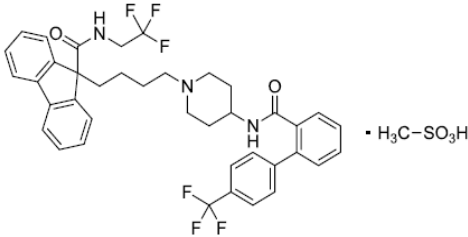


新医薬品の薬価算定について

整理番号	16-11-内-3				
薬効分類	218 高脂血症用剤 (内用薬)				
成分名	ロミタピドメシル酸塩				
新薬収載希望者	AEGERION PHARMACEUTICALS (株)				
販売名 (規格単位)	ジャクスタピッドカプセル5mg (5mg 1カプセル) ジャクスタピッドカプセル10mg (10mg 1カプセル) ジャクスタピッドカプセル20mg (20mg 1カプセル)				
効能・効果	ホモ接合体家族性高コレステロール血症				
主な用法・用量	通常、成人には、1日1回5mgから開始する。忍容性に問題がなく、効果不十分な場合には2週間以上の間隔をあけて10mgに増量する。さらに増量が必要な場合には、4週間以上の間隔で忍容性を確認しながら段階的に20mg、40mgに増量することができる。				
算 定	算定方式	原価計算方式			
	原 価 計 算		5mg 1カプセル	10mg 1カプセル	20mg 1カプセル
		製品総原価	56,609.30円	64,738.90円	73,698.50円
		営業利益	12,008.10円 <small>(流通経費を除く価格の17.5%)</small>	13,732.50円 <small>(流通経費を除く価格の17.5%)</small>	15,633.00円 <small>(流通経費を除く価格の17.5%)</small>
		流通経費	5,164.80円 <small>(消費税を除く価格の7.0%)</small> <small>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>	5,906.40円 <small>(消費税を除く価格の7.0%)</small> <small>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>	6,723.90円 <small>(消費税を除く価格の7.0%)</small> <small>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	5,902.60円	6,750.20円	7,684.40円
外国平均価格調整	なし				
算定薬価	5mg 1カプセル 79,684.80円 10mg 1カプセル 91,128.00円 20mg 1カプセル 103,739.80円				
外国価格		新薬収載希望者による市場規模予測			
5mg 1カプセル / 10mg 1カプセル / 20mg 1カプセル 米国 1,310.96ドル 150,760.40円 英国 634.46ポンド 107,223.70円 外国平均価格 128,992.10円 (注)為替レートは平成27年10月～平成28年9月の平均 最初に承認された国(年月)： 米国(2012年12月)		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	177人	51億円	
製造販売承認日	平成28年9月28日	薬価基準収載予定日	平成28年11月18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10月4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	ロミタピドメシル酸塩	同一の薬理作用、組成、化学構造等を有する既収載品はない。
	イ. 効能・効果	ホモ接合体家族性高コレステロール血症	
	ロ. 薬理作用	ミクロソームトリグリセリド転送タンパク質 (MTP) 阻害作用	
	ハ. 組成及び化学構造		
ニ. 投与形態 剤形 用法	内用 カプセル剤 1日1回		
営業利益率	<p>平均的な営業利益率 (14.6%)^(注) × 120% = 17.5%</p> <p>(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)</p> <p>[革新性 (改善): a-3 (2p) + 希少疾病用医薬品・指定難病: b-1 (2p) = 4p]</p> <hr/> <p>本剤は、MTPを阻害することでVLDL及びカイロミクロンの形成を阻害し、LDLコレステロールを低下させる新規作用機序医薬品であり、既存の薬剤では効果不十分な患者においてもLDLコレステロールの低下効果が期待できる。加えて、本剤は希少疾病用医薬品に指定されており、対象疾患は指定難病に指定されていることから、平均的な営業利益率の+20%を適用することが妥当と考える。</p>		
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) ホモ接合体家族性高コレステロール血症の病態

ホモ接合体家族性高コレステロール血症について

- ホモ接合体家族性高コレステロール血症 (HoFH : Homozygous Familial Hypercholesterolemia) は、LDL-コレステロールの代謝に関わる LDL-コレステロール受容体の遺伝子変異あるいは関連遺伝子の変異により高 LDL-コレステロール血症が引き起こされる先天性の疾患である。
- HoFH 患者は、出生時より著明な高 LDL コレステロール血症を示し、幼少時より皮膚黄色腫、腱黄色腫等が発現する。また、若年性動脈硬化症の進行に伴い冠動脈狭窄や大動脈弁狭窄などを発症する。治療をしない場合には、急性心筋梗塞や急性冠動脈症候群により突然死に至るため、ほとんどの患者は 30 歳まで生存することができない極めて予後不良な疾患である。
- 診断は、一般的に血中総コレステロール値・理学所見・家族歴などにより臨床的に行われ、LDL 受容体活性測定や遺伝子検査も一部で行われている。
- 2014 年度における HoFH の特定疾患医療受給者証所有患者数は 166 人である。

<指定難病に係る診断基準>

- ① LDL 代謝経路に関わる遺伝子の遺伝子解析、あるいは LDL 受容体活性測定によって FH ホモ接合体であると診断されるもの。(診断確実例)
- ② 空腹時定常状態の総コレステロール値が 450 mg/dl (LDL コレステロール値が 370mg/dl) 以上、あるいは小児期より皮膚黄色腫が存在するなど重度の高コレステロール血症の徴候が存在し、薬剤治療に抵抗するもの。(診断ほぼ確実例)

既存治療について

- HoFH に対する薬物治療は、HMG-CoA 還元酵素阻害薬 (スタチン) にエゼチミブ、コレステリミド、プロブコール、抗 PCSK-9 モノクローナル抗体を追加投与する多剤併用が行われている。薬物治療では効果が不十分な場合は、LDL-コレステロールを物理的に除去する LDL アフェレーシスが推奨されているが、血漿中の LDL-コレステロールは、すぐに再蓄積するため LDL アフェレーシスは頻繁に (1-2 週ごとに) 行わなければならない。