

## 「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 ＜抗菌・抗炎症 WG＞

### 目 次

#### ＜抗炎症分野＞

##### 【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

ミコフェノール酸モフェチル（要望番号；IV-40）…… 1

##### 【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】

本邦における適応外薬

ミコフェノール酸モフェチル(要望番号；IV-86, 88)…… 3

要望番号	IV-40	要望者名	日本呼吸器学会、日本リウマチ学会
要望された医薬品	一般名	ミコフェノール酸モフェチル	
	会社名	中外製薬株式会社	
要望内容	効能・効果	強皮症に伴う間質性肺疾患の増悪抑制、改善	
	用法・用量	ミコフェノール酸モフェチルとして1回250～1,000 mgを1日2回12時間毎に食後経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日3,000 mgを上限とする。	
「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"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>全身性強皮症 (SSc) は皮膚硬化、手指潰瘍等の皮膚症状、レイノー症状、間質性肺疾患 (ILD)、消化管病変、腎病変等の症状を呈する疾患である。SScに伴うILDは、組織の過剰な線維化による不可逆的な肺構造の破壊により、15%程度が酸素療法や肺移植を必要とする末期肺病変へと進行し、呼吸困難により死に至ることから、「ア 生命に重大な影響がある疾患」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>本薬は欧米等6カ国で要望効能・効果の承認を得ていないものの、英国のガイドライン (Rheumatology. 2016; 55: 1906-10) では国内外で既存治療とされているシクロホスファミドの代替療法又は不応例に対する療法として記載されている。また、海外で実施された無作為化二重盲検比較試験 (SLS II 試験、Lancet Respir Med. 2016; 4: 708-19.) の結果、標準的な治療薬であるシクロホスファミドに対する本薬の優越性は検証されなかったものの、副作用の発現率等が低かったことを踏まえて、近年、本薬は海外の総説及び治療アルゴリズムに関する論文、海外の教科書、国内ガイドライン等において、シクロホスファミドと同様にSScに伴うILDの初期治療に用いる薬剤として記載され、総投与量と発がん性リスクとの相関が示唆されているシクロホスファミドよりも忍容性に優れていると評価されている。したがって、「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
---	---

要望番号	IV-86,88	要望者名	日本小児リウマチ学会、日本リウマチ学会
要望された医薬品	一般名	ミコフェノール酸モフェチル	
	会社名	中外製薬株式会社	
要望内容	効能・効果	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 ①全身性血管炎（顕微鏡的多発血管炎、多発血管炎性肉芽腫症〔旧 Wegener 肉芽腫症〕、結節性多発動脈炎、好酸球性多発血管炎性肉芽腫症〔旧 Churg-Strauss 症候群〕、高安動脈炎）、②全身性エリテマトーデス、③多発性筋炎、皮膚筋炎、④強皮症、⑤混合性結合組織病、および難治性リウマチ性疾患	
	用法・用量	成人：通常、ミコフェノール酸モフェチルとして1回 250～1,000 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とする。 小児：通常、ミコフェノール酸モフェチルとして1回 150～600 mg/m <sup>2</sup> を1日2回12時間毎に食後経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。	
「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"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>自己免疫疾患に属する要望効能・効果の疾患は、成人・小児の区別なく、多臓器にわたる重篤な症状を呈する疾患である。適切な治療により寛解に至る患者も存在するものの、再燃を繰り返す患者、ステロイド及び既存の免疫抑制剤で効果不十分又は不耐な患者では、致命的となる場合がある。以上より、「ア 生命に重大な影響がある疾患」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"/> エ</p> <p>[特記事項]</p> <p>以下の理由から、本要望については、「ア」～「ウ」のいずれの基準にも該当しないと判断した。</p> <p>① 本邦において、本要望効能・効果に対する薬剤としてアザチオプリン及びシクロホスファミド（経口製剤は成人のみ）が承認されており、「ア」に該当しない。</p>		

	<p>② 強皮症に伴う間質性肺疾患（備考参照）を除き、要望効能・効果に対して本薬の有効性、安全性及び用法・用量が検討された臨床試験は、実薬対照ランダム化非盲検比較試験のみであるため、これらの試験成績を以て、要望効能・効果全般に対する本薬の有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れていると判断することは困難であり、「イ」に該当しない。</p> <p>③ 本要望効能・効果は欧米等 6 カ国で承認されておらず、国内外の診療ガイドラインにおいては本薬を特定の条件下において使用する治療選択肢として記載されているガイドラインは存在するものの、記載の根拠は実薬対照ランダム化非盲検比較試験や観察研究、症例報告であって、推奨度も高くないことから、「ウ」に該当しない。</p>
備考	<p>要望効能・効果に含まれる強皮症に伴う間質性肺疾患に関しては、要望番号：IV-40 にて別途評価をおこなった。</p>