

令和4年7月1日

厚生労働大臣
後藤 茂之 殿

一般社団法人 日本血液学会
理事長 松村 到



カプラシズマブ製剤の在宅自己注射指導管理料算定対象薬剤への追加に関する要望書

拝啓 時下ますますご清栄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。

後天性血栓性血小板減少性紫斑病（TTP）は、重度の血小板減少症、溶血性貧血、及び臓器虚血を特徴とし、生命を脅かす免疫介在性の血栓性微小血管症であり、指定難病に指定されています。後天性 TTP は、a disintegrin and metalloprotease with thrombospondin type 1 motif, member 13（ADAMTS13）を阻害する自己抗体が原因で生じ、超高分子量 von Willebrand 因子多量体の処理が適切に行われなくなります。その結果、von Willebrand 因子への血小板の結合・凝集を通じ、微小血管の形成を生じさせます。現在、血漿交換と免疫抑制薬の組み合わせが主な治療法であり、これら治療法によって疾患関連死亡率が減少したにも関わらず、依然として重大な合併症は発生しています。また、現在においてもその死亡率は最大 20%に至ることから新たな治療薬の登場が待たれていました。

カプラシズマブ製剤（以下、本剤）は、同一の 2 つのヒト化免疫グロブリン重鎖ドメインと 3 個のアラニンから成るリンカーによって結合された製剤であり、von Willebrand 因子の A1 ドメインに結合することで、血小板の接着及び凝集を抑制する革新的な薬理作用を有しています。そして現在、後天性 TTP を適応症として国内製造販売承認申請が行われており、新たな治療選択肢の一つとして期待されています。

国内臨床試験では、本剤は後天性 TTP と診断された患者に対して、通常、1 日 1 回 30 日間投与されており、既に市販されている海外と同様、入院治療中から投与を開始し、退院後は患者による自己投与がなされていました。自己投与にあたっては、患者は入院中に適切な指導を受け、その適格性が確認されていました。このように自己投与導入のための適切な管理を行うことで、本剤の使用を妨げるような安全性上の問題は見られていないことが示されています。また、海外臨床試験においては、本剤投与群において入院期間の短縮が認められ、医療資源の適正化にも繋がることも示唆されています。以上の臨床試験の実施状況に加え、退院後の連日の通院に伴う患者の身体的、時間的負担の軽減を考慮すると、本剤が本邦において在宅自己投与ができることが必要であると考えます。

なお、本剤は 2018 年に欧州で最初に承認され、その後米国で承認を受け、現在は国際血栓止血学会ガイドラインでも投与推奨が記されています。また、多くの国で在宅自己注射によって疾患管理がなされていますが、後天性 TTP が極めて重篤な疾患であることに加えて、日本国内では治験での少数例の経験しかないことから、実臨床では慎重な運用が必要です。カプラシズマブ製剤の在宅自己注射が認められた場合には、日本血液学会からも適切な情報を発信し、安全な診療のための啓発活動を継続していく予定です。

以上の状況を鑑み、当学会としては、カプラシズマブ製剤が薬事承認された際には在宅自己注射指導管理料算定対象薬剤としての追加を要望するものです。

敬具