

新医薬品の薬価算定について

整理番号	15-08-注-4						
薬効分類	395 酵素製剤（注射薬）						
成分名	アスホターゼ 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）	ストレンジック皮下注12mg/0.3mL (12mg 0.3mL 1瓶) ストレンジック皮下注18mg/0.45mL (18mg 0.45mL 1瓶) ストレンジック皮下注28mg/0.7mL (28mg 0.7mL 1瓶) ストレンジック皮下注40mg/1mL (40mg 1mL 1瓶) ストレンジック皮下注80mg/0.8mL (80mg 0.8mL 1瓶)						
効能・効果	低ホスファターゼ症						
主な用法・用量	1回1mg/kgを週6回、又は1回2mg/kgを週3回皮下投与。適宜減量。						
算 定	算定方式	原価計算方式					
	原 価 計 算		12mg 0.3mL 1瓶	18mg 0.45mL 1瓶	28mg 0.7mL 1瓶	40mg 1mL 1瓶	80mg 0.8mL 1瓶
		製品総原価	95,697円	143,545円	223,293円	318,990円	637,980円
		営業利益 （流通経費を除く 価格の15.9%）	18,093円	27,139円	42,216円	60,308円	120,617円
		流通経費 （消費税を除く 価格の6.8%）※	8,302円	12,453円	19,372円	27,674円	55,348円
		消費税	9,767円	14,651円	22,790円	32,558円	65,116円
	外国調整	なし					
算定薬価	12mg 0.3mL 1瓶 131,859円	18mg 0.45mL 1瓶 197,788円	28mg 0.7mL 1瓶 307,671円	40mg 1mL 1瓶 439,530円	80mg 0.8mL 1瓶 879,061円		
外国価格			新薬収載希望者による市場規模予測				
なし 最初に承認された国：日本			予測年度 10年度	予測本剤投与患者数 100人	予測販売金額 76億円		
製造販売承認日	平成27年7月3日		薬価基準収載予定日	平成27年8月31日			

※ 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）

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7月30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	アスホターゼ アルファ (遺伝子組換え)	同一の効能・効果等を有する既収載品はなく、新薬算定上の最類似薬はないと判断した。	
	イ. 効能・効果	低ホスファターゼ症		
	ロ. 薬理作用	組織非特異的 アルカリホスファターゼ作用		
	ハ. 組成及び化学構造	726個のアミノ酸残基からなるサブユニット2個から構成される糖タンパク質(分子量:約180,000)		
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 週6回又は週3回、皮下注射		
営業利益率	平均的な営業利益率(15.9%) ^(注) × 100% = 15.9% (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) 低ホスファターゼ症の病態

低ホスファターゼ症について

- 低ホスファターゼ症(以下、HPP)は、組織非特異型アルカリホスファターゼ(以下、TNSALP)遺伝子の不活化変異により TNSALP の活性が低下することによって起こる骨の石灰化障害を主な病態とする先天性骨代謝疾患である。
- 「厚生労働省科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 HPP の個別最適治療に向けた基礎的・臨床的検討に関する研究」(平成 24 年 3 月報告)によると、HPP の罹病患者数は 100~200 人と推定されており、周産期型 HPP の頻度は、15 万人の出生あたり 1 人と推定されている。
- HPP は、発症時期及び症状の広がりにより、周産期重症型(致死性)、周産期良性型、乳児型、小児型、成人型、歯牙限局型に分類されており、周産期重症型および乳児型は重篤で致死的な場合が多い。
- 低ホスファターゼ症は病型を問わず、年齢・性別の基準値に比したアルカリホスファターゼ(ALP)低値、骨石灰化障害及び乳歯の早期脱落によって診断される。

既存治療について

- 世界で、これまでに承認された HPP の治療薬はなく、現在の治療法は基本的に対症療法のみである。乳児期の HPP 患者では、胸郭形成が不十分であることが多く、気管挿管による人工呼吸療法が実施されており、骨の石灰化が障害されることによって起こる高カルシウム血症に対しては、食事中カルシウムの制限又はカルシウム排泄促進のため利尿薬が投与されている。また、中枢神経のビタミン B6 が不足することによりけいれん発作が見られるが、このけいれん発作に対してはビタミン B6 製剤が投与される。