

令和6年8月吉日

厚生労働大臣  
武見 敬三 殿

一般社団法人日本小児血液・がん学会  
理事長



## 乾燥濃縮人プロテインC(販売名:セプーロチン®静注用1000単位)の 在宅自己注射指導管理料の要望書

先天性プロテイン C(PC)欠乏症は PC の機能欠損を特徴とする遺伝性疾患であり、PC の欠乏により凝固亢進状態となることで、ときに致死的な血栓症を生じます。特にホモ接合体又は複合ヘテロ接合体の患者で PC 活性が 1%未満に著減している場合は、多くの患者が生後数時間～数日の間に皮膚の毛細血管に症状が現れ、その後、眼血管(硝子体出血及び網膜剥離から失明に至る)、脳静脈及び腎臓静脈へと急速に血栓症状が進行することがあります。急性期の治療が遅延すると、失明、脳内出血からの水頭症や脳梗塞による麻痺等の神経症状、電撃性紫斑病(PF)からの四肢切断など、生涯にわたる重篤な後遺症を残します<sup>1,2</sup>。

本邦で承認されている先天性 PC 欠乏症の治療薬としては活性化 PC 製剤があり、急性期の治療に用いられますが、抗凝固強度を上げると出血リスクが増大するうえ、短期及び長期の PC 補充ができず血栓塞栓性事象に対する予防的投与ができません。血栓塞栓性事象の予防としてビタミン K 拮抗薬の経口抗凝固薬にて抗凝固療法が行われていますが、ワルファリン又はクマリン誘発皮膚壊死(WISN 又は CISN)を発現することがあります。WISN の臨床症状は、先天性 PC 欠乏症患者における PF と同様、四肢、胸、体幹及び陰茎の皮膚病変等であり、凝固と抗凝固のバランスが崩れている先天性 PC 欠乏症患者ではそのリスクが高いと考えられています<sup>3,4</sup>。

本邦において 2024 年 3 月 26 日付で承認された乾燥濃縮人プロテイン C(販売名:セプーロチン®静注用 1000 単位、以下、本剤)は「先天性プロテイン C 欠乏症に起因する静脈血栓塞栓症、電撃性紫斑病の治療及び血栓形成傾向の抑制」を効能及び効果とする静脈注射製剤で、現在欧米を含む世界 40 カ国以上で販売されています。また、武田薬品工業が実施した臨床試験では、在宅投与による投与も実施されており、明らかな安全性上の懸念は認められませんでした<sup>5</sup>。

先天性 PC 欠乏症は遺伝性疾患である性質上、患者は生涯にわたり疾患と付き合いしていく必要があります。また、急性血栓塞栓性事象の徴候がみられた際、早期に治療を行うことにより病的状態や身体障害を軽減し、重症化を抑制できると考えられ、在宅投与が可能である本剤は非常に有用であると考えます。加えて、長期補充が必要な患者においては、頻回の通院は先天性 PC 欠乏症患者にとって治療の継続に対する大きなハードルとなります。

医療従事者より在宅投与の手技、医療廃棄物の処理及び予想される副作用への対処法などについて十分な指導を受け、かつ定期通院時に主治医が適切に管理・監督できる患者においては、安全に本剤の在宅投与が可能であると考えます。

上記を鑑み、本剤の在宅自己注射指導管理料算定対象薬剤としての追加を強く要望いたします。なお、在宅自己注射指導管理料の適応に合わせて、注入器用注射針加算の保険適用についても強く要望いたします。

ご高配のほど、何卒よろしくお願い申し上げます。

以上

1001号々

- <sup>1</sup> Kroiss S, Albisetti M. Use of human protein C concentrates in the treatment of patients with severe congenital protein C deficiency. *Biologics*. 2010;4:51-60.
- <sup>2</sup> 石村匡崇、市山正子、落合正行、堀田多恵子、康東天、大賀止一. わが国における小児遺伝性血栓症の診断と治療. *日本小児血液・がん学会雑誌*. 2018;55(5):371-5.
- <sup>3</sup> Loop M, Ferster A, Corazza F, Alhenc-Gelas M, Demulder A. Late onset of clinical symptoms and recurrent ecchymotic skin lesions in a 12-year-old girl with a severe double heterozygous protein C deficiency. *J Pediatr Hematol Oncol*. 2004;26(1):2-4.
- <sup>4</sup> Gatti L, Carnelli V, Ruseconi R, Moia M. Heparin-induced thrombocytopenia and warfarin-induced skin necrosis in a child with severe protein C deficiency: successful treatment with dermatan sulfate and protein C concentrate. *J Thromb Haemost*. 2003;1(2):387-8.
- <sup>5</sup> セブローチン審査結果報告書. 令和6年2月29日 医薬局医薬品審査管理課.