

2024年12月20日

厚生労働省
保険局 医療課長
林 修一郎 殿

一般社団法人 日本小児血液・がん
理事長 米田



マルスタシマブ（遺伝子組換え）製剤の「保険医が投与することができる注射薬」及び「在宅自己注射指導管理料」適用に関する要望書

血友病の治療は、主に欠乏した血液凝固第 VIII 因子（FVIII）または第 IX 因子（FIX）製剤の補充により行われており、現在、国内外では、FVIII または FIX 製剤を定期的に静脈内投与する定期補充療法が標準治療として位置づけられています。FVIII 及び FIX は半減期が比較的短いことから、インヒビター非保有患者の定期補充療法では、標準的な半減期の製剤を使用する場合、血友病 A 患者では週 2~3 回、血友病 B 患者では週 2 回から 2 週に 1 回で製剤を使用する必要があります。血友病治療においては、治療遵守の向上により出血イベントを抑制し、血友病性関節症の発症を予防し、患者の QoL を維持することが肝要であり、そのためには、様々な観点から患者負担を軽減することが重要であると考えます。

近年、血友病患者の出血の抑制を目的として、従来の凝固因子製剤に加えて、異なる薬理作用を有する皮下注製剤も臨床現場で使用されております。2018 年 5 月に発売されたエミズマブ（ヘムライブラ®）は、活性型血液凝固第 IX 因子と第 X 因子に結合する二重特異性抗体であり、欠乏した活性型第 VIII 因子の機能を代替する薬剤として、先天性及び後天性血友病 A 患者に対する治療に使用されております。また、2024 年 2 月には、組織因子経路インヒビター（TFPI）の K2 ドメインを標的とする新規のヒト化モノクローナル IgG4 抗体としてコンシズマブ（アレモ®）が発売され、先天性血友病患者に対する治療に用いられております。マルスタシマブ（ヒムペブジ®）は、コンシズマブと類似の薬理作用を有し、インヒビターを保有しない先天性血友病患者に対する効能・効果の承認取得を予定する治療薬です。

血友病治療に係る既承認の薬剤では、患者の体重・因子活性等に基づき必要な投与量を調節した上で投与する必要がありますが、マルスタシマブは、注射手技が簡便なプレフィルドペンを用いて、週 1 回、固定用量を皮下投与する製剤であり、治療における利便性の向上や、それに伴う治療遵守の向上に寄与することが期待されます。また、血友病は、患者の生涯に亘り治療を要する疾患であることから、有効性、安全性の観点からも新たな治療選択肢が加わることは、臨床的意義が高いと考えます。

なお、在宅自己投与（初回は治験実施施設での投与）により実施されたマルスタシマブの臨床試験では、投与失敗日数の割合は低く、自己注射による大きな問題事例は確認されておりません。また、注射器の廃棄については、医療機関等での受診の際に、医療関係者から患者及びその家族に対して指導を行うことで、適切な処理が行われると判断いたします。

以上に鑑み、本会として、医師、血友病患者にとって治療方法の改善や、治療選択肢の拡大への貢献が期待できるマルスタシマブについて、「保険医が投与することができる注射薬」及び「在宅自己注射指導管理料（C101）」が適用されることを要望します。

0117 第3

以上