

## 論文審査の要旨及び担当者

報告番号	甲 (乙) 第	号	氏名	菊地 佳代子
論文審査担当者	主査	衛生学公衆衛生学	武林 亨	
内科学	岡本 真一郎	衛生学公衆衛生学	大前 和幸	
経済学	中村 洋			
学力確認担当者: 岡野 栄之			審査委員長: 岡本 真一郎	
			試問日: 平成27年 5月25日	

### (論文審査の要旨)

論文題名: Cost-effectiveness of adding rituximab to splenectomy and romiplostim for treating steroidresistant idiopathic thrombocytopenic purpura in adults  
(成人ステロイド抵抗性特発性血小板減少性紫斑病 (ITP) の既存治療である脾摘とロミプロスチムにRituximabを追加した場合の費用対効果の検討)

特発性血小板減少性紫斑病 (以下、ITP) に対する既存治療である脾臓摘出術とトロンボポエチン受容体作動薬 (以下、TPO-RA) であるロミプロスチムに、リツキシマブを治療選択肢の一つとして追加した場合の費用対効果について、マルコフモデルを用いた検討がなされた。有効率をはじめとする治療関連および費用関連パラメータを設定し感度分析を行った結果、リツキシマブをITP治療選択肢に組み入れた場合、治療成績が向上するとともに治療費が安くなることから、リツキシマブをITP治療に用いることは費用対効果に優れることが明らかとなった。

審査では、血小板数が10万/ $\mu$ L以下の場合にITPと診断されるにも関わらず、本研究では血小板数3万/ $\mu$ Lを基準として、治療の有無を判断した理由を問われた。アメリカ血液学会及び国内のITP治療ガイドラインで、治療の必要性については血小板数3万/ $\mu$ Lを基準としているためと回答された。次にリツキシマブは現在、ITPに対して未承認であるが、適応をとった場合、日本の医療費はどれくらい削減されるのか問われた。本研究では算出していないため、今後、検討が必要であると回答された。疾患の性質や各種治療の特徴を考えると分析期間が2年間では短いのではないかとの指摘に対しては、TPO-RAが新しい薬剤であり長期間のデータがなかったため、2年間の分析を行ったが、最近、TPO-RAの長期間の有効率や安全性に関する報告が出てきたため、今後、長期間での検討を行う予定であると回答された。また、解析に用いた治療成績・医療費国内データか否かが問われ、今回の解析ではロミプロスチムの有効率と各種治療費が国内データであるが、国内でITPレジストリー研究が進行中であり、今後は有効率や再発率に関して、国内データを使用した分析を進めたいと考えていると回答された。リツキシマブのITPに対する有効率が高いにも関わらず、ITPに対する保険適応がないことについては、希少疾患のため企業が開発を行わなかった可能性があるとされた。感度分析については、すべてのパラメータで検討すべきであったとの指摘があり、今後、再発率や緊急処置の発生率などを用いて結果の堅牢性を検討する必要があると回答された。TPO-RAの一つであるエルトロンボパグでの検討については、イギリスの医療技術評価機構で費用対効果が悪いとの評価を受けていたため、本研究では検討しなかったが、国内ではロミプロスチムよりも薬価が安く、経口剤であるというメリットがあるため、今後、検討を要するとされた。

以上、本研究には検討すべき課題を残すものの、公費負担であるITP治療の費用対効果を検討し、ITP治療にリツキシマブを追加することは、ITP治療の費用対効果の改善につながる可能性があることを示した点で、有意義な研究であると評価された。