

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（ヒト体性幹細胞加工製品）		
成 分 名	ダルバドストロセル		
収 載 希 望 者	武田薬品工業（株）		
販 売 名 （規格単位）	アロフィセル注（4瓶1組）		
効 能、効 果 又は性能	非活動期又は軽症の活動期クローン病患者における複雑痔瘻の治療。ただし、少なくとも1つの既存治療薬による治療を行っても効果が不十分な場合に限る。		
主な用法及び用量 又は使用方法	通常、成人にはヒト間葉系幹細胞として、1回量 120×10^6 個（4バイアル（24 mL）全量）を、最大で原発口2つまで、二次口3つまでの瘻孔に対して、搔爬等の処置を行った後に投与する。		
算 定	算定方式	原価計算方式	
	原 価 計 算	製品総原価	3,987,442円
		営業利益	731,424円 (流通経費を除く価格の15.5%)
		流通経費	290,050円 (消費税を除く価格の5.8% (収載希望者の自己申告に基づく))
		消費税	500,892円
	補正加算	市場性加算 () (A = 10%) 加算係数 0.2 (加算前) (加算後) 4瓶1組 5,509,808円 5,620,004円	
	外国平均価格調整	なし	
算定薬価	4瓶1組 5,620,004円		
外国 価 格		収載希望者による市場規模予測	
4瓶1組 仏国 54,000 € 6,912,000円 外国平均価格 6,912,000円 (注) 為替レートは令和2年10月～令和3年9月の平均		予測年度 予測本剤投与患者数 予測販売金額 (ピーク時) 10年度 920人 52億円	
最初に承認された国(年月) : 欧州(2018年3月)			
製造販売承認日	令和3年9月27日	薬価基準収載予定日	令和3年11月25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	令和3年10月26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	ダルバドストロセル	本剤と類似の薬理作用、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	非活動期又は軽症の活動期クローン病患者における複雑痔瘻の治療。ただし、少なくとも1つの既存治療薬による治療を行っても効果が不十分な場合に限る	
	ロ. 薬理作用	免疫調節作用 / 抗炎症作用	
	ハ. 組成及び化学構造	成人の皮下脂肪組織に由来する間葉系幹細胞を単離・培養したヒト（同種）体性幹細胞加工製品	
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 局所投与	
補正加算	画期性加算 (70~120%)	該当しない	
	有用性加算 () (35~60%)	該当しない	
	有用性加算 () (5~30%)	該当しない	
	市場性加算 () (10~20%)	該当する (A = 10%) 本剤は希少疾病用再生医療等製品に指定されていることから、加算の要件を満たす。	
	市場性加算 () (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	該当しない		
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	アロフィセル注
使用目的	<p>本品は、健康成人の皮下脂肪組織に由来する間葉系幹細胞を単離・培養して得たヒト（同種）脂肪組織由来幹細胞から構成され、医薬品と同様に薬理作用による治療効果を期待して複雑痔瘻の瘻管内壁に直接局所投与する再生医療等製品である。</p> <p>脂肪組織由来幹細胞は、炎症部位において、炎症性サイトカインの放出抑制、T細胞増殖抑制、制御性T細胞の誘導等の免疫調節作用を発揮することが示唆されており、本品はクローン病による複雑痔瘻に対して有効性を発揮することが期待される。</p>
主な使用方法	<p>【用法及び用量又は使用方法】</p> <p>通常、成人にはヒト間葉系幹細胞として、1回量 1.20×10^6 個（4パイアル（2.4 mL）全量）を、最大で原発口2つまで、二次口3つまでの瘻孔に対して、搔爬等の処置を行った後に投与する。</p>
主な有用性	<p>抗菌薬、免疫調節薬又は抗TNF製剤のうち1つ以上に抵抗性であった212例の複雑痔瘻を有する患者を対象とした無作為化二重盲検海外第 相試験において、主要評価項目である24週時点での複合寛解率は49.5%（95%CI：[40.1, 59.0] %）であり、プラセボ投与群と比較して統計学的に有意に高く、その群間差は15.2%（97.5%CI：[0.2, 30.3] %、p値=0.024）であった。また、副次評価項目である52週時点における複合寛解率は54.2%（95%CI：[44.8, 63.6] %）であり、プラセボ投与群と比較して統計学的に有意に高く、その群間差は17.1%（95%CI：[3.9, 30.3] %、p値=0.012）であった。</p> <p>抗菌薬、免疫調節薬又は生物学的製剤のうち1つ以上に抵抗性であった22例の複雑痔瘻を有する患者を対象とした非盲検非対照国内第 相試験において、主要評価項目である24週時点での複合寛解率は59.1%（90%CI：[41.8, 76.3] %）であった。また副次評価項目である52週時点における複合寛解率は、68.2%（90%CI：[51.8, 84.5] %）であった。</p>
承認条件	<ol style="list-style-type: none"> 1. クローン病患者における複雑痔瘻に関連する十分な知識及び経験を有する医師が、本品の使用方法に関する技能や手技に伴う合併症等の知識を十分に習得した上で、クローン病患者における複雑痔瘻の治療に係る体制が整った医療機関において「効能、効果又は性能」並びに「用法及び用量又は使用方法」を遵守して本品を用いるよう、関連学会との協力により作成された適正使用指針の周知、講習の実施等、必要な措置を講ずること。 2. 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成績調査を実施し、必要に応じ適切な措置を講ずること。