

## 2億円を超える遺伝子治療薬が登場

### ◆米国で2億円を超える薬価の遺伝子治療薬が承認

2019年5月、米国食品医薬品局(FDA)は、スイスの製薬企業ノバルティスの子会社、米国のAveXisが開発したZolgensmaを2歳未満の幼児の脊髄性筋萎縮症(SMA)に対する治療薬として承認した。SMAは、発症すると運動発達が停止し、人工呼吸などの生命維持措置を行わない場合、生後24ヵ月までにほぼ全例が死亡する疾患だ。SMAは、運動神経細胞を維持する機能を果たすSMN1(survival motor neuron)遺伝子の変異によって生じる。Zolgensmaは遺伝子治療薬で、運動神経細胞に正常なSMN1遺伝子を届ける。これまでの臨床試験結果では、一回の投与で、死亡が回避され、生命維持措置も不要となっている。

ノバルティスはZolgensmaの価格を213万ドルとしており、米国史上最高額の医薬品となる。日本でも高額な医薬品が登場している。19年5月にCAR-T細胞療法「キムリア」が薬価収載された。薬価は3,350万円と日本史上最高額となった。Zolgensmaは日本でも18年11月に承認申請されており、最高額更新は確実だ。

### ◆費用対効果では適正、一方で医薬品の研究開発コストに批判も

米国の非営利団体である臨床経済的評価研究所(ICER)は、費用対効果評価手法を用いて、Zolgensmaは110万ドルから210万ドルの価値があると算定している。これは、SMAが致死的な小児疾患で、一回の投与で得られる質調整生存年(QALY)が長いためである。医薬品の薬価を算定するもう一つの手法として、原価計算方式がある。医薬品の製造原価と研究開発費用に適正な利潤を加えたものだ。日本は、比較する既存薬がない場合、原価計算方式に費用対効果評価手法による算定結果と外国での価格を考慮して薬価を決定する。ノバルティスはAveXisを87億ドルで買収しており、高額な買収費用が医薬品のコスト上昇につながっているとの批判の声がある。

日本は、原則、承認された医薬品はすべて健康保険の対象だ。相次ぐ高額医薬品の登場は、国民医療費の圧迫要因となる。医療技術のイノベーションを促し、健康保険制度を持続可能とするための工夫が必要だ。 【毛利光伸】