

第 DB2407-0105 号

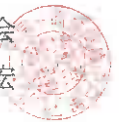
令和6年7月24日

厚生労働大臣
武見 敬三 殿

公益社団法人 日本皮膚科学会
理事長 藤本 孝



一般社団法人 日本アレルギー学会
理事長 海老澤 元宏



一般社団法人 日本補体学会
会長 井上 徳光



遺伝性血管性浮腫発作抑制用活性化第 XII 因子阻害剤ガラダシマブ（遺伝子組換え）
皮下注製剤の在宅医療における在宅自己注射保険適用の要望書

遺伝性血管性浮腫（hereditary angioedema：HAE）は、主としてC1インヒビター遺伝子（SERPING1）の変異により血中C1インアクチベーター活性の低下と血中ブラジキニン濃度の上昇が起こり、身体中の様々な部位に繰り返し浮腫を生じる疾患です。

病態の特徴としては、HAEは皮膚・粘膜や腹部（腸）など、身体中の様々な部位に繰り返し腫脹が生じ、喉頭部の腫脹により気道が閉塞し呼吸困難に陥り、生命に関わる場合もあります。歯科治療や出産、外科手術、検査等における侵襲を伴う処置が急性発作の強力な誘因として知られていますが、多くの場合、浮腫の出現は予測困難です。本疾患は、国の指定難病「原発性免疫不全症候群」の一つに認定されています。

本剤は新規の遺伝子組換え完全ヒト型 IgG4/λ モノクローナル抗体であり、血漿タンパク質 FXIIa（活性化第 XII 因子）の触媒ドメインに結合し、その触媒活性を強力に阻害することで、HAE 発作の原因となるブラジキニン産生を抑制することが期待されています。

本剤は日本人患者を含む国際共同第Ⅲ相試験の有効性及び安全性の結果をもとに「遺伝性血管性浮腫の発作の長期発症抑制」を予定効能及び効果とした承認申請となっております。



HAE 患者（または介護者）による自己注射に伴う安全性については、本剤は臨床試験において在宅自己注射の実施経験があり、安全性上の問題は認められていません。

本剤の在宅自己注射の対象となる HAE 患者（または介護者）は、医療従事者による自己注射の指導を受け、医師により確実に自己投与の実施が可能と判断された患者とします。

製造販売業者からは、主治医が患者の安全性に細心の注意を払うことに資するよう、在宅自己注射時の適正使用のための資材を用意するとの報告を受けています。また、在宅自己注射の開始に先立って、患者又は介護者が問題なく実施できるようになるまで自己注射の手技に関する指導を行い、副作用が疑われる場合の医療機関への速やかな連絡および使用済みの医療機器の安全な廃棄方法等を十分に説明及び指導を行う予定です。

本剤は定期的な月 1 回の投与が必要であり、HAE の発作抑制効果を維持するために長期間使用する必要があります。しかしながら、専門医による診療や治療が可能な施設は限られています。都市部から離れた地域では遠方の専門医を受診する患者も多く、定期的な通院の継続が困難な場合もあります。また、いつ発作が起きるか予測不能な疾患であることから、患者は旅行や出張による遠方への移動や、新しい職場などの慣れない通院しづらい環境においては、患者のコンプライアンス（服薬順守）の観点で、患者負担を軽減する在宅自己投与が貢献できると考えます。

本剤について在宅自己注射を導入することで、患者及び医療従事者双方の負担軽減につながるとともに治療継続のための選択肢を広げ、患者の QOL が大きく向上されることが想定されます。本剤は投与 1 回あたりの投与量が少なく、患者の利便性を考慮したオートインジェクターと相まって、患者又は介護者による投与の負担を軽減すると考えられます。

以上の内容をご考慮頂き、ガラダシマブ（遺伝子組換え）を有効成分とする本剤を「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」に追加されるようご配慮頂きたく、よろしくお願い申し上げます。

以上