

新医薬品の薬価算定について

整理番号	16-05-注-2		
薬効分類	395 酵素製剤（注射薬）		
成分名	セベリパーゼ アルファ（遺伝子組換え）		
新薬収載希望者	アレクシオンファーマ合同会社		
販売名 （規格単位）	カヌマ点滴静注液20mg（20mg10mL1瓶）		
効能・効果	ライソゾーム酸性リパーゼ欠損症（コレステロールエステル蓄積症、ウォルマン病）		
主な用法・用量	<p>通常、1回体重1kgあたり1mgを2週に1回、点滴静注する。効果不十分な場合には、1回体重1kgあたり3mgを2週に1回又は週1回まで増量し、点滴静注する。</p> <p>ただし、乳児期発症の急速進行性の場合には、1回体重1kgあたり1mgを週1回、点滴静注する。効果不十分な場合には、1回体重1kgあたり3mgを週1回まで増量し、点滴静注する。</p> <p>なお、患者の状態に応じて適宜増減する。</p>		
算 定	算定方式	原価計算方式	
	原 価 計 算	製品総原価	939,718円
		営業利益	160,655円 <small>（流通経費を除く価格の14.6%）</small>
		流通経費	82,824円 <small>（消費税を除く価格の7.0%） 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	94,656円
	外国調整	なし	
算定薬価	20mg10mL1瓶	1,277,853円	
外国価格		新薬収載希望者による市場規模予測	
20mg10mL1瓶 米国 12,000.00ドル 1,452,000円 英国 6,286.00ポンド 1,162,910円 独国 11,016.91ユーロ 1,476,266円 外国平均価格 1,363,725円 （注）為替レートは平成27年4月～平成28年3月の平均		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 14人 10億円	
最初に承認された国（年月）： 欧州（2015年8月）			
製造販売承認日	平成28年 3月28日	薬価基準収載予定日	平成28年 5月25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28年 4月14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	セベリパーゼ アルファ（遺伝子組換え）	本剤と同様の効能・効果、薬理作用、組成及び化学構造等を有する既収載品はないことから、新薬算定最類似薬はないと判断した。
	イ. 効能・効果	ライソゾーム酸性リパーゼ欠損症（コレステロールエステル蓄積症、ウォルマン病）	
	ロ. 薬理作用	ライソゾーム酸性リパーゼ作用	
	ハ. 組成及び化学構造	378個のアミノ酸残基からなる糖タンパク質（分子量約55,000）	
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 2週に1回点滴静注	
営業利益率	平均的な営業利益率（14.6%） ^{（注）} × 100% = 14.6% （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）		
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) ライソゾーム酸性リパーゼ欠損症の病態

ライソゾーム酸性リパーゼ欠損症について

- ライソゾーム酸性リパーゼ欠損症 (LAL 欠損症) は、指定難病であるライソゾーム病の一種であり、遺伝子変異によるライソゾーム酸性リパーゼ (LAL) の欠損のため、脂質代謝異常が生じ、全身の組織にコレステロールエステル及びトリグリセリドが蓄積する常染色体劣性遺伝疾患である。LAL 欠損症は進行性の多臓器疾患であり、臨床的にウォルマン病とコレステロールエステル蓄積症に大別される。
- ウォルマン病は、急速進行性の症状を有する乳児期発症の LAL 欠損症であり、進行性の肝障害を伴う成長障害、急激な肝線維化を合併し、通常は 6 か月以内に死に至るとされている。
- コレステロールエステル蓄積症は、成人期まで診断されない場合もあるが、著明な肝腫大、若年での肝線維症や肝硬変等の肝疾患、顕著な脂質代謝障害による脂質異常症を合併する。
- 診断は、ライソゾーム酸性リパーゼの活性の測定又は遺伝子検査により行われる。
- 本邦での LAL 欠損症の正確な患者数は明らかになっていない。厚生科学研究費補助金 (特定疾患対策研究事業) により 2001 年に実施された全国調査では、ウォルマン病の患者数は 0 であった。1989 年から 2014 年に公表された文献等においては、17 例の LAL 欠損症の国内症例が認められている。

既存治療について

- 我が国で薬事承認された LAL 欠損症の治療薬は存在せず、血清コレステロール値の低下や、下痢等の消化管症状を緩和するため、食事療法や脂質低下薬投与といった対症療法が行われている。