性又は再発の大細胞型B細胞リンパ腫日本人患者を対象とした単群非盲検国内第II相試験において、本品を投与された最初の10例での奏効率（完全奏効又は部分奏効を達成した患者の割合）は90.0%（95%信頼区間：55.5 - 99.7%）であり、事前に規定した6例以上で奏効が得られた。また、本品を投与された15例について追加解析を実施した結果、主要評価項目である治験責任医師判定による奏効率は86.7%（95%信頼区間：59.5 - 98.3%）であった。
承認条件	<ol style="list-style-type: none"> 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。 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。