

先 - 2 (参考資料1)  
25.11.14

「第17回 医療上必要性の高い未承認  
薬・適応外薬検討会議」会議資料(抜粋)  
平成25年10月7日

## 資料 6-2

### 企業から提出された開発工程表の概要等(第1回要望)(平成25年9月17日現在)

#### 1. 企業から提出された開発工程表に基づく情報

(単位:件)

	第1回開発要請分※ (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	計
承認済み	80	41	3	124
承認申請済み	9	5	0	14
治験計画届提出済み	15	25	2	42
公知申請予定	0	1	0	1
治験計画届提出予定	0	0	0	0
その他	3	2	0	5
合計	107	74	5	186

※要望番号176(デキサメタゾン)については2010年10月に開発要請

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	計
0	0	0	0

g. その他

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	計
3	2	0	5

g. その他(5件)

＜第1回開発要請分(3件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	治験計画届提出予定 (予定月)	個別事情	医療上の必要性が 高いと評価された日
189	ヤンセンファーマ	ドキソルビシン塩酸 塩リポソーム注射剤	ドキシル	多発性骨髄腫	2013年第1四半期	治験の中止基準に該当したため、治験中止し、再度、開発計画を検討中	平成22年4月27日

# 「医療上の必要性に係る基準」への該当性 に関する専門作業班（WG）の評価

## ＜抗がんWG＞

### 目次

＜抗がん剤分野＞	小児分野 との関係
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】	
本邦における未承認薬	
アザシチジン（要望番号；15）	1
アナグレリド（要望番号；26）	9
カルムスチン（要望番号；104）	15
ストレプトゾシン（要望番号；157）	21
タルク（要望番号；171）	27
デニロイキン ディフティトックス（要望番号；182）	33
フルベストラント（要望番号；266）	37
ポリノスタット（要望番号；291）	41
レナリドミド（要望番号；350）	45
アルデスロイキン（要望番号；359.3）	49

## 目 次（つづき）

＜抗がん剤分野＞	小児分野
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】	との関係
本邦における適応外薬	
インターフェロン アルファ-2b（要望番号；53）……………	53
エルロチニブ（要望番号；76）……………	57
カペシタビン（要望番号；95）……………	61
ゲムシタビン（要望番号；122）……………	67
セツキシマブ（要望番号；159）……………	71
ドキシソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤（要望番号；189）……	77
ドセタキセル（要望番号；190）……………	81
ノギテカン（要望番号；212）……………	87
ベバシズマブ（要望番号；278）……………	93
ボルテゾミブ（要望番号；292）……………	99
【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】	
本邦における未承認薬	
イキサベピロン（要望番号；44）……………	103
本邦における適応外薬	
ダルベポエチン アルファ（要望番号；74.2）……………	107
テモゾロミド（要望番号；185）……………	113 ○
レノグラスチム（要望番号；351.1）……………	117
フィルグラスチム（要望番号；351.2）……………	121

注) 「小児分野との関係」列の「○」について

要望内容に、小児に関連する内容が含まれるが、成人と小児に共通する疾患等であることから、各疾患分野のWGが主に担当する品目

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本骨髄腫患者の会		189
2)	要望された 医薬品	一般名	ドキソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤
		販売名	ドキシル
		会社名	ヤンセン ファーマ株式会社
3)	要望内容	効能・効果	追加要望：多発性骨髄腫  本邦承認済 効能又は効果 1.がん化学療法後に増悪した卵巣癌 2.エイズ関連カポジ肉腫
		用法・用量	本邦承認済 用法及び用量 1.*がん化学療法後に増悪した卵巣癌 通常、成人にはドキソルビシン塩酸塩として1日1回 50mg/m <sup>2</sup> を 1mg/分の速度で静脈内投与し、その後4週間休薬する。これを1コース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。 2.*エイズ関連カポジ肉腫 通常、成人にはドキソルビシン塩酸塩として1日1回 20mg/m <sup>2</sup> を 1mg/分の速度で静脈内投与し、その後2～3週間休薬する。これを1コース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。  追加：多発性骨髄腫 (米国ラベルより) 30 mg/m <sup>2</sup> IV on day 4 following bortezomib which is administered at 1.3 mg/m <sup>2</sup> bolus on days 1, 4, 8 and 11, every 3 weeks (2.4)
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 未承認薬 <input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬 (剤形追加も含む)  〔特記事項〕 なし

<p>4) 「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見</p>	<p>1. 適応疾病の重篤性 多発性骨髄腫について 多発性骨髄腫： 造血器腫瘍（血液がん）のひとつ。</p> <p>発症率： 人口 10 万人あたり 2.85 人で、現在日本国内に 13,000 人～14,000 人程度の患者を有するとされる。</p> <p>患者の年齢層： 40 歳未満の発症は稀で診断時年齢の中央値は男性 65 歳、女性 67 歳との統計がある。</p> <p>死亡率： 1970 年における人口 10 万人あたりの死亡率は 0.5 人、死亡者数 498 人であったが 2004 年には 10 万人比 2.96 人、3,779 人の命がこの病気によって失われた。今後、人口の高齢化が進行するとともに患者数、死亡者数とも更なる増加が予測される。</p> <p>症状： 特徴的かつ深刻な症状は骨痛。骨の病変は 80%近い患者に認められる。腰部、背部、胸部、四肢などの痛みを訴え、脊椎の圧迫骨折で身長が十数センチ縮む例、神経を圧迫して下半身不随となる例は稀ではない。そのほか、貧血、腎機能障害、易感染性などが代表的な症状。</p> <p>治療法： 化学療法（抗がん剤治療）が中心。自家造血幹細胞移植を伴う大量化学療法など 10 数年前と比較し格段に整備されたといえ、未だ不治の病であることに変わりない。抗がん剤に抵抗性となれば治療の手段が失われ、診断後、平均 3.5 年で死亡する。従来抗がん剤と機序の違う治療薬の開発が待たれる。</p> <p>2. 医療上の有用性 国際的な第 III 層無作為化比較試験にて、ドキシル+ベルケイドをベルケイド単剤と比較。結果、併用治療が率及び深さにおいて優位な奏効を示し、より長期な進行までの期間、奏効維持期間、無増悪生存期間、全生存期間を得た（文献注 1）。</p> <p>また、サリドマイドとの併用により、5 回以上と治療歴が長い患者群においても全奏効率 55.5%、無増悪生存期間中央値 10.9 カ月、全生存期間中央値 15.7 カ月という成績が得られた報告もある。 （文献注 2）</p>
--	--

		<p>(文献注 1) Role of combination bortezomib and pegylated liposomal doxorubicin in the management of relapsed and/or refractory multiple myeloma</p> <p>(文献注 2) Bortezomib in combination with pegylated liposomal doxorubicin and thalidomide is an effective steroid independent salvage regimen for patients with relapsed or refractory multiple myeloma: results of a phase II clinical trial.</p>
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 「ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）」に該当（根拠） 多発性骨髄腫は治癒が期待できない B 細胞リンパ系腫瘍の一つであり、日本における死亡者数は 3,779 名（2004 年）におよぶ致命的疾患である（厚生労働省平成 16 年度人口動態統計）。</p> <p>2. 医療上の有用性 「イ 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている」に該当（根拠） 比較第Ⅲ相試験によりボルテゾミブと本剤を併用することによりボルテゾミブ単剤と比較して有意な腫瘍増悪までの期間（Time to Progression）の延長を認めていることから、医療上の有用性は高いと考える。</p>
----	-------------------------------	--



9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] なし
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし  (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患） <input type="checkbox"/> イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 <input type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない  [特記事項] なし
		<p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <input type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない <input type="checkbox"/> イ 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている <input checked="" type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない  [特記事項] なし
13)	備 考	