

「ルクスターナ注 適正使用指針」の留意事項

ルクスターナ注の使用にあたっては、すでに国内の適正使用指針が出されている。そのなかで、
＜効能、効果又は性能に関連する使用上の注意＞として指摘されているのは、以下の2点である。

- (1) 遺伝学的検査により RPE65 遺伝子の両アレル性の変異が確認された患者に投与すること。
- (2) 適切な検査により十分な生存網膜細胞を有することが確認された患者に投与すること。

しかし実際の治療にあたって上記の2点では具体性に欠けるため、国内での治療実施における留意点を以下のように追加記載することにした。

1) 本治療薬の使用にあたっては、承認に先立って実施された国内臨床治験(A11301 試験)の組み入れ基準(適正使用指針の9ページ目に記載)を参考にして、適合性を判断する。

2) A11301 試験の組み入れ基準において厳密に規定されていない点については、さらに以下に従って適合性を判断する。

* RPE65 変異が両アレル性であることは、可能な限り信頼性の高い方法を用いて確認すべきである。

* 治療効果を考慮すると、若年者の治療が推奨される。ただし、対象年齢の上限は設定しない。また、視機能評価を正確に行うことが困難な4歳未満の患者に対しては、特に慎重に投与を検討すべきである。

* 本治療の施行後にも網膜萎縮が進行する可能性があることを考慮し、網膜生存網膜細胞の評価は慎重に行うべきである。評価にあたっては、OCTを用いて後極部に十分な網膜外層構造(網膜色素上皮層から外顆粒層にかけて)が残存していることを確認する。その判断にあたっては、遺伝性網膜疾患を専門とする眼科医2名以上が確認し、合意をする必要がある。

* 治療侵襲による視機能への影響を上回る治療効果が得られることが期待できる患者を治療対象とする。

厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患政策研究事業

「網膜脈絡膜・視神経萎縮症に関する調査研究班」 ゲノム診断・治療グループ

(角田和繁、池田康博、近藤峰生、辻川明孝、前田亜希子、三宅正裕、西口康二)

遺伝子治療ワーキンググループ

(角田和繁、池田華子、近藤寛之、仁科幸子、前田亜希子、村上祐介)

JRVS 理事長 坂本泰二