

未承認薬・適応外薬の要望

1. 要望内容に関連する事項

<p>要望者 (該当するものにチェックする。)</p>	<p><input type="checkbox"/> 学会 (学会名 ;)</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> 患者団体 (患者団体名 ; 一般社団法人グループ・ネクサス・ジャパン)</p> <p><input type="checkbox"/> 個人 (氏名 ;)</p>	
<p>優先順位</p>	<p>3位 (全3要望中)</p>	
<p>要望する医薬品</p>	<p>成分名 (一般名)</p>	<p>レナリドミド水和物</p>
	<p>販売名</p>	<p>レブラミドカプセル 5mg</p>
	<p>会社名</p>	<p>セルジーン株式会社</p>
	<p>国内関連学会</p>	<p>日本血液学会、日本リンパ網内系学会 (選定理由) 造血器腫瘍及び悪性リンパ腫に関わる関連学会であることから</p>
	<p>未承認薬・適応外薬の分類 (該当するものにチェックする。)</p>	<p><input type="checkbox"/> 未承認薬</p> <p><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</p> <p><input type="checkbox"/> 上記以外のもの</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬</p> <p><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</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> 上記以外のもの</p>
<p>要望内容</p>	<p>効能・効果 (要望する効能・効果について記載する。)</p>	<p>再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫</p>

	<p>用法・用量 (要望する用法・用量について記載する。)</p>	<p>クレアチニンクリアランスが 60mL/min 以上の患者に対しては、レナリドミド 25mg を 1 日 1 回 21 日間投与し (1 サイクル 28 日)、クレアチニンクリアランス 30mL/min 以上で 60mL/min 未満の患者にはレナリドミド 10mg を 1 日 1 回 21 日間投与 (1 サイクル 28 日)。</p>
	<p>備 考 (該当する場合はチェックする。)</p>	<p><input type="checkbox"/> 小児に関する要望 (特記事項等)</p>
<p>希少疾病用医薬品の該当性 (推定対象患者数、推定方法についても記載する。)</p>	<p>約 _____ 人 <推定方法></p>	
<p>国内の承認内容 (適応外薬のみ)</p>	<p>(効能・効果及び用法・用量を記載する) 再発又は難治性の多発性骨髄腫、5 番染色体長腕部欠失を伴う骨髄異形成症候群</p>	
<p>「医療上の必要性に係る基準」への該当性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。)</p>	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患)</p> <p><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</p> <p><input type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 (上記の基準に該当すると考えた根拠) マントル細胞リンパ腫は、初回治療で寛解となっても再発する患者が大半であり、やがては死に至る難治性のリンパ腫である。リツキシマブを併用した多剤併用化学療法や造血幹細胞移植などが施行されているが、現状では治癒を期待できる治療法は未だ確立していない。</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</p> <p><input type="checkbox"/> イ 欧米等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</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> ウ 欧米等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</p> <p>(上記の基準に該当すると考えた根拠) 米国食品医薬品局 (FDA) により、ボルテゾミブを含む 2 種類の治療薬</p>	

	による治療後に再発又は進行したマントル細胞リンパ腫（MCL）の治療薬として、2013年に承認されている。
備考	

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 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	<table border="1"> <tr> <td>販売名（企業名）</td> <td>Celgene Corporation</td> </tr> <tr> <td>効能・効果</td> <td> <ul style="list-style-type: none"> ・ Multiple myeloma (MM), in combination with dexamethasone, in patients who have received at least one prior therapy (1.1). ・ Transfusion-dependent anemia due to low- or intermediate-1-risk myelodysplastic syndromes (MDS) associated with a deletion 5q abnormality with or without additional cytogenetic abnormalities (1.2). ・ <u>Mantle cell lymphoma (MCL) whose disease has relapsed or progressed after two prior therapies, one of which included bortezomib (1.3).</u> </td> </tr> <tr> <td>用法・用量</td> <td> <ul style="list-style-type: none"> ・ MM: 25 mg once daily orally on Days 1-21 of repeated 28-day cycles. Recommended dose of dexamethasone is 40 mg once daily on Days 1-4, 9-12, and 17-20 of each 28-day cycle for the first 4 cycles of therapy and then 40 mg/day orally on Days 1-4 every 28 days (2.1). ・ MDS: 10 mg once daily (2.2). ・ <u>MCL: 25 mg once daily orally on Days 1-21 of repeated 28-day cycles (2.3).</u> ・ Continue or modify dosing based on clinical and laboratory findings (2.1, 2.2). ・ Renal impairment: Adjust starting dose in patients with moderate or severe renal </td> </tr> </table>	販売名（企業名）	Celgene Corporation	効能・効果	<ul style="list-style-type: none"> ・ Multiple myeloma (MM), in combination with dexamethasone, in patients who have received at least one prior therapy (1.1). ・ Transfusion-dependent anemia due to low- or intermediate-1-risk myelodysplastic syndromes (MDS) associated with a deletion 5q abnormality with or without additional cytogenetic abnormalities (1.2). ・ <u>Mantle cell lymphoma (MCL) whose disease has relapsed or progressed after two prior therapies, one of which included bortezomib (1.3).</u> 	用法・用量
販売名（企業名）	Celgene Corporation						
効能・効果	<ul style="list-style-type: none"> ・ Multiple myeloma (MM), in combination with dexamethasone, in patients who have received at least one prior therapy (1.1). ・ Transfusion-dependent anemia due to low- or intermediate-1-risk myelodysplastic syndromes (MDS) associated with a deletion 5q abnormality with or without additional cytogenetic abnormalities (1.2). ・ <u>Mantle cell lymphoma (MCL) whose disease has relapsed or progressed after two prior therapies, one of which included bortezomib (1.3).</u> 						
用法・用量	<ul style="list-style-type: none"> ・ MM: 25 mg once daily orally on Days 1-21 of repeated 28-day cycles. Recommended dose of dexamethasone is 40 mg once daily on Days 1-4, 9-12, and 17-20 of each 28-day cycle for the first 4 cycles of therapy and then 40 mg/day orally on Days 1-4 every 28 days (2.1). ・ MDS: 10 mg once daily (2.2). ・ <u>MCL: 25 mg once daily orally on Days 1-21 of repeated 28-day cycles (2.3).</u> ・ Continue or modify dosing based on clinical and laboratory findings (2.1, 2.2). ・ Renal impairment: Adjust starting dose in patients with moderate or severe renal 						

			impairment and on dialysis (CLcr<60 mL/min) (2.4)
		備考	
英国	販売名 (企業名)		
	効能・効果		
	用法・用量		
	備考		
独国	販売名 (企業名)		
	効能・効果		
	用法・用量		
	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 (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。)</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		
	<p>[欧米等 6 か国での標準的使用内容]</p>		
		<p>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)</p>	
	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 （または効能・効果に関連のある記載箇所）			

		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>

1)

<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)

(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>

1)

<要望用法・用量について>

1)

<臨床的位置づけについて>

1)

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

<その他>

1)

6. 参考文献一覧

1)