

2024年6月25日

プロトロンビン複合体濃縮製剤（PPSB）の供給に関する 質問と意見

武田薬品工業株式会社
希少疾患事業部 血漿分画製剤領域
企画渉外 塩入 将介 様

日頃より凝固異常症治療のために御尽力を賜り、ありがとうございます。今般、御社製造によるプロトロンビン複合体濃縮製剤(以下、PPSB)の供給に関して深甚なる懸念と疑問が生じておりますので、日本の血友病患者会の連絡体である「一般社団法人 ヘモフィリア友の会ネットワーク」理事長である私——松本剛史より、御質問と意見を差し上げる次第です。

そもそも昨年、御社成田工場の改修計画が伝えられ、第2回薬事・食品衛生審議会薬事分科会血液事業部会（9月20日）において、2024年度におけるPPSB供給への影響が論点の一つとなりました。この際、貴兄は私と以下のやりとりを行ないました。

塩入 一部の製剤を除いては、基本的には来年度も同じ量を供給できるだけの生産、在庫の積上げというのを行ってシャットダウンを迎えるという計画になっております。

松本 武田薬品工業さんだけしか作っていない製剤というのも実際あって、PPSBとかがそうだろうと思うのですが、2024年度も、きちんと前年並みに供給が可能であるという理解でいいのですね。

塩入 おっしゃるとおりです。

明らかにここでは、2024年度におけるPPSB供給に変化はない、問題はないという見解が示されています。

しかしながら、現在に至り、各医療施設において、PPSBの供給が抑えられている、滞っているとの情報が伝わりはじめました。そのため、先頃の血液事業部会運営委員会（6月19日）の非公開議題において、この問題が話し合われましたが、そこでも御社からは概ね――

2024年10月の成田工場シャットダウンに備えた在庫積み上げは、PPSBも含めて順調に行なわれている。

全体として、例年通りの出荷数量は確保可能である。ただし、元々の生産量が少ないため、急に使用バイアル数が増えた時には不足する可能性はある。現在、PPSBの供給が不足しているという状況はない（卸やMRの表現の仕方が不適切だったかもしれない）。

――というような御説明でした。これを額面通りに受け取れば、基本的に問題はないこととなります。しかしながら、現場の医療者からは、御社の御説明とは全く異なる声が上がっています。

血友病をはじめとする様々な凝固異常症患者を多数診療している東京都内・X病院のZ医師からは、以下のような切実な状況が届いています。

- ・当院には、PPSBを使用する成人1名、小児2名の患者がおり、2-3カ月間隔で通院している。
- ・直近1年間で、260瓶の500単位PPSBを処方した。
- ・今般、1患者の来院準備のため20瓶発注したところ、当院の割り当ては1カ月15瓶までの予定との連絡を突然受けた。それでは従来ペースでの使用は賄えない。
- ・小児患者は週1回投与から2回への変更、体重増加による1回1瓶から2瓶への増量も考慮が必要であり、武田薬品工業が算出した必要量の根拠が実際は変化することを考慮していない可能性がある。
- ・当院は必要量の調査を受けておらず、何らかの推定値に基づき算出したものと思われる。
- ・先頃、薬剤部へ6月は34瓶供給するとの連絡があった。

- ・ただし、7月は15瓶、それ以降は未定とのことである。
- ・従って、既に処方制限と代替治療の準備が必要な状態となっている。
- ・既に代替治療の候補となるケイセントラの製造販売会社に対して、在庫状態と供給見通しの確認を実施している。
- ・当院では、患者さんへPPSBの供給が不安定となっていることを説明し、1か月単位で来院可能か、旅行の計画はないかなど調査を始めている。
- ・外傷や手術など緊急時の追加使用量は確保されているのか、不安である。
- ・現実に供給を制限が通知されている状況を武田薬品工業はどのように考えているのか？

第Ⅱ因子欠乏症や第Ⅹ因子欠乏症の患者には適応症を有する承認薬としての濃縮製剤が存在せず、患者の絶対数は限られているにせよ、治療のために適応外としてPPSBを使用せざるを得ない患者が一定数存在します。その人々にとっては、もしも製剤の供給が不足する、あるいは欠乏するというような事態が起きたならば、文字通り生命の危機に瀕することも予想されます。これは、私たち「全国ネットワーク」として、到底看過することの出来ない重大な問題であります。

つきましては、以下の各論点につきまして、改めて御社からの正確な情報と確実な見解を可及的速やかにお答えいただきたいと思います。

- ・現時点におけるPPSBの保有（在庫）状況。
- ・従来の使用ペースを基にして、今後の供給に関する確実な見通し。
- ・緊急時における急激な使用量増加に対する見通し。
- ・仮に実は現状に問題があるという場合、その解消、解決の見通し。
- ・日本血栓止血学会の血友病部会や東京ヘモフィリアネットワークなど専門医療者の組織との連携状況。

一般社団法人 ヘモフィリア友の会全国ネットワーク
理事長 松本 剛史