

国内で医薬品医療機器法上未承認または適応外である医薬品等のリスト(2016年7月4日時点のデータ)(承認年月日順)

患 - 2  
28.9.21

※「国立がん研究センター 先進医療評価室 調べに基づき一部改変」

整理番号	一般名(国内)	一般名(英語)	商品名(国内)	商品名(米国)	国内企業	国内における研究開発等の状況	国内における類薬の存在	備考(国内外の開発状況)	効能日本語簡略訳(FDAまたはEMAでの承認効能) ※1、※2	領域	投与方法	日本厚生労働省承認	米国FDA承認	米国FDA承認日	欧州EMA承認	欧州EMA承認日	NCCNガイドラインで一定程度以上のエビデンスを有する薬剤 ※3	体格により投与量を変更するもの ※4	1ヶ月(1サイクル/28日/30日)あたりの薬剤費(円) 1ドル100円換算(千円未満四捨五入)
1	ベバシズマブ	bevacizumab	アバステン	Avastin	中外製薬	開発中		国内第Ⅱ相試験(JO25567試験)に基づきEMAが承認	EGFR-TKI変異陽性の未治療の切除不能又は再発非扁平上皮非小細胞肺癌 <エルロチニブとの併用投与>	肺	経静脈投与	適応外	×	-	○	2016年6月	×	*	¥591,000
2	アテゾリズマブ	atezolizumab	-	Tecentriq	中外製薬	開発中			白金系抗悪性腫瘍剤による治療歴を有する、又は白金系抗悪性腫瘍剤による補助療法から12カ月以内に進行した局所進行又は転移性の尿路上皮がん	泌尿器	経静脈投与	未	○	2016年5月	×	-	○		¥1,379,000
3	ニボルマブ	nivolumab	オプジーボ	Opdivo	小野薬品工業	2016/3/18承認申請		審査中	自家末梢血幹細胞移植及びブレンツキシマブベドチンによる治療歴を有する再発又は難治性の古典的ホジキンリンパ腫	血液	経静脈投与	適応外	○	2016年5月	×	-	○	*	¥3,220,000
4	レンパチニブ	lenvatinib mesylate	レンビマ	Lenvima	エーザイ				血管新生阻害剤による治療歴を有する進行腎細胞がん	泌尿器	経口投与	適応外	○	2016年5月	×	-	○		¥483,000
5	カボザンチニブ	cabozantinib S-malate	-	Cabometyx				Exelixis社が第Ⅰ相試験終了	血管新生阻害剤による治療歴を有する進行腎細胞がん	泌尿器	経口投与	未	○	2016年4月	×	-	○		¥1,374,000
6	アフアチニブ	afatinib dimaleate	ジオトリフ	Gilotrif	日本ベーリンガーインゲルハイム				白金系抗悪性腫瘍剤による治療歴を有する転移性扁平上皮非小細胞肺癌	肺	経口投与	適応外	○	2016年4月	○	2016年4月	×		¥314,000
7	ベネトクラックス	venetoclax	-	Venclexta	アッヴィ	開発中			少なくとも1レジメンの治療歴を有する17番染色体短腕部欠失を伴う慢性リンパ性白血病	血液	経口投与	未	○	2016年4月	×	-	○		¥214,000
8	クリゾチニブ	crizotinib	ザーコリ	Xalkori	ファイザー	開発中			ROS1陽性の転移性非小細胞肺癌	肺	経口投与	適応外	○	2016年3月	×	-	○		¥673,000
9	メルファラン	melphalan hydrochloride	-	Evomela				Propylene Glycolを含まない製剤	○多発性骨髄腫における造血幹細胞移植の前処置 ○経口抗悪性腫瘍剤が適さない多発性骨髄腫の緩和的治療	血液	経静脈投与	未	○	2016年3月	×	-	○	*	¥2,406,000
10	オビヌツズマブ	obinutuzumab	-	Gazyva	中外製薬/日本新薬	開発中			リツキシマブによる治療歴を有する再発又は難治性のろ胞性リンパ腫	血液	経静脈投与	未	○	2016年2月	×	2016年6月	×		¥448,000

11	エベロリムス	everolimus	アフィニートール	Afinitor	ノバルティスファーマ	2015/9/18承認申請		審査中	消化管又は肺原発のとする切除不能又は転移性の非機能性神経内分泌腫瘍	神経内分泌腫瘍	経口投与	適応外	○	2016年2月	○	2016年6月	×		¥759,000	
12	パルボシクリブ	palbociclib	-	Ibrance	ファイザー	開発中			内分泌療法歴を有するHR陽性、HER2陰性の進行・転移性乳がん<フルベストラントとの併用投与>	乳腺	経口投与	未	○	2016年2月	×	-	○		¥1,031,000	
13	カルフィルゾミブ	carfilzomib	-	Kyprolis	小野薬品工業	開発中			再発又は難治性の多発性骨髄腫<デキサメタゾンとの併用投与>	血液	経静脈投与	適応外	○	2016年1月	×	2016年7月	○	*	¥2,027,000	
14	タリモジェンラヘルパレブベク	talimogene laherparepvec (T-VEC)	-	Imlygic	アステラス・アムジェン・バイオファーマ	開発準備中		腫瘍溶解性ウイルス	初回手術後に再発した切除不能な悪性黒色腫における局所治療	皮膚	注射	未	○	2015年10月	○	2015年12月	○		¥2,133,000	
15	ベンダムステン	bendamustine hydrochloride	-	Bendeka				従来製剤は、CLLに対して審査中	10分間投与製剤	慢性リンパ性白血病	血液	経静脈投与	未	○	2015年12月	×	-	○	*	¥1,116,000
16	ベンダムステン	bendamustine hydrochloride	-	Bendeka				従来製剤は低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫に対して承認あり	10分間投与製剤	リツキシマブを含む治療歴のある低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫	血液	経静脈投与	未	○	2015年12月	×	-	○	*	¥2,232,000
17	エロツズマブ	elotuzumab	-	Empliciti	ブリストル・マイヤーズスクイブ	2015/12/24承認申請		審査中	1~3つの治療歴を有する多発性骨髄腫	血液	経静脈投与	未	○	2015年11月	○	2016年5月	○	*	¥1,989,000	
18	ネシツムマブ	necitumumab	-	Portrazza	日本イーライリリー	開発中			未治療の転移性扁平上皮非小細胞肺癌	肺	経静脈投与	未	○	2015年11月	○	2016年2月	×		¥1,280,000	
19	ニボルマブ	nivolumab	オブジーボ	Opdivo	小野薬品工業	2015/12/11承認申請		審査中	血管新生阻害剤による治療歴を有する進行腎細胞がん	泌尿器	経静脈投与	適応外	○	2015年11月	○	2016年4月	○	*	¥3,220,000	
20	イキサゾミブ	ixazomib citrate	-	Ninlaro	武田薬品工業	2016/07/04承認申請		2016/5/26にCHMPがnegative opinion	治療歴を有する多発性骨髄腫	血液	経口投与	未	○	2015年11月	×	-	○		¥864,000	
21	ダラツムマブ	daratumumab	-	Darzalex	ヤンセンファーマ	開発中			プロテアソーム阻害剤と免疫調整薬を含む少なくとも3つの治療歴を有する、又はいずれにも難治性の多発性骨髄腫	血液	経静脈投与	未	○	2015年11月	○	2016年5月	○	*	¥2,376,000	
22	コビメチニブ	cobimetinib	-	Cotellic					BRAD V600E又はB600K変異陽性の根治切除不能又は転移性の悪性黒色腫	皮膚	経口投与	未	○	2015年11月	○	2015年11月	○		¥605,000	
23	イピリムマブ	ipilimumab	ヤーボイ	Yervoy	ブリストル・マイヤーズスクイブ	開発中		術後補助療法	根治切除術が行われ、所属リンパ節転移が確認された皮膚悪性黒色腫における術後補助療法	皮膚	経静脈投与	適応外	○	2015年10月	×	-	×	*	¥2,912,000	

24	イリノテカン水和物リポソーム注射剤	irinotecan hydrochloride liposome injection	-	Onivyde	シャイアー	開発中	類薬 (イリノテカン) 承認あり		ゲムシタピンによる治療歴を有する転移性膵癌	膵	経静脈投与	未	○	2015年10月	×	-	○	*	¥1,004,000
25	ペンブロリズマブ	pembrolizumab	-	Keytruda	MSD	2016/2/29 承認申請			白金系抗悪性腫瘍剤による治療歴を有するPD-L1陽性の転移性非小細胞肺癌	肺	経静脈投与	未	○	2015年10月	×	2016年6月にCHMPがpositive opinion	○	*	¥1,402,000
26	ニボルマブ	nivolumab	オブジーボ	Opdivo	小野薬品工業	開発中			根治切除不能又は転移性の悪性黒色腫 <ipilimumabとの併用投与>	皮膚	経静脈投与	適応外	○	2015年9月	○	2016年5月	○	*	¥801,000
27	ソニデジブ	sonidegib	-	Odomzo					手術又は放射線治療で再発した局所進行基底細胞がん	皮膚	経口投与	未	○	2015年7月	○	2015年8月	○		¥1,006,000
28	ジヌツキシマブ	dinutuximab	-	Unituxin		開発中	国内医師主導治験実施中		初回治療に少なくとも部分奏効の認められた高リスクの神経芽細胞腫	神経芽腫	経静脈投与	未	○	2015年3月	○	2015年8月	×		¥4,200,000
29	パルボシクリブ	palbociclib	-	Ibrance	ファイザー	開発中			ER陽性、HER2陰性の進行乳がん	乳腺	経口投与	未	○	2015年2月	×	-	○		¥1,031,000
30	ブリナツモマブ	blinatumomab	-	Blinicyto	アステラス・アムジェン・バイオファーマ	開発中			フィラデルフィア染色体陰性の再発再燃の前駆B細胞性急性リンパ性白血病	血液	経静脈投与	未	○	2014年12月	○	2015年11月	○		¥5,922,000
31	オラパリブ	olaparib	-	Lynparza	アストラゼネカ	開発中			BRCA変異を有する患者の3次治療以降の卵巣がん	卵巣	経口投与	未	○	2014年12月	○	2014年12月	○		¥1,197,000
32	ニンテダニブ	nintedanib	-	Ofev (適応外) Vargatef (EU)	日本ベーリンガーインゲルハイム	開発中			局所進行、転移性又は局所再発の肺腺がんの一次治療	肺	経口投与	適応外	×	-	○	2014年11月	×		¥184,000
33	ペンブロリズマブ	pembrolizumab	-	Keytruda	MSD	2015/12/22 承認申請	審査中		切除不能または転移性悪性黒色腫	皮膚	経静脈投与	未	○	2014年9月	○	2015年7月	○	*	¥1,402,000
34	ベリノスタット	belinostat	-	Beleodaq					再発・再燃の末梢型T細胞リンパ腫	血液	経静脈投与	未	○	2014年7月	×	-	○	*	¥4,264,000
35	イデラリスブ	idelalisib	-	Zydelig	ギリアドサイエンシズ	開発中			再発性の慢性リンパ性白血病/非ホジキンリンパ腫/小リンパ球性リンパ腫	血液	経口投与	未	○	2014年7月	○	2014年9月	○		¥879,000
36	イブルチニブ	ibrutinib	イムブルピカ	Imbruvica	ヤンセンファーマ	2016/3/31 承認申請	審査中		1つ以上の前治療のあるマンデル細胞リンパ腫	血液	経口投与	未	○	2013年11月	○	2014年10月	○		¥1,049,000
37	オビヌツズマブ	obinutuzumab	オビヌツズマブ	Gazyva	中外製薬/日本新薬				未治療の慢性リンパ性白血病	血液	経静脈投与	未	○	2013年11月	○	2014年7月	○		¥896,000

38	ペルツズマブ	pertuzumab	パージェタ	Perjeta	中外製薬	開発中		術前補助療法	乳がん術前化学療法	乳腺	経静脈投与	適応外	○	2013年9月	○	2015年7月	○		¥477,000
39	レナリドミド	lenalidomide	レブラミド	Revlimid	セルジーン			2015/10/14の第25回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議において、医療上の有用性は「ウ」と判断された。	2つ以上の前治療に再燃又は増悪のマントル細胞リンパ腫	血液	経口投与	適応外	○	2013年6月	×	2016年1月にCHMPがpositive opinion	○		¥957,000
40	ポナチニブ	ponatinib	-	Iclusig	ARIAD/大塚製薬	2016/1/8承認申請		審査中	慢性期・急性期又は急性転化期で前治療に対して増悪又は不耐の慢性骨髄性白血病、Ph+急性リンパ芽球性白血病	血液	経口投与	未	○	2012年12月	○	2013年7月	○		¥1,406,000
41	カボザンチニブ	cabozantinib S-malate	-	Cometriq	プリストル・マイヤーズスクイブ			BMS社が第I相試験終了	進行、転移性の甲状腺髄様がん	甲状腺	経口投与	未	○	2012年11月	○	2014年3月	○		¥1,463,000
42	オマセタキシン	omacetaxine mepesuccinate	-	Synribo				EMAへの申請取下げ	2つ以上のチロシンキナーゼ阻害剤に増悪又は不耐の慢性骨髄性白血病	血液	皮下投与	未	○	2012年10月	申請取下げ	-	○	*	¥3,064,000
43	ピンクリスチン硫酸塩リポソーム注射剤	vincristine sulfate liposome injection	-	Marqibo			類薬(ピンクリスチン)承認あり		二回目以降の再燃又は2つ以上の治療に増悪した急性リンパ性白血病	血液	経静脈投与	未	○	2012年9月	×	-	○	*	¥4,721,000
44	アフリベルセプト	ziv-aflibercept	-	Zaltrap	サノフィ	開発中			オキサリプラチンを含む治療に増悪した転移性結腸・直腸がん	大腸	経静脈投与	未	○	2012年8月	○	2013年2月	○	*	¥1,003,000
45	カルフィルゾミブ	carfilzomib	-	Kyprolis	小野薬品工業			開発断念(審査済み)	再発又は難治性の多発性骨髄腫<単独投与>	血液	経静脈投与	適応外	○	2012年7月	×	-	○	*	¥1,216,000
46	ピキサントロン	pixantrone dimaleate	-	Pixuvri (EU)				FDAへの申請取下げ	複数回再燃の非ホジキンリンパ腫	血液	No data	未	申請取下げ	-	○	2012年5月	×		No data
47	ビスモデギブ	vismodegib	-	Erivedge					症状を有する転移性、又は手術や放射線治療が不適の局所進行基底細胞がん	皮膚	経口投与	未	○	2012年1月	○	2013年7月	○		¥986,000
48	エルウィニアL-アスパラギナーゼ	asparaginase Erwinia chrysanthemi	-	Erwinaze	大原薬品	2015/12/17承認申請		審査中	大腸菌由来のアスパラギナーゼ過敏性の急性リンパ性白血病	血液	筋肉内投与	未	○	2011年11月	×	1985年にUKで承認	○	*	¥13,678,000
49	シプルーセルT	sipuleucel-T	-	Provenge				前立腺がんのがんワクチン(細胞療法)EMAでの承認取下げ	去勢抵抗性の転移性前立腺がん	泌尿器	経静脈投与	未	○	2010年5月	承認取下げ	2013年9月に承認されたが、2015年5月にcommercial reasonにより承認取下げ	○	全コースで3回点滴	¥9,300,000
50	ロミデプシン	romidepsin	-	Istodax	セルジーン	開発中		欧州不承認	1つ以上の全身治療歴を有する皮膚T細胞リンパ腫	血液	経静脈投与	未	○	2009年11月	不承認	-	○	*	¥2,474,000

51	リツキシマブ	rituximab	リツキサン	Rituxan	全薬工業	開発要請			未治療及び再発・再燃の慢性リンパ性白血病	血液	経静脈投与	適応外	○	2010年2月	○	2009年10月	○	*	¥375,000
52	プララトレキセート	pralatrexate	-	Folotylin	ムンディファーマ		欧州不承認		再発・再燃の末梢性T細胞リンパ腫	血液	経静脈投与	未	○	2009年9月	不承認	-	○	*	¥4,593,000
53	ビンフルニン	vinflunine	-	Javlor (EU)					白金製剤を含む前治療に増悪した進行又は転移性の尿路上皮がん	泌尿器	No data	未	×	-	○	2009年9月	×		No data
54	ミファミルチド	mifamurtide	-	Mepact	武田薬品工業			がんワクチン(細胞療法)FDA不承認	非転移性で顕微鏡的に完全切除後の骨肉腫	骨軟部	No data	未	不承認	-	○	2009年3月	×	全コース(36週)	¥19,000,000
55	カツマキシマブ	catumaxomab	-	Removab (EU)			2014/07/11の第20回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議において、医療上の有用性は「エ」と判断された。	標準治療が適応とならないEpCAM陽性の悪性腹水	悪性腹水	No data	未	×	-	○	2009年4月	×			No data
56	ヒスタミン二塩酸塩	histamine dihydrochloride	-	Ceplene (EU)					急性骨髄性白血病の一次緩解期における維持療法	血液	No data	未	×	-	○	2008年10月	×		
57	ベンダムスチン	bendamustine hydrochloride	トリアキシン	Treanda	シンバイオ	2015/12/24承認申請		審査中	慢性リンパ性白血病	血液	経静脈投与	適応外	○	2008年3月	×	-	○	*	¥380,000
58	レボロイコボリンカルシウム	levoleucovorin calcium	-	Fusilev			類薬(レボホリナート)承認あり		骨肉腫に対する高用量メトトレキサート治療後のロイコボリンレスキュー	骨軟部	経静脈投与	未	○	2008年3月	×	-	×		¥55,000
59	ベバシズマブ	bevacizumab	アバステン	Avastin	中外製薬	開発要請			転移性腎細胞がん	泌尿器	経静脈投与	適応外	○	2009年7月	○	2007年12月	○	*	¥568,000
60	イクサベピロン	ixabepilone	-	Ixempra			EMA不承認、日本承認申請取下げ・開発中止		アントラサイクリン系又はタキサン系抗悪性腫瘍剤による治療歴を有する局所進行又は転移性乳がん	乳腺	経静脈投与	未(日本承認申請取下げ)	○	2007年10月	不承認	-	○	**	¥763,000
61	トラベクテジン	trabectedin	ヨンデリス	Yondelis	大鵬薬品	開発中			プラチナ感受性再発卵巣がん	卵巣	経静脈投与	適応外	×	-	○	2007年9月	×	**	¥455,000
62	ドキシソルビン塩酸塩リポソーム注射剤	doxorubicin liposomal	ドキシル	Doxil	ヤンセンファーマ	開発要請		日本開発要望の取下げ	少なくとも1つ以上の治療歴を有し、ボルテゾミブ未治療の多発性骨髄腫	血液	経静脈投与	適応外(開発要望取下げ)	○	2007年5月	○	2008年1月	○	*	¥397,000
63	ペグアスバラガーゼ	pegasparagase	-	Oncaspar			開発要請(未承認薬使用問題検討会議時代のもの)		L-アスパラギナーゼ過敏性の急性リンパ性白血病	血液	注射	未	○	2006年7月	○	2016年1月	○	*	¥6,464,000

64	デシタビン	decitabine	-	Dacogen	ヤンセン ファーマー 大塚製薬			ヤンセン ファーマーが 日本開発 断念	骨髄異形成症候群	血液	経静脈 投与	未 (開発 断念)	○	2006年 5月	×	-	○	*	¥252,000
65	デシタビン	decitabine	-	Dacogen	大塚製薬	開発中			未治療の急性骨髄性 白血病	血液	経静脈 投与	未	×	-	○	2012年 9月	○	*	¥252,000
66	イマチニブ	imatinib	グリベック	Gleevec	ノバルティス ファーマ				切除不能、再発又は転移性 の隆起性皮膚線維肉腫	皮膚	経口 投与	適応外	○	2006年 10月	○	2005年 8月	○		¥262,000
67	ヒストレリン	histrelin	-	Vantas				類薬 (リュープロ レリン等) 承認あり	進行前立腺がんの緩和的 治療	泌尿器	皮下 投与	未	○	2004年 12月	×	-	×		¥34,000
68	サリドマイド	thalidomide	サレド	Thalomid	藤本製薬				未治療の多発性骨髄腫	血液	経口 投与	適応外	○	2004年 3月	○	2008年 4月	○		¥378,000
69	テモポルフィン	temoporfin	-	Foscan					治療歴を有する進行性 頭頸部扁平上皮がん	頭頸部	No data	未	×	-	○	2001年 10月	×		No data
70	トリプトレリン	triptorelin pamoate	-	Trelstar				類薬 (リュープロ レリン等) 承認あり	進行前立腺がんの 緩和的治療	泌尿器	筋肉内 投与	未	○	2000年 6月	×	-	×		¥98,000
71	ベキサロテン	bexarotene	-	Targretin gel				2016/1/22 に経口剤が 承認	他の治療が適切でない 皮膚T細胞性リンパ腫、 菌状息肉腫、セザリー 症候群の局所治療	血液	局所	未	○	2000年 6月	×	-	○		¥2,984,000

※1 FDA: Food and Drug Administration (米国食品医薬品局)

※2 EMA: European Medicines Agency (欧州医薬品庁)

※3 NCCN: National Comprehensive Cancer Network (世界の25の主要がんセンターの NPO 団体) のガイドラインで  
エビデンスレベル2A以上のもの。

※4 体格に基づき投与量を決定する薬剤の場合は、下記のモデルケースを使用。

平成24年度「国民健康・栄養調査」第2部 身体状況の調査 第11

\*男性: 50代平均 (身長; 168.6cm、体重; 68.0kg、体表面積; 1.78m<sup>2</sup>(デュボア式))

\*\*女性: 50代平均 (身長; 156.1cm、体重; 55.2kg、体表面積; 1.54m<sup>2</sup>(デュボア式))