

2018年5月10日

厚生労働省 保険局長  
鈴木 俊彦 殿

一般社団法人 日本血栓止血学会  
理事長 嶋 緑倫



## エミシズマブ (ACE910、欧米での商品名 :HEMLIBRA) の 在宅医療における自己注射保険適用の要望書

近年、血友病の治療薬の研究開発には著しい技術革新がみられています。すでに国内においても半減期延長製剤等の新薬が広く使用され、患者さんに大きな福音をもたらしています。

さらに、現在、国内承認審査中の革新的な薬剤であるエミシズマブ（国内開発名 ACE910、欧米での商品名 :HEMLIBRA）は、米国にて既に承認されており、その有効性、利便性については、多くの国内外の血友病専門医から極めて高い評価が与えられています。

本邦においても、承認後にはエミシズマブの有用性が広く認知され、インヒビターを有する先天性血友病 A 患者の多くに飛躍的な改善効果をもたらすものと期待されます。また、エミシズマブは週 1 回の皮下注射という投与方法で使用されるため、従来の静脈注射による在宅自己注射製剤に比べ、注射手技自体も簡素となること等により、患者の心理的な負担の軽減とともに高いコンプライアンスが得られることが期待されています。米国においても患者さんが自己注射することが認められています。

先天性血友病 A 患者が出血した場合には、不足した凝固因子（凝固第 VIII 因子）の補充を行い、止血能を健常者に近づけることで止血を図ります。出血から凝固因子の補充までの時間が長いほど止血に時間が掛かり、場合によっては重篤な後遺症を残す場合があります。このような事態にならないよう、緊急の投与が不可欠とされ、昭和 56 年に在宅自己注射が保険適用となりました。その後、定期的に凝固因子を補充して出血抑制を行う「定期補充療法」も行われるようになり、血友病患者の出血回数は激減し、QOL も飛躍的に向上しました。

しかし、凝固第 VIII 因子の半減期が短いため、その投与頻度は半減期延長製剤を使用しても週 2 ~3 回の投与が必要となります。本製剤は、すでに在宅自己注射が許可されている乾燥人凝固 VIII 因子製剤の効果を代替するものですが、従来の製剤と全く同様の目的で使用されます。また週 1 回とは言え、「定期補充療法」と同様に一生涯継続しなければなりません。

本剤の在宅自己注射が保険適用されない場合、患者は週 1 回の通院を一生涯にわたり継続せざるを得なくなります。もし、通院できず投与できなかった場合には、治療の遅延に伴い頭蓋内出血などの重篤な出血や外傷性出血など生命の危機を招く可能性があります。さらに、関節内の破綻出血を繰り返すことにより、血友病性関節症を発症する危険性があります。血友病性関節症を発症すると、移動にも介助が必要となることが多く、通院がさらに困難になるばかりか、QOL, ADL の低下を招きます。本剤の在宅自己注射による治験では、自己注射に起因した有害事象はみられておらず、ほとんど全ての患者さんが市販後も在宅自己注射の継続を希望しています。

また、血友病患者に対して在宅自己注射療法を行うに当たっては、これまでも患者さんに対して、

我々専門医をはじめとする医療従事者から自己注射に関する資材を提供して、安全性等の観点から適切な投与方法や、投与のタイミング、廃棄物の処理方法等を患者や家族に十分説明・指導し、事前に手技や投与方法等が適切に行われているかを十分に確認してから使用しており、これらを引き続き徹底することで、本剤を正確かつ安全に投与することが可能であると考えます。

これらの状況を鑑み、当学会としては、医師、患者の治療の選択肢を広げ、患者さんの負担軽減及び生活の質を高めるために、エミシズマブの早期承認、および在宅自己注射の保険適用を強く要望するものであります。何卒よろしくお願い申し上げます。

以上