

トランスサイレチン型心アミロイドーシス症例に対するビンダケル 適正投与のための施設要件、医師要件に関するステートメント

これまで希少疾患である遺伝性トランスサイレチン(変異型)アミロイドーシスによる末梢神経障害の進行抑制に対して使用されていた**ビンダケル®(一般名:タファミジスメグルミン)**が、昨年 NEJM 誌に発表された ATTR-ACT 試験の結果を受けて、本剤の効能・効果にトランスサイレチンアミロイドーシスによる心筋症が追加適応されることとなった。

厚生労働省保険局医療課から、本製剤の効能・効果に関連する使用上の注意として「本剤の適用にあたっては、最新のガイドラインを参照し、トランスサイレチンアミロイドーシスの診断が確定していることを確認すること」とされており、トランスサイレチンアミロイドーシスの診断及び治療に精通した医師のもとで、本剤の投与が適切と判断される症例に使用することが勧告された。

これに対応するため、日本循環器学会では心アミロイドーシスに関するガイドラインの策定を開始するとともに、トランスサイレチン型心アミロイドーシス症例に対してビンダケルが適正に投与されるため、厚生労働省が定める患者要件に加え、以下の施設要件、医師要件を定めることとし、これらのすべての要件が満たされることをビンダケル投与導入の条件とした。

(1)患者要件 (厚生労働省発出)

ビンダケルカプセル 20mg

トランスサイレチン型心アミロイドーシス(野生型及び変異型)

1) 本製剤の効能・効果に関連する使用上の注意において「NYHA 心機能分類Ⅲ度の患者では、NYHA 心機能分類Ⅰ・Ⅱ度の患者より相対的に本剤の有効性が低い可能性があるため、本剤の作用機序、及び臨床試験で示唆された NYHA 心機能分類と有効性の関係を十分に理解し、患者の状態を考慮した上で、本剤投与の可否を判断すること。」及び「NYHA 心機能分類Ⅳ度の患者における有効性及び安全性は確立していない。」とされているので、使用に当たっては十分留意し、本剤の初回投与に当たっては、NYHA 心機能分類Ⅰ～Ⅲ度の患者を対象とすること。

2) 本製剤を「トランスサイレチン型心アミロイドーシス(野生型及び変異型)」の効能・効果に使用する場合、本製剤の薬剤料については、次の①又は②のすべての要件を満たした場

合に算定でき、いずれに該当するかを診療報酬明細書の摘要欄に記載すること。（「患者要件①」又は「患者要件②」と記載）

① 野生型の場合

- ア 心不全による入院歴又は利尿薬の投与を含む治療を必要とする心不全 症状を有すること
- イ 心エコーによる拡張末期の心室中隔厚が 12mm を超えること
- ウ 組織生検によるアミロイド沈着が認められること
- エ 免疫組織染色により TTR 前駆タンパク質が同定されること

② 変異型の場合

- ア 心筋症症状及び心筋症と関連する TTR 遺伝子変異を有すること
- イ 心不全による入院歴又は利尿薬の投与を含む治療を必要とする心不全 症状を有すること
- ウ 心エコーによる拡張末期の心室中隔厚が 12mm を超えること
- エ 組織生検によるアミロイド沈着が認められること

(2) 施設要件 (日本循環器学会制定)

原則として^{注)}、以下の①～⑥のすべての条件を満たす施設に限り、ビンダケルの導入を認める。

- ① 日本循環器学会認定専門医研修施設
- ② 日本医学放射線学会認定放射線専門医総合修練機関
- ③ 日本病理学会 病理専門医研修認定施設
- ④ 日本血液学会 専門研修認定施設
- ⑤ 日本神経学会認定教育施設
- ⑥ 心筋生検を年間 15 例以上実施している施設

※心臓超音波検査を専門とする循環器専門医が在籍する施設(日本超音波医学会認定超音波専門医を持つ循環器専門医が在籍することが好ましい)

^{注)}:これまでの診療実績を鑑みて適切な診断及び治療を実施することが可能な施設(国立循環器病研究センター)では、施設要件①～⑥のすべての条件をすべて満たさなくてもビンダケルの導入を認める。

(3) 医師要件 (日本循環器学会制定)

- ① もしくは②の条件を満たし、かつ、③を確約する医師とする

- ① ビンダケルの適応拡大承認日以前に、変異型トランスサイレチン型アミロイドーシスに対して、ビンダケルの使用経験がある医師
 - ② 生検組織から、自施設もしくは他機関に依頼して、トランスサイレチン前駆タンパク質を免疫組織染色もしくは質量分析で同定し、トランスサイレチン型心アミロイドーシスと診断した経験が3例以上ある医師
 - ③ 投与症例の全例登録
- 一旦導入された患者への継続処方については、患者さんの利便性を考慮して、後方病院でも可とするが、導入した施設は、臨床経過の追跡調査が可能な状態を維持すること