

小児期発症難治性頻回再発型／ステロイド依存性ネフローゼ症候群（2歳以上）

第22回先進医療技術審査部会
平成26年10月9日

資料 1 - 7

同意取得・適格性判定

最長35日間
(寛解確認日から
登録まで7日以内)

登録

ランダム割付

最長
14日間

リツキシマブ治療
375 mg/m²/回（最大量500 mg/回）
1週間間隔で計4回点滴注射
+
ミコフェノール酸モフェチル群
1,000~1,200 mg/m²/日（最大2 g/日）
分2経口投与，17ヶ月間

リツキシマブ治療
375 mg/m²/回（最大量500 mg/回）
1週間間隔で計4回点滴注射
+
プラセボ群
1,000~1,200 mg/m²/日（最大2 g/日）
分2経口投与，17ヶ月間

追跡調査（試験実施期間終了まで可能な限り）

試験実施期間終了後に割付結果を開示*

*被験者が重篤な有害事象を発現した場合及び
treatment failureと判定された場合は，必要に応じて，
当該被験者の割付結果を緊急開示する

薬事承認申請までのロードマップ

試験薬：ミコフェノール酸モフェチル (MMF) (製品名：セルセプトカプセル250)

先進医療での適応疾患：小児難治性頻回再発型/ステロイド依存性ネフローゼ症候群

(小児難治性FRNS/SDNS)

臨床研究

- ・試験名：小児難治性FRNS/SDNSに対するリツキシマブ (RTX) 投与後のMMFの寛解維持効果の検討
- ・試験デザイン：単群介入研究 (ヒストリカルデータと比較)
- ・期間：2007年8月～2010年1月
- ・被験者数：RTX1回+MMF群9人、RTX1回群7人 (ヒストリカルデータ)
- ・結果の概要：平均再発回数RTX+MMF群 0.4 回/年 vs. RTX群 2.3 回/年 ($p < 0.005$)

先進医療

- ・試験名：小児難治性FRNS/SDNSを対象としたリツキシマブ治療併用下でのMMFの多施設共同二重盲検プラセボ対照ランダム化比較試験
- ・期間：先進医療承認日～4.5年間
- ・被験者数：80人
- ・主要評価項目：treatment failure (FRNS、SDNS、SRNSのいずれか) までの期間
- ・副次評価項目：無再発期間、再発回数 (回/観察人年)、ミコフェノール酸の薬物動態パラメータ、有害事象

薬事承認申請検討

欧米での現状

薬事承認：米国 無 欧州 無

国際腎臓学会ガイドライン (KDIGO) 記載：小児頻回再発型ネフローゼ症候群に対し class 2C

進行中の臨床試験：無

当該先進医療における
選択基準：小児難治性FRNS/SDNS患者
除外基準：二次性ネフローゼ症候群患者等
予想される有害事象：汎血球減少、下痢等

申請に至らなければ

新しい試験デザインの先進医療または治験の追加を検討