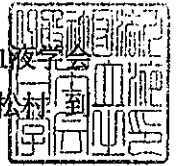


令和4年10月25日

厚生労働大臣
加藤 勝信 殿

一般社団法人 日本血液学会
理事長 松村 剛



ペグセタコプラン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。

発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）は、補体介在性の血管内・血管内外溶血と血栓症を特徴とし、生命を脅かす可能性のある、稀で慢性かつ後天性の血液疾患であり、指定難病に指定されています。

現在、PNHを適応症として国内製造販売承認申請が行われている補体C3阻害剤のペグセタコプラン製剤（以下、本剤）は、補体カスケードの上流を阻害し、PNHにおける血管内溶血及び血管外溶血を引き起こす機序を制御し、溶血作用を持続的に減少させる革新的な薬理作用を有しており、新たな治療選択肢の1つとして期待されております。本剤は2021年に米国で最初に承認され、その後に欧州などで承認され、長期の治療継続が必要となる薬剤であることから、在宅自己注射によって疾患管理がなされています。

本剤の国際臨床試験（本邦からも参加）では、PNHと診断された患者に対して、通常、週に2回、皮下投与されており、既に市販されている海外と同様、原則、在宅にて患者による自己注射がなされてきました。在宅自己注射の導入にあたり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。

本剤は、1回の投与量が20mlと高用量のためにポンプを用いて、1または2箇所から十分な時間をかけて皮下投与を行います。在宅自己注射にあたっては、医療施設において必ずPNHに十分な知識・経験を持つ医師が、その妥当性を慎重に検討し、患者若しくは介護者に本剤投与による危険性と対処法およびコンプライアンスの重要性について十分な教育訓練を実施したのち、確実に投与できることを確認した上で、医師の管理指導のもとで実施します。また、適用後に自己注射の継続が困難となる可能性がある場合には、直ちに中止させるなど、適切な処置を行います。本剤投与後に感染症の徴候や症状などの副作用発現が疑われる場合は、直ちに医療機関へ連絡するよう患者に指導を行います。また、ポンプ等に不具合が生じた場合も、速やかに医師や医療機関に連絡するように指導します。なお、本剤の製造販売業者は患者の安全性確保を最大限に高めるべく、本剤投与予定患者に対して在宅自己注射に関するポンプの使用方法を含めた投与マニュアルや動画等の教育資料およびコンプライアンス遵守に向けた患者日誌等を提供し、安全管理の取り組みを実施する予定とのことです。

臨床試験の実施状況に加え、実臨床で厳格な患者管理を行なうことで、頻回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、本剤の在宅自己注射が可能となる必要があると考えます。

ペグセタコプラン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、ペグセタコプラン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