

「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

＜小児 WG＞

目 次

＜小児分野＞

【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

エポエチン ベータ ペゴル（遺伝子組換え）

（要望番号；IV-185）……………

1

要望番号	IV-185	要望者名	一般社団法人日本小児腎臓病学会																										
要望された医薬品	一般名	エポエチン ベータ ペゴル (遺伝子組換え)																											
	会社名	中外製薬株式会社																											
要望内容	効能・効果	生後3か月以上の小児における腎性貧血																											
	用法・用量	<p>用法：4週間に1回投与する。投与経路は静脈内注射又は皮下注射で、切替え前の赤血球造血刺激因子製剤 (ESA) と同様の経路とする。</p> <p>開始用量：切替え前の1週間のESA総投与量に基づき、下記の表を参考に算出する。</p> <table border="1"> <thead> <tr> <th>切替え前のダルベポエチンアルファの用量 (µg/週)</th> <th>切替え前のエポエチンの用量 (IU/週)</th> <th>4週ごとの本剤の用量 (µg)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>9以上12未満</td> <td>2,000以上2,700未満</td> <td>25</td> </tr> <tr> <td>12以上15未満</td> <td>2,700以上3,500未満</td> <td>50</td> </tr> <tr> <td>15以上24未満</td> <td>3,500以上5,500未満</td> <td>75</td> </tr> <tr> <td>24以上35未満</td> <td>5,500以上8,000未満</td> <td>100</td> </tr> <tr> <td>35以上47未満</td> <td>8,000以上10,000未満</td> <td>150</td> </tr> <tr> <td>47以上60未満</td> <td>10,000以上13,000未満</td> <td>200</td> </tr> <tr> <td>60以上</td> <td>13,000以上</td> <td>250</td> </tr> </tbody> </table> <p>維持用量：目標ヘモグロビン (Hb) 値を10g/dL以上に維持するために用量調節が必要な場合は、4週間の投与量を約25%調節することができる。</p> <p>Hb値の上昇が4週間で1g/dLを超えた場合や、Hb値が上昇し12g/dLに近づいた場合は用量を約25%減量する。減量後もHb値が上昇し続ける場合はHb値が減少傾向となるまで休薬し、以前の投与量より25%少ない用量で投与を再開する。用量調節の頻度は4週間に1回以上あけること。</p>				切替え前のダルベポエチンアルファの用量 (µg/週)	切替え前のエポエチンの用量 (IU/週)	4週ごとの本剤の用量 (µg)	9以上12未満	2,000以上2,700未満	25	12以上15未満	2,700以上3,500未満	50	15以上24未満	3,500以上5,500未満	75	24以上35未満	5,500以上8,000未満	100	35以上47未満	8,000以上10,000未満	150	47以上60未満	10,000以上13,000未満	200	60以上	13,000以上	250
		切替え前のダルベポエチンアルファの用量 (µg/週)	切替え前のエポエチンの用量 (IU/週)	4週ごとの本剤の用量 (µg)																									
9以上12未満	2,000以上2,700未満	25																											
12以上15未満	2,700以上3,500未満	50																											
15以上24未満	3,500以上5,500未満	75																											
24以上35未満	5,500以上8,000未満	100																											
35以上47未満	8,000以上10,000未満	150																											
47以上60未満	10,000以上13,000未満	200																											
60以上	13,000以上	250																											
「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]</p> <p>腎性貧血は慢性腎臓病の主要な合併症であり、腎機能障害によるエリスロポエチン産生能低下に起因する。貧血に伴い、息切れ、動悸、易疲労感、食欲不振等が生じ、赤血球輸血が必要となる場合もある。小児の腎性貧血患者では、Hb値が11g/dL未満の場合に、11g/dL以上の場合と比較して、死亡のリスクや透析導入後1年以内の入院率が高くなること (Pediatr Nephrol 2003; 18: 1055-62)、左室肥大の合併が有意に高くなること (J Pediatr 2006; 149: 671-5) 等が報告されている。</p> <p>以上より、「ウ：その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」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]</p> <p>エポエチン ベータ ペゴル（遺伝子組換え）（以下、「本剤」）は、持続型の赤血球造血刺激因子（以下、「ESA」）製剤であり、米国、英国、独国及び仏国で、小児の腎性貧血患者において、他の ESA 製剤から本剤に切り替える場合の用法・用量が承認されている。国内外の診療ガイドラインでは、本剤を含む ESA 製剤は成人の腎性貧血に対する標準的治療法に位置づけられており、小児に対しても成人に準じた治療が推奨されていることから、「ウ：欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる」に該当すると判断した。</p>
備 考	<p>要望者が実施予定の国内使用実態調査の結果を踏まえ、今後の開発方針を検討する必要があると考える。</p>