

## 第Ⅲ回要望に係る専門作業班（WG）の検討状況の概要等について

### 1. 第24回検討会議終了時点の「医療上の必要性（適応疾患の重篤性・医療上の有用性）」の評価状況

- 検討中課題は23（未承認薬3、適応外薬20）品目であった。

WGの検討状況		代謝・その他	循環器	精神・神経	抗菌・抗炎症	抗がん	生物	小児	合計	
検討済み	必要性高い	未承認薬	1	2	3	3	0	0	1	10
		適応外薬	0	3	0	2	5	0	3	13
	必要性高くない	未承認薬	0	2	0	3	1	0	0	6
		適応外薬	0	0	0	1	3	0	0	4
検討対象外	未承認薬	0	0	0	0	2	0	0	2	
	適応外薬	10	1	2	3	6	0	0	22	
検討中	未承認薬	0	2	0	0	1	0	0	3	
	適応外薬	9	3	0	0	6	1	1	20	
既に開発中	未承認薬	0	1	1	0	3	0	0	5	
	適応外薬	2	0	0	1	1	0	1	5	
合計		22	14	6	13	28	1	6	90	

※「検討対象外」には検討前に要望者から取り下げられた要望（適応外：代謝・その他1件）を含む

### 2. 前回会議から本会議までの「医療上の必要性（適応疾患の重篤性・医療上の有用性）」の評価状況

- 前回会議時点で検討中であった23品目及び第3期要望の56品目について、平成27年9月末までのWGにおける評価の進捗状況は、下表のとおりである。
- 平成27年10月14日現在、検討中課題（残課題）数は37（未承認薬3、適応外薬34）品目である。
- 現在検討中である品目について本資料の別添1※に掲載した。

※ 新たに検討対象外と判断したもの、開発中であることが明らかになったものも含む。

WGの検討状況		代謝・その他	循環器	精神・神経	抗菌・抗炎症	抗がん	生物	小児	合計	
検討済み	必要性高い	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0
		適応外薬	0	0	0	0	1	0	0	1
	必要性高くない	未承認薬	0	2	0	0	0	0	0	2
		適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0
検討対象外	未承認薬	0	0	0	0	3	0	0	3	
	適応外薬	23	1	0	0	9	0	0	33	
検討中	未承認薬	0	2	0	0	1	0	0	3	
	適応外薬	10	9	2	3	8	1	1	34	
既に開発中	未承認薬	1	0	0	0	0	0	0	1	
	適応外薬	0	0	0	0	2	0	0	2	
合計		34	14	2	3	24	1	1	79	

### 3. 第24回検討会議終了時点の開発要請と公知申請の妥当性の確認状況について

- 前回会議までに医療上の必要性が高いと評価された23品目の開発要請と公知申請への該当性の確認状況については下表のとおりである。

検討会議	必要性が高いと評価された品目数	開発要請・企業公募日	開発要請品目数	企業公募品目数	合計
第19回～第20回	3	H26.8.29	3	0	3
第21回	1	H26.11.10	1	0	1
第22回	2	H27.2.27	0	2	2
第23回	11	H27.5.21	10	1	11
第24回	6	—	—	—	—
合計	23	—	14	3	17

各WGの検討状況	合計	
企業に開発要請したもの	14	
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	1
既に関済に着手しているもの (承認申請済みのものを含む)	未承認薬	1
	適応外薬	0
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	2
	適応外薬	0
実施が必要な試験や公知申請の妥当性について検討中のもの	未承認薬	4
	適応外薬	6
開発企業を公募したもの	3	
合計	17	

### 4. 前回検討会議から本会議までの開発要請と公知申請の妥当性の確認に係る進捗状況について

- 前回会議で医療上の必要性が高いと評価された6品目について、平成27年8月31日に開発要請を行った。
- 前回会議時点で公知申請の妥当性等を検討中であった10品目、及び今回会議までに開発要請を行った6品目について、平成27年9月末までのWGにおける評価の進捗状況は、下表のとおりである。
- 平成27年10月14日現在、検討中課題（残課題）数は15（未承認薬4、適応外薬11）品目である。
- 現在検討中である品目について本資料の別添2※に掲載した。

※ WGで公知妥当性以外の判断をしたものもこちらに掲載する。

各WGの検討状況	合計	
企業に開発要請したもの	16	
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	0
既に関済に着手しているもの (承認申請済みのものを含む)	未承認薬	0
	適応外薬	0
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	1
	適応外薬	0
実施が必要な試験や公知申請の妥当性について検討中のもの	未承認薬	4
	適応外薬	11
開発企業を公募したもの	0	
合計	16	

## 専門作業班にて、「医療上の必要性に係る基準」への該当性等を検討中の要望一覧

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
<b>&lt;代謝・その他WG&gt;</b>								
1	Ⅲ-①-22.1	オランザピン	抗悪性腫瘍剤投与に伴う消化器症状(悪心嘔吐)	成人に対して他の制吐剤と併用し、オランザピン5mgもしくは10mgを投与する。	日本緩和医療学会	日本イーライリリー	適応外薬	
	Ⅲ-①-22.2				日本消化器病学会			
2	Ⅲ-①-49	バシキシマブ(抗CD25抗体製剤:遺伝子組換え)	<ul style="list-style-type: none"> <li>下記のような場合の肝臓移植後の拒絶反応の予防並びに治療(成人)</li> <li>腎機能低下例</li> <li>ステロイド非使用が好ましい例(C型肝炎陽性例、小児など)</li> <li>その他、カルシニューリン阻害薬(CNIを一時的に中止又は減量しなければならない時</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>20mgを移植手術2時間前と移植後4日目の2回投与する</li> <li>本薬剤に対する重篤な過敏反応や移植片が生着しなかったときには二回目の投与は行わない</li> <li>本薬剤に対する重篤な過敏反応や移植片が生着しなかったときには二回目の投与は行わない</li> </ul>	日本移植学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬	
3	Ⅲ-①-72	ランレオチド酢酸塩	甲状腺刺激ホルモン産生下垂体腫瘍	通常、成人にはランレオチドとして90 mgを4週毎に3か月間、深部皮下に注射する。その後は患者の病態に応じて60 mg、90 mg又は120 mgを4週毎に投与する。	日本間脳下垂体腫瘍学会	帝人ファーマ株式会社	適応外薬	
	Ⅲ-①-72.2				日本神経内分泌学会			
	Ⅲ-①-72.3				日本内分泌学会			
4	Ⅲ-①-78	リツキシマブ(遺伝子組換え)	ループス腎症	1回当たり375 mg/m <sup>2</sup> を1週間間隔で4回投与、又は1回当たり1,000 mg/bodyを2週間空けて2回投与(Day 1, Day 15)	一般社団法人日本リウマチ学会	全薬工業株式会社	適応外薬	
5	Ⅲ-①-80	レボチロキシナトリウム	粘液水腫性昏睡/重症甲状腺機能低下症	通常、成人にはレボチロキシナトリウムとして初回量50~200 µgを静脈内注射する。その後、50~100 µgを1日1回点滴静注し、意識障害が改善するまで継続する。なお、年齢、症状により適宜増減する。	日本甲状腺学会、日本内分泌学会、日本救急医学会、日本病院総合診療医学会	APP Pharma(米国) Henning Berlin/Sanofi(独国) Laboratoires SERB(仏国) PHARMACEUTICAL PARTNERS OF CANADA(加国)	適応外薬	
6	Ⅲ-②-6	リツキシマブ(遺伝子組換え)	成人腎移植における抗体関連型拒絶反応の治療	抗体関連型拒絶反応の治療の場合、リツキサン375mg/m <sup>2</sup> 計4回まで(全身状態により適宜減量)	日本移植学会	全薬工業株式会社	適応外薬	
7	Ⅲ-②-7	リツキシマブ(遺伝子組換え)	小児腎移植における抗体関連型拒絶反応の治療	抗体関連型拒絶反応の治療の場合、リツキサン375mg/m <sup>2</sup> 計4回まで(全身状態により適宜減量)	日本移植学会	全薬工業株式会社	適応外薬	代謝・その他WG(小児WG)

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
8	Ⅲ-②-8	リツキシマブ(遺伝子組換え)	抗ドナー抗体陽性成人腎移植における術前脱感作治療	術前脱感作治療の場合、リツキサン375mg/m <sup>2</sup> 術前に4回まで(全身状態により適宜減量)	日本移植学会	全薬工業株式会社	適応外薬	
9	Ⅲ-②-9	リツキシマブ(遺伝子組換え)	抗ドナー抗体陽性小児腎移植における術前脱感作治療	術前脱感作治療の場合、リツキサン375mg/m <sup>2</sup> 術前に4回まで(全身状態により適宜減量)	日本移植学会	全薬工業株式会社	適応外薬	代謝・その他WG(小児WG)
10	Ⅲ-③-10	アザチオプリン	自己免疫性肝炎	通常ステロイドとの併用で、成人及び小児には、1日量としてアザチオプリン1~2mg/kg相当量(通常、成人には50~100mg)を経口投与する。維持療法においてステロイド不耐の場合には、本剤単独で投与する。	日本肝臓学会	グラクソ・スミスクライン株式会社 田辺三菱製薬	適応外薬	
<b>&lt;循環器WG&gt;</b>								
11	Ⅲ-①-40	ドネペジル塩酸塩	レビー小体型認知症における認知機能障害及び精神症状・行動障害の改善	通常、成人にはドネペジル塩酸塩として1日1回3mgから開始し、1~2週間後に5mgに増量し、経口投与する。効果不十分な場合には、5mgで4週間以上経過後、10mgに増量する。なお、症状により適宜減量できる。	レビー小体型認知症研究会	エーザイ株式会社	適応外薬	
12	Ⅲ-①-74	リツキシマブ(遺伝子組換え)	慢性特発性血小板減少性紫斑病	1回当たり375 mg/m <sup>2</sup> を1週間間隔で4回投与	日本血液学会	全薬工業株式会社	適応外薬	
13	Ⅲ-①-75	リツキシマブ(遺伝子組換え)	小児の慢性特発性血小板減少性紫斑病	1回当たり375 mg/m <sup>2</sup> を1週間間隔で4回投与	日本血液学会	全薬工業株式会社	適応外薬	
14	Ⅲ-③-5	ラサジリンメシル酸塩	パーキンソン病	本剤を単独で用いる場合は、通常成人にはラサジリンとして1.0mgを1日1回経口投与する。レボドパ含有製剤と併用する場合は、通常成人にはラサジリンとして0.5mgを1日1回経口投与で開始する。必要に応じて1.0mgまで増量しても良い。	日本神経学会	武田薬品工業株式会社	未承認薬	
15	Ⅲ-③-6	Lomitapide	ホモ接合体家族性高コレステロール血症(低脂肪食並びに他の脂質低下療法との併用)	1日1回経口投与。用量は5mgから開始し、忍容性を確認しながら2~4週間ごとに10mg,20mg,40mg,60mgまで増量することができる。	日本動脈硬化学会	Aegerion Pharmaceuticals 株式会社	未承認薬	
16	Ⅲ-③-11	インドシアニングリーン	血管、再建組織の血流状態観察(赤外線照射時の蛍光測定による)	0.1~0.3mg/kgを急速静注射する。	日本外科学会、日本形成外科学会	第一三共株式会社	適応外薬	

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
17	Ⅲ-③-24	アセチルコリン塩化物0.1g	麻酔後の腸管麻痺、消化管機能低下のみられる急性胃拡張、円形脱毛症。 <u>冠縮性狭心症が疑われる患者に対し、診断を確定するために施行する冠縮薬物誘発負荷試験時の冠動脈内投与。</u> ※下線部分が要望内容	麻酔後の腸管麻痺、消化管機能低下のみられる急性胃拡張には、アセチルコリン塩化物として、通常成人1回0.1g(1アンブル)を1~2mLの注射用水に使用のたびにごとに溶解し、1日1~2回皮下又は筋肉内に注射する。 円形脱毛症には、アセチルコリン塩化物として、通常成人1回0.1g(1アンブル)を5mLの注射用水に使用のたびにごとに溶解し、局所皮内の数か所に毎週1回ずつ注射する。 <u>冠縮薬物誘発負荷試験時に、左冠動脈内には生理食塩水に溶解したアセチルコリン20、50、100μgの各量を20秒間で注入する。右冠動脈内には生理食塩水に溶解したアセチルコリン20、50μgの各量を20秒間で注入する。</u> ※下線部分が要望内容	一般社団法人 日本循環器学会	第一三共株式会社	適応外薬	
18	Ⅲ-③-25	ドブタミン塩酸塩(希釈型ドブタミン塩酸塩注射液)	当該薬剤を投与することにより、心臓の交感神経を刺激し、心筋収縮力を高め、潜在的な循環動態異常を顕在化させる ※下線部分が要望内容	基本的なドブタミン負荷の用法と用量は、ドブタミンを5μg/kg/minから開始して、3分毎に10、20、30、40μg/kg/minまで、病態評価が確認できるまで増量する。 ※下線部分が要望内容	一般社団法人 日本循環器学会	塩野義製薬株式会社	適応外薬	
19	Ⅲ-③-26	インドシアニングリーン	心臓血管の血流状態観察(近赤外線照射による蛍光イメージング)	25mg バイアルを専用蒸留水(10 ml)で希釈後0.5ml - 1mlを急速静注。	日本胸部外科学会、日本心臓血管外科学会、日本血管外科学会	第一三共株式会社	適応外薬	
20	Ⅲ-③-50	トピラマート	片頭痛発作の発症抑制	トピラマート50~200mg/日、分1~2	日本神経学会	協和発酵キリン	適応外薬	
21	Ⅲ-③-51	メブプロロール酒石酸塩	片頭痛発作の発症抑制	メブプロロール40-120mg/日、分2	日本神経学会	アストラゼネカノバルティスファーマ株式会社	適応外薬	
<b>&lt;精神・神経WG&gt;</b>								
22	Ⅲ-③-23	メピバカイン塩酸塩	歯科領域における浸潤麻酔および伝達麻酔 ※下線部分が要望内容	成人に1管1.8mL(メピバカイン塩酸塩として54mg)を使用する。	一般社団法人 日本歯科麻酔学会	日本歯科薬品株式会社	適応外薬	
23	Ⅲ-③-52	モルヒネ塩酸塩水和物	激しい疼痛時における鎮痛・鎮静、激しい咳嗽発作における鎮咳、激しい下痢症状の改善及び手術後等の腸管蠕動運動の抑制、 <u>慢性閉塞性肺疾患の呼吸困難</u> ※下線部分が要望内容	通常、成人には1回5~10mg、1日15mgを経口投与する。 <u>慢性閉塞性肺疾患の呼吸困難に対しては、塩酸モルヒネ1日12mgを4回(6時間毎)に分けて投与</u> なお、年齢、症状により適宜増減する。 ※下線部分が要望内容	個人	シオノギ製薬	適応外薬	

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
<b>&lt; 抗 菌 ・ 抗 炎 症 WG &gt;</b>								
24	Ⅲ-③-12	メトトレキサート	尋常性乾癬、関節症性乾癬、膿疱性乾癬、乾癬性紅皮症	通常、1週間単位の投与量をMTXとして4～8 mgとし、1週間単位の投与量を1回又は2～3回に分割して経口投与する。分割して投与する場合、初日から2日目にかけて12時間間隔で投与する。1回又は2回分割投与の場合は残りの6日間、3回分割投与の場合は残りの5日間は休薬する。これを1週間ごとに繰り返す。なお、患者の年齢、症状、忍容性及び本剤に対する反応等に応じて適宜増減するが、1週間単位の投与量として16mgを超えないようにする。	公益社団法人日本皮膚科学会	ファイザー株式会社	適応外薬	
25	Ⅲ-③-13	乾燥濃縮人C1-インアクチベータ	遺伝性血管性浮腫の急性発作及び処置前における短期予防 ※下線部分が要望内容	1. 用法 本剤を添付の日局注射用水全量で徐々に溶解し、直接静注するか、点滴静注する。直接静注の場合は、緩徐に行う。 2. 用量 通常、成人には、1,000～1,500 国際単位を投与する。本剤投与後、数時間以内に効果の発現が認められないか、あるいは、不十分な場合には、500～1,000 国際単位を追加投与する。また、24 時間後でも症状の改善が不十分な場合には、その症状に応じて繰り返し投与する。 なお、短期予防の際には処置の6時間前以内に投与する。 ※下線部分が要望内容	公益社団法人日本口腔外科学会、公益社団法人日本皮膚科学会	CSLベーリング株式会社	適応外薬	
26	Ⅲ-③-53	乾燥濃縮人C1-インアクチベータ	遺伝性血管性浮腫の急性発作	1. 用法 本剤を添付の日局注射用水全量で徐々に溶解し、直接静注するか、点滴静注する。直接静注の場合は、緩徐に行う。 2. 用量 通常、成人には、1,000～1,500 国際単位を投与する。本剤投与後、数時間以内に効果の発現が認められないか、あるいは、不十分な場合には、500～1,000 国際単位を追加投与する。また、24 時間後でも症状の改善が不十分な場合には、その症状に応じて繰り返し投与する。 <u>本剤の投与開始にあたっては、医療施設において、必ず医師によるか、医師の直接の監督のもとで投与を行うこと。本剤による治療開始後、医師により適用が妥当とされた患者については、自己投与も可能である。</u> ※下線部分が要望内容	NPO法人HAEジャパン (HAEJ)	CSLベーリング株式会社	適応外薬	
<b>&lt; 抗 が ん WG &gt;</b>								
27	Ⅲ-①-73	リツキシマブ(遺伝子組換え)	小児のCD20陽性のB細胞性非ホジキンリンパ腫(バーキットリンパ腫、前駆Bリンパ球性リンパ腫を含む)	通常成人には、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375mg/m <sup>2</sup> を1週間間隔で点滴静注する。最大投与回数は8回とする。 (下線部を削除)	日本小児血液・がん学会	全薬工業株式会社	適応外薬	使用実態調査を依頼予定 抗がんWG(小児WG)

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
28	Ⅲ-②-2	三酸化ヒ素	初発を含む急性前骨髄球性白血病	通常、三酸化ヒ素として、0.15mg/kgを5%ブドウ糖液あるいは生理食塩液に混合して100～250mLとし、1～2時間かけて投与する。 1. 寛解導入療法：骨髄寛解が得られるまで1日1回静脈内投与する。合計の投与回数は60回を超えないこと。 2. 寛解後療法：寛解が得られた場合には、寛解導入終了後3～6週間後に開始する。5週間の間に1日1回、計25回静脈内投与する。	一般社団法人 日本血液学会	日本新薬株式会社	適応外薬	
29	Ⅲ-②-3.1	シタラビンリポソーム	悪性リンパ腫に伴う髄膜播種	通常、成人には50mg(1バイアル)を髄腔内(腰椎穿刺又はオンマイヤーリザーバーを用いて脳室内)に投与する。 以下の導入、地固め、維持療法が推奨されている。 導入治療：50mgを14日ごとに2回(1、3週)投与する。 地固め治療：50mgを14日ごとに3回(5、7、9週)、その後13週目に50mgを1回投与する。 維持治療：50mgを28日ごとに4回(17、21、25、29週)投与する。	一般社団法人日本リンパ網内系学会	米国・カナダ：Sigma-Tau Pharmaceuticals 欧州：Mundipharma International Limited	未承認薬	
	Ⅲ-②-3.2				一般社団法人日本血液学会			
30	Ⅲ-③-1.1	ボルテゾミブ	原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫	原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫に対し他の抗悪性腫瘍剤との併用において、成人に1日1回、ボルテゾミブとして1.3 mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を週2回、2週間(1、4、8、11日目)静脈内投与又は皮下投与した後、10日間休薬(12～21日目)する。この3週間で1サイクルとし、投与を繰り返す。	一般社団法人日本リンパ網内系学会	ヤンセンファーマ株式会社	適応外薬	同一の要望内容であるⅢ-③-1とⅢ-③-3を、Ⅲ-③-1.1、Ⅲ-③-1.2として取り扱う
	Ⅲ-③-1.2				一般社団法人 日本血液学会			
31	Ⅲ-③-7	オキサリプラチン	小腸癌	他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常成人にはオキサリプラチン85mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を1日1回静脈内に2時間で点滴投与し、少なくとも13日間休薬、又は130mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を1日1回静脈内に2時間で点滴投与し、少なくとも20日間休薬する。これを1サイクルとして投与を繰り返す。なお、患者の状態により適宜減量する。	特定非営利活動法人日本臨床腫瘍学会	株式会社ヤクルト本社	適応外薬	
32	Ⅲ-③-8	フルオロウラシル	小腸癌	通常、成人にはレボホリナートとして1回200 mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を2時間かけて点滴静脈内注射する。レボホリナートの点滴静脈内注射終了直後にフルオロウラシルとして通常成人 400 mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を静脈内注射、さらにフルオロウラシルとして2400～3000mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を46時間持続静注する。これを2週間ごとに繰り返す。	特定非営利活動法人日本臨床腫瘍学会	協和発酵キリン株式会社	適応外薬	

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
33	Ⅲ-③-9	アレムツマブ	1) 再発又は難治性の慢性リンパ性白血病 2) 造血幹細胞移植の前治療 ※下線部分が要望内容	1) 1日1回3mgの連日点滴静注から開始し、1日1回10mgを連日点滴静注した後、1日1回30mgを週3回隔日に点滴静注する。 2) 1日1回体重1kgあたりアレムツマブ0.16mgを緩徐に点滴静注する。投与期間は造血幹細胞移植前処置として6日間とする。 ※下線部分が要望内容	日本造血細胞移植学会、日本血液学会、日本リンパ網内系学会、日本小児血液・がん学会、グループ・ネクサス・ジャパン、NPO血液患者コミュニティもの木、HosPAC/院内患者会世話人連絡協議会、東大病院おしゃべり会パロス/Pharos	サノフィ株式会社	適応外薬	
34	Ⅲ-③-19	フルダラビンリン酸エステル	再発・難治性小児急性骨髄性白血病に対する他の抗悪性腫瘍剤との併用療法	Fludarabine 1回量30mg/m <sup>2</sup> を30分以上かけて5日間点滴静脈内投与する。	日本小児血液・がん学会	サノフィ株式会社	適応外薬	
35	Ⅲ-③-54	テモゾロミド	再発・難治性ユーイング肉腫(小児)	○テモダールカプセル20mg・テモダールカプセル100mg 再発・難治性ユーイング肉腫に対してトポイソメラーゼ阻害剤などの併用の一剤として、1回100~125 mg/m <sup>2</sup> を1日1回連日5日間、経口投与し、16日間以上休薬する。これを1コースとして、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。 ○テモダール点滴静注用 100mg 下記のとおり本剤を90分間かけて静脈内投与する。 再発・難治性ユーイング肉腫に対してトポイソメラーゼ阻害剤などの併用の一剤として、1回100~125 mg/m <sup>2</sup> を1日1回連日5日間、投与し、16日間以上休薬する。これを1コースとして、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。	日本小児血液・がん学会	MSD株式会社	適応外薬	
<b>&lt;生物WG&gt;</b>								
36	Ⅲ-①-29.1	乾燥人フィブリノゲン	抗菌・抗炎症WG	注射用水に溶解し、静脈内に注入する。通常1回3gを用いる。なお、年齢・症状により適宜増減する。	日本麻酔科学会	一般社団法人 日本血液製剤機構	適応外薬	
	日本外傷学会							
	一般社団法人 日本血栓止血学会							
<b>&lt;小児WG&gt;</b>								
37	Ⅲ-①-39	シルデナフィルクエン酸塩	小児の肺動脈性肺高血圧症	体重20kg以下の小児の最大用量は30mg、分3の経口投与。体重20kg超の小児の最大用量は60mg、分3の経口投与。なお、患者の状態により開始用量は0.5~1mg/kg/日、分3の経口投与としても良い。	日本小児循環器学会	ファイザー株式会社	適応外薬	小児WG(循環器WG)

未承認薬	3
適応外薬	34
合計	37

新たに開発中であることが分かった要望

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	備考
<b>&lt;代謝・その他WG&gt;</b>								
1	Ⅲ-③-21	propranolol	乳児血管腫	プロプラノロールとして1 mg/kg/dayを開始用量とし、3 mg/kg/dayまで漸増する。1日2回に分けて投与する。	日本小児血液・がん学会	マルホ株式会社	未承認薬	
<b>&lt;抗がんWG&gt;</b>								
2	Ⅲ-②-4	ベンダムスチン塩酸塩	未治療の低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫又はマントル細胞リンパ腫	28日間を1サイクルとし、1日目及び2日目にベンダムスチン塩酸塩として90 mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を、1日目にリツキシマブ375 mg/m <sup>2</sup> を点滴静注し、最大6サイクル繰り返し投与する。	一般社団法人グループ・ネクサス・ジャパン	シンバイオ製薬株式会社	適応外薬	
3	Ⅲ-②-5	ベンダムスチン塩酸塩	再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞性リンパ腫	3週間を1サイクルとし、1日目及び2日目にベンダムスチン塩酸塩として120 mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を1日1回点滴静注する。	一般社団法人グループ・ネクサス・ジャパン	シンバイオ製薬株式会社	適応外薬	

未承認薬	1
適応外薬	2
合計	3

検討対象外の要望

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	備考
<b>&lt;抗がんWG&gt;</b>								
1	Ⅲ-①-16	イブリツモマブ チウキセタン(遺伝子組換え)塩化 イットリウム( <sup>90</sup> Y)	CD20陽性の低悪性度濾胞性リンパ腫の初発例に対する寛解導入後の地固め療法	通常、成人には、リツキシマブ(遺伝子組換え)を点滴静注後、速やかに、イットリウム( <sup>90</sup> Y)イブリツモマブチウキセタン(遺伝子組換え)として14.8MBq/kg(最大1184MBq)を10分間かけて静脈内投与する。	日本血液学会	スペクトラム・ファーマ シューティカルズ合同 会社	適応外薬	要望取り下げ
2	Ⅲ-③-3	ボルテゾミブ	原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫	原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫に対し他の抗悪性腫瘍剤との併用において、成人に1日1回、ボルテゾミブとして1.3 mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を週2回、2週間(1, 4, 8, 11日目)静脈内投与又は皮下投与した後、10日間休薬(12~21日目)する。この3週間を1サイクルとし、投与を繰り返す。	一般社団法人 日 本血液学会	ヤンセンファーマ株式 会社	適応外薬	Ⅲ-③-1と同一の要望内容であることから、Ⅲ-③-1.2として取り扱う
3	Ⅲ-③-15	Lomustine	髄芽腫、高悪性度グリオーマ(神経膠腫)	100-110 mg/sqm 6週毎(単剤またはピンクリスチン併用時)、75 mg/sqm 6週毎(シスプラチン、ピンクリスチン併用時)に内服する。	日本小児血液・が ん学会	ブリストルマイヤーズ スクイブ	未承認薬	要望取り下げ
4	Ⅲ-③-18	ゲムツズマブオ ゾガマイシン	小児の急性骨髄性白血病に対する他の抗悪性腫瘍剤との併用療法	ゲムツズマブオゾガマイシン1回量 3 mg/m <sup>2</sup> (たん白質量として表記)を2時間かけて点滴静脈内投与する。	日本小児血液・が ん学会	ファイザー株式会社	適応外薬	要望取り下げ
5	Ⅲ-③-20	クリゾチニブ	未分化リンパ腫キナーゼ(ALK)陽性の小児再発・難治性未分化大細胞リンパ腫	280 mg/m <sup>2</sup> を1日2回に分けて内服する	日本小児血液・が ん学会	ファイザー株式会社	適応外薬	要望取り下げ
6	Ⅲ-③-55	テモゾロミド	再発・難治性神経芽腫	○テモダールカプセル20mg・テモダールカプセル100mg 再発・難治性神経芽腫に対してトポイソメラーゼ阻害剤などとの併用の一剤として、1回100~150 mg/m <sup>2</sup> を1日1回連日5日間、経口投与し、16日間以上休薬する。これを1コースとして、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。 ○テモダール点滴静注用 100mg 下記のとおり本剤を90分間かけて静脈内投与する。 再発・難治性神経芽腫に対してトポイソメラーゼ阻害剤などとの併用の一剤として、1回100~150 mg/m <sup>2</sup> を1日1回連日5日間、投与し、16日間以上休薬する。これを1コースとして、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。	日本小児血液・が ん学会	MSD株式会社	適応外薬	検討対象外

※「検討対象外」には検討前に要望者から取り下げられた要望を含む

※30品目(未承認薬2品目、適応外薬28品目)については、第24回検討会議資料「第Ⅲ回第三期要望一覧」にて報告済みのため記載省略

未承認薬	1
適応外薬	5
合計	6

## 専門作業班にて、実施が必要な試験等を検討中の要望一覧

No.	要望番号	成分名	要望内容	要望者	会社名	開発要望に対する企業見解 (概略) <sup>注1</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<b>&lt;循環器WG&gt;</b>								
1	Ⅲ-①-18	A型ボツリヌス毒素	抗コリン薬でコントロール不十分な、特定神経疾患(脊髄損傷又は多発性硬化症等)により生じた神経因性排尿筋過活動に起因する尿失禁の治療	日本排尿機能学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	開発方針を検討した上で必要とされる臨床試験計画を立案する。	治験相談実施済み。	適応外薬
2	Ⅲ-①-19	A型ボツリヌス毒素	抗コリン薬で効果不十分又は忍容性のない成人患者における切迫性尿失禁、尿意切迫感、頻尿症状を伴う過活動膀胱の治療	日本排尿機能学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	開発方針を検討した上で必要とされる臨床試験計画を立案する。	治験相談実施済み。	適応外薬
<b>&lt;精神・神経WG&gt;</b>								
3	Ⅲ-①-3	Cisatracurium besylate	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。(成人)	日本小児救急医学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	開発方針を検討した上で必要とされる臨床試験計画を立案する。	治験相談利用予定あり。 (2016年1月頃)	未承認薬
					アヅヴィ合同会社	開発方針を検討中。	-	
4	Ⅲ-①-4	Cisatracurium besylate	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。(小児)	日本小児救急医学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	開発方針を検討した上で必要とされる臨床試験計画を立案する。	治験相談利用予定あり。 (2016年1月頃)	未承認薬
					アヅヴィ合同会社	開発方針を検討中。	-	
5	Ⅲ-①-12	アーティカイン塩酸塩・アドレナリン酒石酸水素塩	歯科領域における浸潤麻酔又は伝達麻酔	日本歯科麻酔学会	デンツプライ三金株式会社	開発方針を検討した上で必要とされる臨床試験計画を立案する。	-	未承認薬
<b>&lt;抗菌・抗炎症WG&gt;</b>								
6	Ⅲ-①-34	コルヒチン	家族性地中海熱	日本小児リウマチ学会	高田製薬株式会社	公知申請を希望する。	WGで検討中	適応外薬
7	Ⅲ-①-54	バルガンシクロビル塩酸塩	サイトメガロウイルス感染症のリスクのある臓器移植後のサイトメガロウイルス感染予防・発症抑制(成人)	日本移植学会	田辺三菱製薬株式会社	公知申請を希望する。	WGで検討中	適応外薬
<b>&lt;抗がんWG&gt;</b>								
8	Ⅲ-①-26	カベシタピン	直腸癌における補助化学療法	日本臨床腫瘍学会	中外製薬株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 <sup>注2</sup>	適応外薬

9	Ⅲ-①-60	ブスルファン	1. 同種造血幹細胞移植の前治療(小児) 2. ユーイング肉腫ファミリー腫瘍、神経芽細胞腫における自家造血幹細胞移植の前治療(小児)	日本小児血液・がん学会	大塚製薬株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 <sup>注2</sup>	適応外薬
10	Ⅲ-①-61	ブスルファン	1. 同種造血幹細胞移植の前治療(成人) 2. ユーイング肉腫ファミリー腫瘍、神経芽細胞腫における自家造血幹細胞移植の前治療(成人)	日本造血細胞移植学会	大塚製薬株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 <sup>注2</sup>	適応外薬
11	Ⅲ-①-76.1 Ⅲ-①-76.2	リツキシマブ(遺伝子組換え)	CD20 陽性のB 細胞性非ホジキンリンパ腫	日本リンパ網内系学会、日本血液学会	全薬工業株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 <sup>注2</sup>	適応外薬
<b>&lt;小児WG&gt;</b>								
12	Ⅲ-①-21	オセルタミビルリン酸塩	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症(新生児、乳児)	日本感染症学会、日本小児感染症学会、日本未熟児新生児学会	中外製薬株式会社	公知申請を希望する。	使用実態調査を依頼予定	適応外薬
13	Ⅲ-①-42	ニトロブシドナトリウム水和物	うっ血性心不全の治療	日本小児循環器学会、日本小児麻酔学会	丸石製薬株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 <sup>注2</sup>	適応外薬
14	Ⅲ-①-43	ニトロブシドナトリウム水和物	高血圧性緊急症の治療	日本小児循環器学会、日本小児麻酔学会	丸石製薬株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 <sup>注2</sup>	適応外薬
15	Ⅲ-①-69	ポリエチレングコール	慢性便秘症	日本小児栄養消化器肝臓学会	味の素製薬株式会社	開発方針を検討した上で必要とされる臨床試験計画を立案する。	治験相談利用予定あり。(2015年9月頃)	未承認薬

注1) 提出された企業見解より適宜抜粋した。  
注2) 平成27年9月30日が企業見解提出期限であった。

未承認薬	4
適応外薬	11
合計	15

治験の実施等が必要と考えられるもの

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	開発要請に対する企業見解 (概略) <sup>注</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<b>&lt;循環器WG&gt;</b>								
1	Ⅲ-①-41	トルバプタン	抗利尿ホルモン不適合分泌症候群 (SIADH)における低ナトリウム血症の改善	日本内分泌学会	大塚製薬株式会社	公知申請を希望する。	再審査期間中であることから、 本剤の有効性及び安全性は医学薬学上公知には該当しない。 また、提出された資料からも、 日本人SIADH患者における適切な用法・用量及びその有効性及び安全性、適切な使用方法が明らかとまでは言い難い。 国内臨床試験を実施し、申請予定の用法・用量の妥当性(その用法・用量での有効性及び安全性)、規定したモニタリング下での安全性等について確認する必要がある。	適応外薬

未承認薬	0
適応外薬	1
合計	1