

新医薬品の薬価算定について

整理番号	15-05-注-4			
薬効分類	634 血液製剤類（注射薬）			
成分名	カトリデカコグ（遺伝子組換え）			
新薬収載希望者	ノボ ノルディスク ファーマ（株）			
販売名 （規格単位）	ノボサーティーン静注用2500（2,500国際単位1瓶（溶解液付））			
効能・効果	先天性血液凝固第XIII因子Aサブユニット欠乏患者における出血傾向の抑制			
主な用法・用量	2mL/分を超えない速度で緩徐に静脈内に注射する。 体重1kg当たり35国際単位を4週ごとに定期的に投与する。 出血時に投与する場合、体重1kg当たり35国際単位を投与できる。			
算 定	算定方式	原価計算方式		
	原 価 計 算	製品総原価	2,562,858円	
		営業利益	585,616円 <small>（流通経費を除く価格の18.6%）</small>	
		流通経費	229,717円 <small>（消費税を除く価格の6.8%） 出典：「医薬品産業実態調査報告書」 （厚生労働省医政局経済課）</small>	
		消費税	270,255円	
	外国調整	なし		
算定薬価	2,500国際単位1瓶（溶解液付） 3,648,446円			
外国価格		新薬収載希望者による市場規模予測		
2500国際単位1瓶（溶解液付） 米国 39,900ドル 4,269,300円 外国平均価格 4,269,300円 （注）為替レートは平成26年4月～平成27年3月の平均 最初に承認された国（年）： カナダ（2012年）		予測年度	予測本剤投与患者数	予測販売金額
		（ピーク時）		10年度
製造販売承認日	平成27年3月26日	薬価基準収載予定日	平成27年5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	原価計算方式		第一回算定組織	平成27年4月17日
原価計算方式を採用する妥当性		新薬	類似薬がない根拠	
	成分名	カトリデカコグ（遺伝子組換え）	類似の組成及び化学構造等を有する既収載品がなく、新薬算定上最類似薬はないと判断した。	
	イ. 効能・効果	先天性血液凝固第ⅩⅢ因子Aサブユニット欠乏患者における出血傾向の抑制		
	ロ. 薬理作用	止血作用／血液凝固第ⅩⅢ因子Aサブユニットの補充		
	ハ. 組成及び化学構造	731個のアミノ酸残基からなるヒト血液凝固第ⅩⅢ因子Aサブユニット2個から構成されるタンパク質		
ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射薬 4週間隔、静脈内注射			
営業利益率	平均的な営業利益率（16.9%） ^{（注）} × 110% = 18.6% （注）出典：「産業別財務データハンドブック」（日本政策投資銀行） [革新性（改善）：a-3（2p） + 希少疾病用医薬品：b-1（2p） = 4p]			
	本剤は酵母を用いて製造された血液凝固第ⅩⅢ因子で初めての遺伝子組換え製剤であり、製造工程においてヒト又は動物由来の原材料が使用されておらず、感染症リスクのない薬剤であると評価されていることから、一定の革新性や安全性が認められると判断する。ただし、既存の血漿由来第ⅩⅢ因子製剤と比較した本剤の有用性評価に限界があること等から、加算率については限定的な評価とする。			
当初算定案に対する新薬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	平成	年	月 日

(参考) 先天性血液凝固第 XIII 因子 A サブユニット欠乏症の病態

先天性血液凝固第 XIII 因子 A サブユニット欠乏症について

- 先天性血液凝固第 XIII 因子 (FXIII) 欠乏症は、FXIII の量的低下あるいは質的異常によって引き起こされる、常染色体劣性の希少な出血性疾患である。先天性 FXIII 欠乏症の 95%以上が、酵素活性を有する A サブユニットの遺伝子変異に起因する先天性 A サブユニット欠乏症と考えられている。
- FXIII 欠乏状態では、安定化フィブリンの形成が不良となり、生涯にわたり、皮膚、皮下組織、関節、筋肉に遷延する出血を繰り返す。外科処置に伴う出血、創傷治癒の遷延、反復流産もまた FXIII 欠乏症に伴う症状である。未治療の患者の約 30%が頭蓋内出血を発現するとの報告もある。
- 先天性 FXIII 欠乏症の有病率はおよそ 200 万人当たり 1 人と推定されており、先天性 FXIII 欠乏症と診断されている患者は全世界で 1,126 人と推定されている。平成 25 年度の血液凝固異常症全国調査によると、日本では 67 名の先天性 FXIII 欠乏・低下／異常症患者が登録されている。一方、血液製剤調査機構による調査では、先天性の FXIII 欠乏・異常症患者数は、平成 25 年度 52 名と報告されている。

既存治療について

- 現在の FXIII 欠乏症の治療では、ヒト血漿に由来する製剤である新鮮凍結血漿及び血漿由来 FXIII 濃縮製剤が使用されている。