

令和4年5月23日

厚生労働大臣
後藤 茂之 殿一般社団法人 日本輸血・細胞治療学会
理事長 松下 正カプラシズマブ製剤
在宅自己注射指導管理料の保険適用に関する要望書

拝啓 時下ますますご清祥のこととお慶び申し上げます。平素は当学会の活動に格別のご高配を賜り、厚く御礼申し上げます。

本邦において、血栓性血小板減少性紫斑病（thrombotic thrombocytopenic purpura；TTP）（指定難病64）は、人口100万人当たり毎年4人（0.0004%）程度の希少疾患です。疾患は非常に重篤であり、全身の微小血管に血小板血栓を形成し、腎臓や脳などの流入血管に形成されることで臓器障害を引き起こすことが知られています。

さらにTTPは後天性と先天性に分類され、後天性TTPは血液中の止血因子であるvon Willebrand因子（VWF）を特異的に切断する酵素であるADAMTS13の活性著減により発症することが報告されています。しかしながら、この重篤な疾患に対する現在の治療法は、早期血漿交換とステロイドパルス療法などの免疫抑制薬に限られており、最近の報告においても致死率は15～20%と報告されています。

このような現状下、後天性TTP治療の新たな選択肢が求められている中で、カプラシズマブ製剤（以下、本剤）が治療薬として期待されています。海外では2018年に欧州で、その後米国でも承認され、多くの国で使用され始めており、既に国際血栓止血学会ガイドラインでも投与が推奨されています。そして現在、日本国内でも承認申請が行われているところです。

本剤は、新たなクラスの治療薬であり、単一ドメインの抗体フラグメントで構成され、自然界に存在する重鎖のみで構成される抗体を応用して開発されました。治療ターゲットをVWFとし、VWFと血小板との相互作用を阻害することで薬理作用を発揮する、1日1回投与する製剤です。海外第Ⅲ相臨床試験によると、主要評価項目である血小板数が回復するまでの時間をプラセボ群と比較して有意に短縮し、加えて副次的評価項目の入院期間を31%短縮したことが示されています。また、海外第Ⅲ相臨床試験では、入院による血漿交換治療時に本剤が投薬され、退院までの間に適切な指導を受け、在宅自己投与が可能と判断された患者においては、その後在宅自己投与がなされており、国内臨床試験でも同様の対応がとられました。このような結果を踏まえると、本剤の在宅自己投与による患者の身体的、経済的負担等の軽減に加え、医療機関においても入院期間の短縮を図ることが可能となる等有益な点が多いと考えられます。

以上の状況を鑑み、当学会として、カプラシズマブ製剤を国内上市後に速やかに在宅自己注射指導管理料算定対象薬剤としての追加することを要望いたします。

敬具