

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する
専門作業班（WG）の評価
＜代謝・その他 WG＞

目 次

＜代謝分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における適応外薬

レボチロキシン（要望番号；III-①-80）…… 1

本邦における未承認薬

PTH（1-84）（要望番号；III-④-21）…… 2

要望番号	III-①-80	要望者名	日本甲状腺学会 日本救急医学会 日本内分泌学会 日本病院総合診療医学会
要望された医薬品	一般名	レボチロキシナトリウム	
	会社名	APP Pharmaceuticals, LLC、Henning Berlin/Sanofi、SERB Laboratoires、PHARMACEUTICAL PARTNERS OF CANADA	
要望内容	効能・効果	粘液水腫性昏睡/重症甲状腺機能低下症	
	用法・用量	通常、成人にはレボチロキシナトリウムとして初回量 50～200 µg を静脈内注射する。その後、50～100 µg を 1 日 1 回点滴静注し、意識障害が改善するまで継続する。なお、年齢、症状により適宜増減する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項] 粘液水腫性昏睡は甲状腺機能低下症を基盤に発症し、低体温、呼吸不全及び循環不全等を起こし、適切な治療がなされない場合は死に至ることから「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項] 欧米等では、粘液水腫性昏睡又は重症の甲状腺機能低下症を適応として本薬の静注製剤が承認されている。また、米国甲状腺学会等によるガイドライン (JAMA 273, 808-812, 1995) 等では本薬の静脈内投与が標準的治療法として記載されている。現時点では、本邦で承認されている甲状腺ホルモン製剤は経口製剤のみであり、経口投与が困難な患者に対しては、経口製剤を経鼻又は経管投与する方法が行われている。しかし、粘液水腫性昏睡や重症の甲状腺機能低下症では腸間膜の浮腫や循環不全等により、薬剤の吸収が十分に得られないため、静注製剤が必要と考えられる。以上を踏まえ、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	特になし		

要望番号	III-④-21	要望者名	日本内分泌学会 日本甲状腺学会 厚生労働省難治疾患克服研究事業ホルモン受容機構異常調査研究班 個人
要望された医薬品	一般名	parathyroid hormone for injection (recombinant human parathyroid hormone)	
	会社名	NPS pharmaceuticals (Shire pharmaceuticals)	
要望内容	効能・効果	副甲状腺機能低下症の根源的治療	
	用法・用量	1日1回皮下注射により 50 µg から開始し、必要に応じて 25 µg ずつ増量して 100 µg/day まで使用する。 また、必要に応じて 25 µg ずつ減量もできる。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ウ]</p> <p>[特記事項] 副甲状腺機能低下症では、副甲状腺ホルモンの分泌低下により、低カルシウム血症及び高リン血症が発現する。既存の治療薬として、活性型ビタミンD製剤及び経口カルシウム製剤があるものの、既存治療で血清カルシウム濃度を安定して維持することが困難な患者では、低カルシウム血症による痙攣発作等が生ずること、疾患自体の合併症や既存治療の副作用により骨や大脳基底核及び小脳の石灰化が進行することで神経症状を呈することから、「ウ」に該当すると考える。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ウ]</p> <p>[特記事項] 本剤は、米国で「副甲状腺機能低下症における低カルシウム血症に対するカルシウム及びビタミンD治療の補助」を適応として承認されている。また、既存治療（活性型ビタミンD製剤及び経口カルシウム製剤）を行っている副甲状腺機能低下症患者を対象に本剤の上乗せ効果を検討したプラセボ対照二重盲検無作為化比較試験において、本剤群ではプラセボ群と比較して活性型ビタミンD製剤及び経口カルシウム製剤の必要量が有意に減少し、有害事象の発現率は両群で大きな差はなかったことが報告されている（Lancet Diabetes Endocrinol 1: 275-83, 2013）。さらに、既存治療（活性型ビタミンD製剤及び経口カルシウム製剤）では十分な治療効果が得られない場合等には本剤が治療選択肢として有用であるとする海外公表文献（Expert Rev Endocrinol Metab 10: 5-13, 2015、Best Pract Res Clin Endocrinol Metab 29: 47-55, 2015）があること等も踏まえ、「ウ」に該当すると考える。</p>		

備 考	特になし
-----	------