ドプテレット®錠20mg

＜アバトロンボパグマレイン酸塩＞

（持続性及び慢性免疫性血小板減少症）

第 2 部（モジュール 2）
CTD の概要（サマリー）

2.2　緒言

Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社

Property of the SOBI group - strictly confidential

目次

略語・略号一覧.....3
2.2 緒言.....4
2.2.1 参考文献.....5

表目次

表 2.2-1 申請効能・効果及び用法・用量.....4

略語・略号一覧

略語・略号	略していない表現（英）	略していない表現（日）
ITP	immune thrombocytopenia (idiopathic thrombocytopenic purpura)	免疫性血小板減少症（特発性血小板減少性紫斑病）
TPO	thrombopoietin	トロンボポエチン

2.2 緒言

アバトロンボパグ（製品名：ドプテレット錠 20 mg、一般名：アバトロンボパグマレイン酸塩）は、経口投与可能な低分子のトロンボポエチン（TPO）受容体作動薬であり、造血前駆細胞から巨核球の増殖及び分化を促進し、血小板数を増加させる。アバトロンボパグは、TPO と競合することなく TPO 受容体に結合し、血小板産生を促進する。

アバトロンボパグは、2018 年 5 月に米国、2019 年 6 月に欧州で待機的な観血的手技を予定している慢性肝疾患患者における血小板減少症に係る効能・効果で、また、2019 年 6 月に米国、2021 年 1 月に EU において既存治療で効果不十分な慢性免疫性血小板減少症に係る効能・効果で承認され、2025 年 5 月現在、米国、EU、英国、カナダ及びオーストラリアを含む 15 の国又は地域で承認されている。

本邦では 2023 年 3 月に「待機的な観血的手技を予定している慢性肝疾患患者における血小板減少症の改善」を効能又は効果として製造販売承認を取得している。

一次性特発性血小板減少性紫斑病（ITP）の有病率は成人 10 万人あたり最大 9.5 例、発症率は成人 10 万人あたり年間約 3.3 例で、これは年齢とともに上昇する（Zufferey, 2017）。ITP の年齢による調整後の有病率は、北欧では 10 万人あたり 2.68 例、米国では 10 万人あたり 9.5 例と推定されている（カットオフ血小板数が 100×10^9/L 未満の場合）（Michel, 2009）。欧州には慢性 ITP 患者が約 5 万例いると推定される（Gernsheimer, 2008）。欧州では、成人の ITP の有病率は 10 万人当たり 1～4 例と推定されており、目立った季節変動はない（Frederiksen, 1999; Moustafa, 2019）。日本では、約 25,000 例が ITP に罹患していると考えられる。日本での ITP の発症率は 10 万人あたり年間 2.16 人と推定されており［成人特発性血小板減少性紫斑病治療の参照ガイド 2019 改訂版（厚生労働省難治性疾患政策研究事業　血液凝固異常症等に関する研究班, 2019）］、ITP の有病率に日本と海外で差はない。日本では、ITP は、「免疫性血小板減少症」として厚生労働省により指定難病の一つ（指定難病 63）に指定されている。

今般、日本人慢性 ITP 患者を対象とした多施設・非盲検・第 3 相試験（AVA-ITP-307 試験）において、アバトロンボパグの慢性 ITP に対する有効性及び安全性が確認されたこと、また得られた成績は海外で実施された試験成績とも一貫していたことから、承認事項一部変更承認申請を行うに至った。

表 2.2-1　申請効能・効果及び用法・用量

申請区分	医療用医薬品（4）新効能医薬品及び（6）新用量医薬品
申請効能・効果*	○待機的な観血的手技を予定している慢性肝疾患患者における血小板減少症の改善 ○持続性及び慢性免疫性血小板減少症

申請用法・用量*	＜待機的な観血的手技を予定している慢性肝疾患患者における血小板減少症の改善＞ 通常、成人には、アバトロンボパグとして以下の用量を1日1回、5日間食後に経口投与する。 投与開始前の血小板数が40,000/μL以上50,000/μL未満：40 mg 投与開始前の血小板数が40,000/μL未満：60 mg ＜持続性及び慢性免疫性血小板減少症＞ 通常、成人には、アバトロンボパグとして初回投与量20 mgを1日1回、食後に経口投与する。投与開始後、血小板数、症状に応じて用法・用量を適宜調節する。また、最高投与量は40 mgを1日1回とする。

*：下線部を追加

2.2.1 参考文献

Frederiksen H, Schmidt K. The incidence of idiopathic thrombocytopenic purpura in adults increases with age. Blood. 1999; 94: 909-913.

Gernsheimer T. Epidemiology and pathophysiology of immune thrombocytopenic purpura. Eur J Haematol. 2008; 80(s69): 3-8.

Michel M. Immune thrombocytopenia purpura: epidemiology and implications for patients. Eur J Haematol. 2009: 82 (Supp 71): 3-7.

Moustafa I, Badawy MEA, Fetouh SM. Eltrombopag-Induced Myelofibrosis in Patients with Adult Immune Thrombocytopenia: Scoping Review. EMJ Hematol. 2019; 7(1): 69-79.

Zufferey A, Kapur R, Semple JW. Pathogenesis and Therapeutic Mechanisms in Immune Thrombocytopenia (ITP). J. Clin. Med. 2017; 6(2): 16.

成人特発性血小板減少性紫斑病治療の参照ガイド 2019 改訂版
厚生労働省難治性疾患政策研究事業　血液凝固異常症等に関する研究班
「ITP 治療の参照ガイド」作成委員会