

第26回患者申出療養評価会議(令和3年7月21日)における患者申出療養の科学的評価結果

整理番号	技術名	適応症等	受理日並びに告示適用日	医薬品・医療機器等情報	臨床研究 中核病院	保険給付されない費用※1※2 (「患者申出療養に係る費用」)	保険給付される費用※2 (「保険外併用療養費に係る保険者負担」)	保険外併用療養費分に 係る一部負担金※2	総評	その他 (事務的 対応等)
011	免疫グロブリンGサブクラス4 自己抗体陽性難治性慢性炎症性 脱髄性多発神経炎患者に対する リツキシマブ追加投与療法	慢性炎症性脱髄性 多発神経炎	受理日 令和3年7月1日 告示適用日 令和3年8月12日	リツキシマブ製剤 (全薬工業株式会社)	名古屋大学医学部 附属病院	79万6千円	55万4千円	23万千円	適	別紙資料

※1 医療機関は患者に自己負担額を求めることができる。
 ※2 典型的な1症例に要する費用として申請医療機関が記載した額。

令和3年9月8日

「免疫グロブリンGサブクラス4自己抗体陽性難治性慢性炎症性脱髄性多発神経炎患者に対するリツキシマブ追加投与療法（整理番号012）」の患者申出療養評価会議における評価結果の概要について

1. 患者申出療養の概要

患者申出療養の名称：免疫グロブリンGサブクラス4自己抗体陽性難治性慢性炎症性脱髄性多発神経炎患者に対するリツキシマブ追加投与療法

適応症：免疫グロブリンGサブクラス4自己抗体陽性難治性慢性炎症性脱髄性多発神経炎

内容：

（概要）IgG4 サブクラス自己抗体のうち、もっとも高頻度にみられる neurofascin-155（NF-155）抗体陽性の CIDP 患者で、過去に CIDP の治療を目的にリツキシマブを静脈内投与した患者、あるいは「免疫グロブリン G サブクラス 4（IgG4）自己抗体陽性の難治性慢性炎症性脱髄性多発神経炎（CIDP）患者に対するリツキシマブ（遺伝子組換え）の有効性及び安全性を検討する探索的臨床試験（RECIPE 試験）」に参加し、リツキシマブ又はプラセボを静脈内投与した患者において、リツキシマブを再度又は初回投与した時の有効性及び安全性を評価する。

（効果）リツキシマブ（遺伝子組換え）は、ヒト成熟 B 細胞膜上の CD20 抗原を標的に、抗体及び補体依存性の傷害機序を介して B 細胞を選択的に枯渇させ、分化後の形質細胞と抗体産生を強力かつ長期にわたり抑制可能である。Fc 受容体結合能や補体活性化機能については他のサブクラスとは異なる特徴を有する IgG4 による自己抗体陽性 CIDP に対しては、髄鞘傷害をきたす候補分子は限られていることから、他の分子標的薬よりリツキシマブ（遺伝子組換え）は効果的に病態介入が可能と考えられる。

IgG4 サブクラス自己抗体陽性 CIDP 患者に対するリツキシマブの有効性を確認した報告や名古屋大学の自験例（未発表）において、難治性の IgG4 サブクラス自己抗体陽性 CIDP 患者に対し、リツキシマブを投与した 1 例の経験があり、投与後 8 年程度にわたり抗体価陰転化とともに臨床的に完全寛解に至った事例を経験している。これらより、特に IgG4 サブクラス自己抗体陽性 CIDP 患者に高い有効性を示す可能性は高いと考えられる。

(患者申出療養に係る費用) 本研究で用いる試験薬は供給元である全薬工業株式会社から無償提供を受ける。また、試験薬の投与に際して人件費や検査費用等が必要な場合には、その費用についても全額患者の自己負担となる。

臨床研究に係る費用として、名古屋大学医学部附属病院で実施する場合には意見書作成費用として 231,000 円、1 年目の臨床研究の実施・管理費用として 539,000 円の計 770,000 円が研究開始時まで必要となる。意見書作成費用については、意見書作成の申込書を提出した段階で必要となり、何らかの理由で患者申出療養の実施が不可能となった場合にも返却されない。なお、意見書作成費用は患者一人当たりの負担を軽減するため、試験規模を勘案して規定しているため、2 例目以降の登録患者でも負担が必要である。

臨床研究中核病院	名古屋大学医学部附属病院
協力医療機関	なし

2. 患者申出療養評価会議における審議概要及び審議結果

(1) 開催日時：令和3年7月21日(木)

第26回患者申出療養評価会議

(2) 審議概要及び審議結果

名古屋大学医学部附属病院を介して、前例のない患者申出療養として患者より申出のあった新規医療技術に関して、患者申出療養評価会議において有効性・安全性、技術的妥当性、保険給付との併用の適否等にかかる観点から論点整理を進め、本会議からの指摘に対して適切な回答がなされたことをうけ、当該新規技術の申請内容が患者申出療養として妥当であると判断した。

(議論の概要等)

- ・ 当該医療技術が治験や先進医療等の他の制度で実施できない理由について、医療機関に確認したところ、今回の患者申出療養の対象は、新たな治験や拡大治験の対象とはならず、また、実施済みの医師主導治験はデータ解析の段階であり、有用な結果が得られれば、適応拡大の可能性もあることから、現時点で新たな先進医療を立ち上げる臨床的疑問や意義が乏しいため、同制度の利用は困難との回答を得た。
- ・ 事前評価担当構成員からは試験実施計画書の修正等の必要性につき指摘があったものの、いずれも事前に適切な回答が得られたため事前の総合評価としては「適」と判断された。

