

先進医療Bの削除について

| | |
|-----------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 番号 | 29 |
| 先進医療名 | 脂肪萎縮症に対するレプチン補充療法 脂肪萎縮症 |
| 適応症 | 脂肪萎縮症 |
| 使用する医薬品・医療機器の分類 | 未承認医薬品 |
| 医薬品情報 | ・メトレレプチン（遺伝子組換え）（販売名：メトレレプチン皮下注用 11.25mg「シオノギ」）塩野義製薬（株） |
| 技術の概要 | 本疾患は、脂肪組織の消失あるいは減少を特徴とする遺伝性あるいは後天性の疾患である。本疾患は脂肪組織の消失とともにインスリン抵抗性が生じ、高血糖、高インスリン血症、高中性脂肪血症、非アルコール性脂肪肝など様々な代謝異常を発症する。本先進医療では、metreleptin を1日1回の自己注射にて皮下投与し、本疾患に対する長期安全性及び安定した臨床効果を確認する。本試験の実施期間は4年間とし、目標症例数は12例とする。主要エンドポイントは有害事象及び副作用とし、副次エンドポイントはHbA1c、空腹時血漿血糖、空腹時血中中性脂肪濃度、空腹時血中インスリン濃度とする。 |
| 告示年月日 | 平成22年8月1日 |
| 削除理由 | 使用する薬剤（成分名：メトレレプチン（遺伝子組換え））が、平成25年3月25日付にて薬事承認を取得し、平成25年5月24日付にて保険収載されるため。 |
| 申請医療機関 | 京都府 京都大学医学部附属病院 |
| 協力医療機関 | 福岡県 福岡大学病院 東京都 慶應義塾大学病院 |

新医薬品一覧表(平成25年5月24日収載予定)

| No. | 銘柄名 | 規格単位 | 会社名 | 成分名 | 承認区分 | 算定薬価 | 算定方式 | 補正加算等 | 薬効分類 |
|-----|----------------------------------------------|--------------------------------|----------------|--------------------|--------------|---------------------|--------------|--------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------|
| 1 | イノベロン錠100mg イノベロン錠200mg | 100mg1錠 200mg1錠 | エーザイ | ルフィナミド | 新有効成分含有医薬品 | 79.70円 130.40円 | 類似薬効比較方式(I) | 市場性加算(I) (A=10%) | 内113 抗てんかん剤(他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないLennox-Gastaut症候群における強直発作及び脱力発作に対する抗てんかん薬との併用療法用薬) |
| 2 | ノウリアスト錠20mg | 20mg1錠 | 協和発酵キリン | イストラデフィリン | 新有効成分含有医薬品 | 760.70円 | 類似薬効比較方式(I) | 有用性加算(II) (A=20%) | 内116 抗パーキンソン剤(レボドパ含有製剤で治療中のパーキンソン病におけるウェアリングオフ現象の改善) |
| 3 | レグテクト錠333mg | 333mg1錠 | 日本新薬 | アカンプロサートカルシウム | 新有効成分含有医薬品 | 50.10円 | 原価計算方式 | | 内119 その他の中枢神経系用薬(アルコール依存症患者における断酒維持の補助用薬) |
| 4 | アコファイド錠100mg | 100mg1錠 | ゼリア新薬工業 | アコチアミド塩酸塩水和物 | 新有効成分含有医薬品 | 36.20円 | 原価計算方式 | | 内239 その他の消化器官用薬(機能性ディスぺシアにおける食後の膨満感、上腹部膨満感、早期満腹感用) |
| 5 | オングリザ錠2.5mg オングリザ錠5mg | 2.5mg1錠 5mg1錠 | 協和発酵キリン | サキサグリブチン水和物 | 新有効成分含有医薬品 | 110.20円 166.00円 | 類似薬効比較方式(II) | | 内396 糖尿病用剤(2型糖尿病用薬) |
| 6 | ゼルヤンツ錠5mg | 5mg1錠 | ファイザー | トファシチニブクエン酸塩 | 新有効成分含有医薬品 | 2,539.00円 | 類似薬効比較方式(I) | | 内399 他に分類されない代謝性医薬品(既存治療で効果不十分な関節リウマチ用薬) |
| 7 | スチバーガ錠40mg | 40mg1錠 | バイエル薬品 | レゴラフェニブ水和物 | 新有効成分含有医薬品 | 5,424.30円 | 類似薬効比較方式(I) | | 内429 その他の腫瘍用薬(治療切除不能な進行・再発の結腸・直腸癌用薬) |
| 8 | メトレプレチン皮下注用11.25mg「シオノギ」 | 11.25mg1瓶 | 塩野義製薬 | メトレプレチン(遺伝子組換え) | 新有効成分含有医薬品 | 33,877円 | 原価計算方式 | | 注249 他に分類されないホルモン剤(抗ホルモン剤を含む)(脂肪萎縮症用薬) |
| 9 | バルペン輸液0% | 0%500mL1袋 | フレゼニウスカービ ジャパン | ヒドロキシエチルデンプン130000 | 新有効成分含有医薬品 | 970円 | 原価計算方式 | 平均営業利益率×95%(17.4%) | 注331 血液代用剤(循環血液量の維持用薬) |
| 10 | プラリア皮下注60mgシリンジ | 60mg1mL1筒 | 第一三共 | デノスマブ(遺伝子組換え) | 新効能・新用量医薬品 | 28,482円 | 原価計算方式 | | 注399 他に分類されない代謝性医薬品(骨粗鬆症用薬) |
| 11 | エボルトラ点滴静注20mg | 20mg20mL1瓶 | サノフィ | クロファラビン | 新有効成分含有医薬品 | 140,248円 | 類似薬効比較方式(I) | 市場性加算(I) (A=10%) 外国平均価格調整(引上げ) | 注422 代謝拮抗剤(再発又は難治性の急性リンパ性白血病用薬) |
| 12 | アーゼラ点滴静注液100mg アーゼラ点滴静注液1000mg | 100mg5mL1瓶 1,000mg50mL1瓶 | グラクソ・スミスクライン | オフアツムマブ(遺伝子組換え) | 新有効成分含有医薬品 | 27,590円 267,502円 | 類似薬効比較方式(I) | 市場性加算(I) (A=10%) | 注429 その他の腫瘍用薬(再発又は難治性のCD20陽性の慢性リンパ性白血病用薬) |
| 13 | ノーモサング点滴静注250mg | 250mg10mL1管 | シミックホールディングス | ヘミン | 新有効成分含有医薬品 | 101,273円 | 原価計算方式 | 外国平均価格調整(引下げ) | 注634 血液製剤類(急性ポルフィリン症患者における急性発作症状の改善用薬) |
| 14 | アクテムラ皮下注162mgシリンジ アクテムラ皮下注162mgオートインジェクター | 162mg0.9mL1筒 162mg0.9mL1キット | 中外製薬 | トシリズムマブ(遺伝子組換え) | 新投与経路医薬品 | 38,056円 38,200円 | 規格間調整 | 規格間調整のみによる新薬の薬価算定特例(A=5%) | 注639 その他の生物学的製剤(既存治療で効果不十分なりウマチ(関節の構造的損傷の防止を含む)用薬) |
| 15 | ネオキシテープ73.5mg | 73.5mg1枚 | 久光製薬 | オキシブチニン塩酸塩 | 新投与経路・新効能医薬品 | 189.40円 | 類似薬効比較方式(I) | | 外259 その他の泌尿生殖器官及び肛門用薬(過活動膀胱における尿意切迫感、頻尿及び切迫性尿失禁用薬) |

| | 品目数 | 成分数 |
|-----|-----|-----|
| 内用薬 | 9 | 7 |
| 注射薬 | 9 | 7 |
| 外用薬 | 1 | 1 |
| 計 | 19 | 15 |

新医薬品の薬価算定について

| | | | | | | | | | |
|------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------|------|-----------|--------|---------------|-----|-------|
| 整理番号 | 13-05-注-1 | | | | | | | | |
| 薬効分類 | 249 その他のホルモン剤（抗ホルモン剤を含む。） | | | | | | | | |
| 成分名 | メトレレプチン（遺伝子組換え） | | | | | | | | |
| 新薬収載希望者 | 塩野義製薬(株) | | | | | | | | |
| 販売名 (規格単位) | メトレレプチン皮下注用11.25mg「シオノギ」（11.25mg 1瓶） | | | | | | | | |
| 効能・効果 | 脂肪萎縮症 | | | | | | | | |
| 主な用法・用量 | 通常、男性には0.04mg/kg、18歳未満の女性には0.06mg/kg、18歳以上の女性には0.08mg/kgを1日1回皮下注射。投与はそれぞれ0.02mg/kg、0.03mg/kg、0.04mg/kgから投与開始し、1ヵ月程度をかけ、上記投与量まで増量。なお、症状に応じて適宜減量。 | | | | | | | | |
| 算定 | 算定方式 | 原価計算方式 | | | | | | | |
| | 原価計算 | 製品総原価 | 24,488円 | | | | | | |
| | | 営業利益 | 5,485円 (流通経費を除く価格の18.3%) | | | | | | |
| | | 流通経費 | 2,291円 (消費税を除く価格の7.1%) 出典：「医薬品産業実態調査報告書」 (厚生労働省医政局経済課) | | | | | | |
| | | 消費税 | 1,613円 | | | | | | |
| | 外国調整 | なし | | | | | | | |
| 算定薬価 | 11.25mg 1瓶 33,877円 | | | | | | | | |
| 外国価格 | | 新薬収載希望者による市場規模予測 | | | | | | | |
| なし 最初に承認された国：日本 | | <table style="width: 100%; border-collapse: collapse;"> <tr> <td style="text-align: center;">予測年度</td> <td style="text-align: center;">予測本剤投与患者数</td> <td style="text-align: center;">予測販売金額</td> </tr> <tr> <td style="text-align: center;">(ピーク時) 8年度</td> <td style="text-align: center;">68人</td> <td style="text-align: center;">8.4億円</td> </tr> </table> | | 予測年度 | 予測本剤投与患者数 | 予測販売金額 | (ピーク時) 8年度 | 68人 | 8.4億円 |
| 予測年度 | 予測本剤投与患者数 | 予測販売金額 | | | | | | | |
| (ピーク時) 8年度 | 68人 | 8.4億円 | | | | | | | |
| 製造販売承認日 | 平成25年3月25日 | 薬価基準収載予定日 | 平成25年5月24日 | | | | | | |

薬価算定組織における検討結果のまとめ

| 算定方式 | 原価計算方式 | 第一回算定組織 | 平成25年 4月17日 |
|--------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------|
| 原価計算方式を採用する妥当性 | | 新薬 | 類似薬がない根拠 |
| | 成分名 | メトレプレチン（遺伝子組換え） | 類似の効能・効果、薬理作用、投与形態等を有する既収載品がなく、新薬算定最類似薬はないと判断した。 |
| | イ. 効能・効果 | 脂肪萎縮症 | |
| | ロ. 薬理作用 | 糖代謝改善作用、脂質代謝改善作用 | |
| | ハ. 組成及び化学構造 | <p>Met-Val-Pro-Ile-Gln-Lys-Val-Gln-Asp-Asp-Thr-Lys- Thr-Leu-Ile-Lys-Thr-Ile-Val-Thr-Arg-Ile-Asn-Asp-Ile- Ser-His-Thr-Gln-Ser-Val-Ser-Ser-Lys-Gln-Lys-Val-Thr- Gly-Leu-Asp-Phe-Ile-Pro-Gly-Leu-His-Pro-Ile-Leu-Thr- Leu-Ser-Lys-Met-Asp-Gln-Thr-Leu-Ala-Val-Tyr-Gln-Gln- Ile-Leu-Thr-Ser-Met-Pro-Ser-Arg-Asn-Val-Ile-Gln-Ile- Ser-Asp-Asp-Leu-Glu-Asn-Leu-Arg-Asp-Leu-Leu-His-Val- Leu-Ala-Phe-Ser-Lys-Ser-Cys-His-Leu-Pro-Trp-Ala-Ser- Gly-Leu-Glu-Thr-Leu-Asp-Ser-Leu-Gly-Gly-Val-Leu-Glu- Ala-Ser-Gly-Tyr-Ser-Thr-Glu-Val-Val-Ala-Leu-Ser-Arg- Leu-Gln-Gly-Ser-Leu-Gln-Asp-Met-Leu-Trp-Gln-Leu-Asp- Leu-Ser-Pro-Gly-Cys</p> | |
| | ニ. 投与形態 剤形 用法 | 注射 注射薬 1日1回 皮下注射 | |
| 営業利益率 | 平均的な営業利益率（18.3%） ^(注) × 100% = 18.3% (注) 出典：「産業別財務データハンドブック」（日本政策投資銀行） | | |
| 当初算定案に対する新薬収載希望者の不服意見の要点 | | | |
| 上記不服意見に対する見解 | 第二回算定組織 | 平成 年 月 日 | |
| | | | |

(参考) 脂肪萎縮症の病態

脂肪萎縮症について

- 本疾患は、脂肪組織の消失を特徴とし、先天性及び後天性の脂肪萎縮症に分類される。本疾患の病態生理は明確にされていないが、脂肪組織の完全な消失あるいは著しい減少による肝臓や骨格筋などへの過剰な異所性脂肪蓄積がインスリン抵抗性の増大に関与していると考えられている。
- 本疾患患者の長期予後に影響を及ぼす代謝異常として、非アルコール性脂肪性肝炎とそれに引き続き発症する肝硬変、高トリグリセライド血症により発症する急性膵炎、慢性の高血糖・高インスリン血症により発症する糖尿病合併症、肥大性心筋症、粥状動脈硬化症などがある。重症例では非アルコール性脂肪性肝炎が肝硬変に進展し、これが死因となることが多い。
- 国内外で十分な実態調査がなされてこなかったことから、その自然経過は十分に知られていないのが現状であるが、平均寿命が30～40歳とも言われる極めて予後不良な難治性疾患であると報告されている。
- 患者数についての疫学データはほとんどないが、2007年に日本内分泌学会内分泌専門医を対象としたアンケートの結果31名が見いだされており、国内の患者数は約90名と推定されている。

既存治療について

- 本疾患の原因療法はなく、標準治療は確立されていない。対症療法として食事制限、糖尿病治療薬、脂質異常症治療薬による治療が行われているが、重度の患者ではこれらの対症療法が奏効しない場合が多い。また、IGF-I製

剤（メカセルミン（遺伝子組換え））が血糖調節のための対症療法として、
脂肪萎縮性糖尿病の効能・効果で承認されている。