



第 DB2112-0285 号
令和 3 年 12 月 21 日

厚生労働大臣
後藤 茂之 殿

公益社団法人 日本皮膚科学会
理事長 天谷 雅行



一般社団法人 日本アレルギー学会
理事長 海老澤 元宏



一般社団法人 日本補体学会
会長 井上 徳光



ヒト C1 - インアクチベーター製剤（米国での販売名：Haegarda）
の在宅医療における在宅自己注射保険適用の要望書

遺伝性血管性浮腫（Hereditary angioedema：HAE）は、主として C1 インヒビター遺伝子（*SERPING1*）の変異により血中 C1 インアクチベーター活性の低下と血中ブラジキニン濃度の上昇が起こり、身体中の様々な部位に繰り返し浮腫を生じる疾患です。歯科治療や出産、外科手術、検査等における侵襲を伴う処置が急性発作の強力な誘因として知られていますが、多くの場合浮腫の出現は予測困難です。また、顔面、四肢の皮膚や腸管の浮腫による機能障害や腹痛のほか、気道粘膜の浮腫により呼吸困難に陥り、生命に関わる場合もあり、国の指定難病「原発性免疫不全症候群」の一つに認定されています。

HAE 患者では、C1 インアクチベーターを補充することで発作の鎮静化および新たな発作の出現を抑制することが期待でき、本剤は HAE 発作の長期予防のための皮下投与用ヒト血漿由来 C1 インアクチベーター濃縮製剤です。

本邦では、既に本剤と同一の C1 インアクチベーターを有効成分とする静注用製剤（販売名「ベリナート P 静注用 500」）が、「遺伝性血管性浮腫の急性発作」を効能効果として 1990 年に承認され、以来 30 年以上の臨床使用によりその有効性並びに安全性が確認されています。また、2017 年に「侵襲を伴う処置による遺伝性血管性浮腫の急性発作の発症抑制」の効能・効果が追加されています。

本剤は、ペリナート P の皮下投与用製剤として開発され、HAE 発作の長期予防効果を確認するための治験が実施されました。欧米各国及び本邦で実施された治験はすべて完了し、本剤の有効性及び安全性が確認されており、欧米ではすでに販売されています。これらの治験では、HAE 患者（又は介護者）による在宅自己投与を実施しており、自己注射による新たな安全性の懸念は認められておりません。

一方、本剤は 1 週間に 2 回の投与が必要であり、安定的に発作を予防するためには長期間使用し続ける必要があります。しかしながら、専門医による診療や治療が可能な施設は限られており、都市部から離れた地域では遠方の専門医を受診している患者も多く、定期的な通院を継続することは困難な場合が少なくありません。また、いつ発作が起きるか予測不能な本疾患罹患患者においては、旅行や出張による遠方への移動、新しい職場などの慣れない環境では特に不安が高くなると考えられます。

しかし、本剤は皮下注射が可能であり、患者又は家族等介護者による投与が比較的容易であることから、在宅自己注射を導入することで、より多くの患者の継続的治療が可能となります。その結果、患者及び医療従事者双方の負担が軽減されるとともに、患者の QOL は大きく向上されると考えられます。

本剤の在宅自己注射の対象となる HAE 患者は、長期にわたり本剤の使用が必要で、医療従事者による自己注射の指導を受け、かつ、医師により、確実に自己投与の実施が可能と判断された患者とします。

製造販売業者からは、主治医が患者の安全性に細心の注意を払うことに資するよう、在宅自己注射時の適正使用のための資材を用意するとの報告を受けています。また、在宅自己注射の開始に先立って、患者又は介護者が問題なく実施できるようになるまで自己注射の手技に関する指導を行い、本剤投与後に副作用の出現が疑われる場合は速やかに医療機関に連絡することと、使用済みの医療機器の安全な廃棄方法等を十分に説明及び指導する予定です。

以上の内容をご考慮頂き、ヒト C1 - インアクチベーターを有効成分とする本剤を「保険医が投与することができる注射薬」及び「在宅自己注射指導管理料」に追加されるようご配慮頂きたく、よろしくお願い申し上げます。

以上