

再生医療等製品の保険償還価格の算定について

類 別	ヒト細胞加工製品（ヒト体細胞加工製品）								
成 分 名	イデカブタゲン ビクルユーセル								
収 載 希 望 者	ブリストル・マイヤーズ スクイブ（株）								
販 売 名 （規格単位）	アベクマ点滴静注（1患者当たり）								
効 能 ・ 効 果 又 は 性 能	再発又は難治性の多発性骨髄腫。ただし、以下のいずれも満たす場合に限る。 ・BCMA抗原を標的としたキメラ抗原受容体発現T細胞輸注療法の治療歴がない ・免疫調節薬、プロテアソーム阻害剤及び抗CD38モノクローナル抗体製剤を含む3つ以上の前治療歴を有し、かつ、直近の前治療に対して病勢進行が認められた又は治療後に再発した								
主 な 用 法 ・ 用 量 又 は 使 用 方 法	通常、成人には、CAR発現T細胞として、体重を問わず目標投与数 4.50×10^6 個を、10mL/分を超えない速度で単回静脈内投与する。なお、CAR発現T細胞として $2.80 \times 10^6 \sim 5.40 \times 10^6$ 個の範囲で投与できる。本品の再投与はしないこと。								
算 定	算 定 方 式	類似薬効比較方式（ ）							
	比 較 薬	成分名：チサゲンレクルユーセル 会社名：ノバルティスファーマ（株）							
		販売名（規格単位） キムリア点滴静注 ^{注）} （1患者当たり）	薬価（1日薬価） 32,647,761円 （32,647,761円）						
	注）新薬創出・適応外薬解消等促進加算の対象品目								
	補 正 加 算	なし							
外 国 平 均 価 格 調 整	なし								
算 定 薬 価	1患者当たり 32,647,761円（1日薬価：32,647,761円）								
外 国 価 格		収載希望者による市場規模予測							
<p>（参考） 1患者当たり 米国(AWP) 503,400.00ドル 54,367,200円 仏国(ATU) 350,000.00ユーロ 45,150,000円</p> <p>（注1）為替レートは令和3年1月～令和3年12月の平均 （注2）米国(AWP)は従来参照していたRED BOOKの価格</p> <p>最初に承認された国（年月）： 米国（2021年3月）</p>		<table border="1"> <thead> <tr> <th>予測年度 (ピーク時)</th> <th>予測本剤投与患者数</th> <th>予測販売金額</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>10年度</td> <td>149人</td> <td>49億円</td> </tr> </tbody> </table>		予測年度 (ピーク時)	予測本剤投与患者数	予測販売金額	10年度	149人	49億円
予測年度 (ピーク時)	予測本剤投与患者数	予測販売金額							
10年度	149人	49億円							
製 造 販 売 承 認 日	令和4年1月20日	薬価基準収載予定日	令和4年4月20日						

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式	類似薬効比較方式()	第一回算定組織	令和4年3月22日
最類似薬選定の妥当性		新 薬	最類似薬
	成分名	イデカブタゲン ビクルユーセル	チサゲンレクルユーセル
	イ. 効能・効果	再発又は難治性の多発性骨髄腫	・再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病 ・再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫
	ロ. 薬理作用	CAR導入T細胞依存性細胞傷害作用	左に同じ
	ハ. 組成及び化学構造	CAR発現遺伝子を患者自身のT細胞に導入したCAR発現性T細胞	左に同じ
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 静脈内投与	左に同じ 左に同じ 左に同じ
補正加算	画期性加算 (70~120%)	該当しない	
	有用性加算() (35~60%)	該当しない	
	有用性加算() (5~30%)	該当しない	
	市場性加算() (10~20%)	該当しない	
	市場性加算() (5%)	該当しない	
	特定用途加算 (5~20%)	該当しない	
	小児加算 (5~20%)	該当しない	
	先駆加算 (10~20%)	該当しない	
新薬創出・適応外薬 解消等促進加算	該当する(主な理由:希少疾病用再生医療等製品として指定)		
費用対効果評価への 該 当 性	該当しない		
当初算定案に対する 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	令和 年 月 日	

製品概要

販売名	アベクマ点滴静注
使用目的	<p>本品は、患者末梢血由来のT細胞に、遺伝子組換えレンチウイルスベクターを用いてBCMAを特異的に認識するCAR遺伝子を導入し、培養・増殖させたT細胞を構成細胞とし、医薬品と同様に薬理的作用による治療効果を期待して、静脈内に投与される再生医療等製品である。</p> <p>本品に遺伝子導入されるCARは、BCMAを特異的に認識するマウス由来scFv、ヒトCD8 ヒンジ及び膜貫通ドメイン、並びに細胞内シグナルドメインであるヒト4-1BB及びヒトCD3 から構成される。本品がBCMAを発現した細胞を認識すると、導入T細胞に対して活性化、増殖、細胞傷害等のエフェクター機能の獲得をもたらす。これらの作用により、BCMA陽性の腫瘍に対し、腫瘍細胞を死滅させる効果が期待される。</p>
主な使用方法	<div style="display: flex; align-items: flex-start;"> <div style="flex: 1;"> <pre> graph TD A[白血球アフェレーシス] --> B[製造施設への輸送] B --> C[製造施設での対応] subgraph C [製造施設での対応] D[本品の製造] E[ブリッジング療法 (任意)] end C --> F[本品の受領・保管] F --> G[リンパ球除去化学療法] G --> H[本品の投与] H --> I[経過観察] </pre> </div> <div style="flex: 2; padding-left: 10px;"> <p>< 医療機関での白血球アフェレーシス～製造施設への輸送 > 白血球アフェレーシスにより、非動員末梢血単核球を採取する。採取した白血球アフェレーシス産物を、2～8 に設定された保冷輸送箱に梱包して本品製造施設へ輸送する。</p> <p>< 医療機関での受入れ～投与 ></p> <ul style="list-style-type: none"> 凍結した状態で本品を受領し、使用直前まで液体窒素気相下（-130 以下）で凍結保存する。 血液検査等により患者の状態を確認し、本品投与の 5 日前からリンパ球除去化学療法を行う。 投与直前に本品を解凍する。通常、成人には、CAR 発現 T 細胞として、体重を問わず目標投与数 450×10^6 個を、10mL/分を超えない速度で単回静脈内投与する。 </div> </div>
主な有用性	<p>現在、免疫調節薬、プロテアソーム阻害薬及び抗 CD38 モノクローナル抗体製剤による治療後に再発又は難治性に移行した多発性骨髄腫患者に対して、国内でその有効性が確認された上で承認されている治療法はない。</p> <p>再発又は難治性の多発性骨髄腫患者（外国人コホート 128 例、日本人コホート 9 例）を対象に実施された非盲検非対照試験（国際共同第 II 相試験、MM-001 試験）において、全奏効割合 [95%CI] は 74.5%[67.1, 81.8]（目標用量の 450×10^6 個では（ ）81.5%）、無増悪生存期間中央値は 8.9 カ月 [6.0, 11.9]（ 12.2 カ月）、全生存期間中央値は 24.8 カ月 [19.9, 31.2]（ 24.8 カ月）であった（外国人患者で 24 カ月以上、日本人患者で 12 月以上経過した 2020 年 12 月 21 日データカットオフ、審査報告書より）。</p> <p>また、再発又は難治性の多発性骨髄腫患者（用量漸増期 21 例、用量拡大期 41 例）を対象に実施された非盲検非対照試験（海外第 I 相試験、CRB-401 試験）において、全奏効割合 [95%CI] は全体（62 例）で 74.2%[61.5, 84.5]、承認用量範囲である目標用量 450×10^6 個（38 例）では 84.2%[68.7, 94.0] であった（15 カ月以上経過した 2020 年 4 月 7 日データカットオフ時点）。</p>
承認条件	<ol style="list-style-type: none"> 緊急時に十分対応できる医療施設において、造血器悪性腫瘍及び造血幹細胞移植に関する十分な知識・経験を持つ医師のもとで、サイトカイン放出症候群の管理等の適切な対応がなされる体制下で本品を使用すること。 国内での治験症例が極めて限られていることから、製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は、全症例を対象に使用の成績に関する調査を実施することにより、本品使用患者の背景情報を把握するとともに、本品の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本品の適正使用に必要な措置を講じること。