

(別添様式)

未承認薬・適応外薬の要望に対する企業見解

1. 要望内容に関連する事項

会社名	味の素製薬株式会社	
要望された医薬品	要望番号	Ⅲ-①-62
	成分名 (一般名)	ブデソニド
	販売名	Budenofalk rectal foam (英国), Uceris rectal foam (米国)
	未承認薬・適応外薬の分類 (該当するものにチェックする。)	<input type="checkbox"/> 未承認薬 <input type="checkbox"/> 2009年4月以降に、FDA又はEMAで承認されたが、国内で承認されていない医薬品 <input type="checkbox"/> 上記以外のもの <input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬 <input type="checkbox"/> 医師主導治験や先進医療B (ただし、ICH-GCPを準拠できたものに限る。) にて実施され、結果がまとめられたもの <input checked="" type="checkbox"/> 上記以外のもの
要望内容	効能・効果 (要望された効能・効果について記載する。)	潰瘍性大腸炎
	用法・用量 (要望された用法・用量について記載する。)	1日1回2mgを直腸内投与する
	備考 (該当する場合はチェックする。)	<input type="checkbox"/> 小児に関する要望 (特記事項等)
希少疾病用医薬品の該当性 (推定対象患者数、推定方法につ	約155,116人 <推定方法>	

いても記載する。)	特定疾患医療受給者証所持者数 (厚生労働省衛生行政報告例 平成25年度 衛生行政報告例の概況 特定疾患(難病)関係)
現在の国内の開発状況	<p> <input checked="" type="checkbox"/> 現在開発中 (<input checked="" type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中) </p> <p> <input type="checkbox"/> 現在開発していない (<input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発中止 <input type="checkbox"/> 国内開発なし) </p> <p>(特記事項等)</p> <p><u>用法用量については、要望では「2mgを1日1回投与」とされているが、現在の国内開発(第Ⅲ相試験)は「2mgを1日2回投与」として進めている。</u></p>
企業としての開発の意思	<p> <input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし </p> <p>(開発が<u>困難</u>とする場合、その<u>特段</u>の理由)</p>
「医療上の必要性に係る基準」への該	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p> <input type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患(致死的な疾患) <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 (上記に分類した根拠) </p> <p>2. 医療上の有用性</p> <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 type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない (上記に分類した根拠) </p>

当 性 (該 当 す る も の に チ ェ ッ ク し、 分 類 し た 根 拠 に つ い て 記 載 す る。)	
備 考	

以下、タイトルが網かけされた項目は、学会等より提出された要望書又は見解に補足等がある場合にのみ記載。

2. 要望内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等 6 か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 <input type="checkbox"/> 加国 <input type="checkbox"/> 豪州		
	[欧米等 6 か国での承認内容]		
		欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所に下線)	
	米国	販売名 (企業名)	Uceris Rectal Foam (Salix Pharmaceuticals)
		効能・効果	<u>活動期の軽症～中等症、遠位型潰瘍性大腸炎 (病変の伸展が肛門縁から 40cm まで)</u>
		用法・用量	<u>2mg を 1 日 2 回 2 週間、その後 2mg を 1 日 1 回 4 週間直腸内投与する。</u>
		備考	2014 年 9 月承認取得
	英国	販売名 (企業名)	Budenofalk 2mg/dose rectal foam (Dr. Falk Pharma UK Ltd)
		効能・効果	<u>活動期の直腸・S 状結腸に局限する潰瘍性大腸炎</u>
		用法・用量	<u>2mg を 1 日 1 回直腸内投与する。</u>
備考			
独国	販売名 (企業名)	Budenofalk rectal foam (Dr. Falk Pharma GmbH)	
	効能・効果	<u>活動期の直腸・S 状結腸に局限する潰瘍性大</u>	

			腸炎	
		用法・用量	<u>2mg を 1 日 1 回直腸内投与する。</u>	
		備考		
	仏国	販売名（企業名）		
		効能・効果		
		用法・用量		
		備考		
	加国	販売名（企業名）		
		効能・効果		
		用法・用量		
		備考		
	豪国	販売名（企業名）		
		効能・効果		
		用法・用量		
		備考		
	<p>欧米等 6 か国での標準的使用状況 <u>（欧米等 6 か国で要望内容に関する承認がない適応外薬についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。）</u></p>	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 <input type="checkbox"/> 加国 <input type="checkbox"/> 豪州		
〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕				
		欧米各国での標準的使用内容（要望内容に関連する箇所を下線）		
米国		ガイドライ ン名		
		効能・効果 （または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所）		
		用法・用量 （または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所）		
		ガイドライン の根拠論文		
		備考		
英国		ガイドライ ン名		
		効能・効果 （または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所）		
		用法・用量 （または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所）		
		ガイドライン		

		の根拠論文	
		備考	
	独国	ガイドライ ン名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライ ン名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライ ン名	
		効能・効果 (または効 能・効果に関連 のある記載箇 所)	
		用法・用量 (または用 法・用量に関連 のある記載箇 所)	
ガイドライ ンの根拠論 文			

		備考	
	豪州	ガイドライ ン名	
		効能・効果 (または効 能・効果に関連 のある記載箇 所)	
		用法・用量 (または用 法・用量に関連 のある記載箇 所)	
		ガイドライ ンの根拠論 文	
		備考	

3. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験、薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況

<文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等>

<海外における臨床試験等>

1)

<日本における臨床試験等※>

1)

※ICH-GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

<海外における教科書等>

1)

<日本における教科書等>

1)

--

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

<海外におけるガイドライン等>

1)

<日本におけるガイドライン等>

1)

(5) 要望内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1) 健康成人男性を対象とした薬物動態試験（未公表）

2) 活動期潰瘍性大腸炎患者を対象とした第Ⅱ相臨床試験の試験成績 ICH-GCP 準拠（未公表）

(6) 上記の（1）から（5）を踏まえた要望の妥当性について

<要望効能・効果について>

<要望用法・用量について>

ブデソニドとして 2mg を 1 日 2 回直腸内投与する。

（国内第Ⅱ相臨床試験の結果より）

<臨床的位置づけについて>

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1) 活動期の潰瘍性大腸炎患者を対象とし、本剤 2mg を 1 日 2 回投与した際の有効性・安全性を検証する二重盲検プラセボ対照試験（第Ⅲ相試験）。

5. 備考

<その他>

6. 参考文献一覧

--