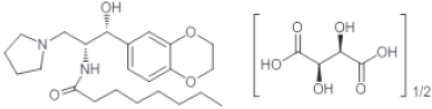


新医薬品の薬価算定について

整理番号	15-05-内-5			
薬効分類	399 他に分類されない代謝性医薬品（内用薬）			
成分名	エリグルスタット酒石酸塩			
新薬収載希望者	ジェンザイム・ジャパン（株）			
販売名 （規格単位）	サデルガカプセル100mg（100mg1カプセル）			
効能・効果	ゴーシェ病の諸症状（貧血、血小板減少症、肝脾腫及び骨症状）の改善			
主な用法・用量	通常、CYP2D6 Extensive Metabolizer 及び Intermediate Metabolizer の成人にはエリグルスタット酒石酸塩として1回100mgを1日2回経口投与。なお、患者の状態に応じて適宜減量。			
算定	算定方式	原価計算方式		
	原価計算	製品総原価	52,908.20円	
		営業利益	13,476.00円 <small>（流通経費を除く価格の20.3%）</small>	
		流通経費	4,843.50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	5,698.20円	
	外国調整	なし		
算定薬価	100mg1カプセル 76,925.90円			
外国価格		新薬収載希望者による市場規模予測		
米国 510.00ドル 54,570.00円 独国 566.33ユーロ 79,286.20円 外国平均価格 66,928.10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(年月) : 米国（2014年8月）		予測年度 予測本剤投与患者数 予測販売金額 （ピーク時） 4年度 40人 23億円		
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	エリグルスタット酒石酸塩	類似の薬理作用、組成及び化学構造等を有する既記載品がなく、新薬算定上最類似薬はないと判断した。
	イ. 効能・効果	ゴーシェ病の諸症状（貧血・血小板減少症・肝脾腫及び骨症状）の改善	
	ロ. 薬理作用	グルコシルセラミド合成酵素阻害作用	
	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2回		
営業利益率	<p>平均的な営業利益率（16.9%）^(注) × 120% = 20.3% (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]</p> <hr/> <p>本剤は新規の作用機序を有する治療薬であること、既存治療の酵素補充療法は注射であるが本剤は経口治療薬であることから、ゴーシェ病患者に新たな選択肢を提供する薬剤であると評価し、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) ゴーシェ病の病態

ゴーシェ病について

- ゴーシェ病は、常染色体劣性遺伝様式をとるライソゾーム病の一つで、ライソゾーム内の酵素であるグルコセレブロシダーゼの欠損または低下が原因で、分解されるべき糖脂質(グルコセレブロシド)がマクロファージに進行性に蓄積する疾患である。
- 主な症状として、肝脾腫、貧血、血小板減少、骨症状、神経症状が認められる。
- ゴーシェ病は、その症状や発症時期から3つの病型に分類され、神経症状を伴わない慢性非神経型のⅠ型、急速に神経症状が進行し乳児期に発症するⅡ型、神経症状を伴うがその発症が遅い亜急性神経型のⅢ型に分けられる。
- 欧米諸国、特にユダヤ人では大多数の患者がⅠ型であるが、日本人患者では、Ⅰ型、Ⅱ型、Ⅲ型の頻度が37.4%、27.9%、34.7%¹と報告されている。
- 肝脾腫と貧血、血小板減少が認められた場合、グルコセレブロシダーゼ酵素活性を皮膚線維芽細胞により測定し、活性低下を証明することにより、確定診断とされる。

既存治療について

- ゴーシェ病の諸症状(貧血、血小板減少症、肝脾腫及び骨症状)の改善を目的として酵素補充療法(イミグルセラゼ(遺伝子組換え)及びベラグルセラゼ アルファ(遺伝子組換え))が使用されている。
- 骨髄移植も実施されているが、適応される症例は限定される。

¹ 厚生労働省難治性疾患克服事業ウェブサイト(http://www.japan-lds-mhlw.jp/lds_doctors/gaucher.html)