

「未承認薬使用問題検討会議」における検討終了から6ヶ月以上経過後、治験が開始されていない品目について（照会の回答）

11. ストレプトゾシン

- 対象疾病  
膵島細胞癌
- 検討会議開催日  
第5回（平成17年7月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に治験が開始されるべき
- 企業名  
（調整中）
- 今回の回答概要  
国内会社への導出を検討してきたところ。平成20年夏、本製品の日本を含む全世界の権利の一括導出が海外企業との間で具体化。このため、国内での導出交渉を中断。国内の交渉相手によると、同社は海外企業の権利導出が整い次第、当該企業と国内導入協議を新たに開始する予定との由。

16. クロファラビン

- 対象疾病  
小児急性リンパ性白血病
- 検討会議開催日  
第6回（平成17年10月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に治験が開始されるべき
- 企業名  
ジェンザイム・ジャパン
- 今回の回答概要  
平成20年4月の医薬品医療機器総合機構との治験開始前相談を踏まえ、現在、成人急性骨髄性白血病を対象とする第I相臨床試験の実施を準備中。本試験に続いて、小児を対象に治験を開始する予定。

18. ペグアスパラガーゼ

- 対象疾病  
L-アスパラギナーゼに過敏症の急性リンパ性白血病
- 検討会議開催日  
第7回（平成18年1月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に治験が開始されるべき
- 企業名  
（調整中）
- 今回の回答概要  
海外開発企業と国内導入について交渉してきたところ。当該企業が、昨年夏、本剤の開発権を含む事業譲渡に係る計画を発表したことから、交渉は中断。昨年12月に上記計画が撤回されたことから、国内導入の交渉を再開したところ。  
なお、本件については、厚生労働省から海外開発企業に国内導入につき協力依頼済み。

19. フェニル酪酸ナトリウム

- 対象疾病  
尿素サイクル異常症
- 検討会議開催日  
第7回（平成18年1月）
- 検討会議での主な検討結果  
欧米臨床データ及び国内使用症例データ等を基に早期に承認申請が行われるべき。  
審査期間中に国内治験データ等が収集されるべき
- 企業名  
ユーサイクリッド・ファーマ社（米国）
- 今回の回答概要  
国内導入について、国内企業と交渉してきたが、契約に至らず。新たな国内企業と交渉中。なお、平成20年9月に希少疾病用医薬品に指定済み。

32. アレムツズマブ

- 対象疾病  
B細胞性慢性リンパ性白血病
- 検討会議開催日  
第11回（平成19年1月）
- 検討会議での主な検討結果  
B細胞性慢性リンパ性白血病に対する治験が早期に開始されるべき
- 企業名  
バイエル薬品
- 今回の回答概要  
当初、日本人 B-CLL 患者を対象とした国内臨床試験を実施せず、海外承認データのみをもって申請を行うよう計画。  
平成20年8月の医薬品医療機器総合機構との対面助言を踏まえ、現在、治験実施計画案を作成中。本年第1四半期に治験届を提出する予定。

33. タルク

- 対象疾病  
悪性胸水
- 検討会議開催日  
第11回（平成19年1月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に治験が開始されるべき
- 企業名  
ノーベルファーマ
- 今回の回答概要  
平成20年8月の医薬品医療機器総合機構との治験相談を踏まえ、平成21年5月の治験開始（医師主導治験）に向けて、4月に治験届を提出する予定との由。

37. スチリペントール

- 対象疾病  
乳児重症ミオクロニーてんかん
- 検討会議開催日  
第13回（平成19年7月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に治験が開始されるべき
- 企業名  
Biocodex SA（国内連絡先：明治製菓）
- 今回の回答概要  
国内治験計画について、検討しているところであり、今後、医薬品医療機器総合機構との相談予定。

39. ルフィナマイド

- 対象疾病  
レノックス・ガストー症候群
- 検討会議開催日  
第14回（平成19年10月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に治験が開始されるべき
- 企業名  
エーザイ
- 今回の回答概要  
平成20年5月の医薬品医療機器総合機構との対面助言を踏まえ、現在、海外臨床試験の評価方法の詳細等について調査中。本年6月を目途に調査を完了し、国内申請に必要な治験計画について、改めて検討予定。

41. メサドン

- 対象疾病  
がん性疼痛
- 検討会議開催日  
第14回（平成19年10月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に国内開発が開始されるべき
- 企業名  
帝國製薬
- 今回の回答概要  
海外開発会社と国内開発に向けた条件交渉を実施中。  
平成20年5月及び平成21年2月の医薬品医療機器総合機構との事前面談を踏まえ、米国における第I相試験及び国内における第II相試験を実施予定。第I相試験は今年中に開始予定。

## 43. ヒトヘミン

- 対象疾病  
ポルフィリン症
- 検討会議開催日  
第16回（平成20年3月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に国内開発が開始されるべき
- 企業名  
シミック
- 今回の回答概要  
本年8月に医薬品医療機器総合機構と治験相談を行うべく、資料整理中。本年11月に治験の開始が目標。

## (参考)

以下の3品目については、引き続き、開発企業を募集中。

## 38. システアミン

- 対象疾病  
シスチノーシス
- 検討会議開催日  
第12回（平成19年4月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に国内開発が開始されるべき

## 39. ベタイン

- 対象疾病  
ホモシスチン尿症
- 検討会議開催日  
第12回（平成19年4月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に国内開発が開始されるべき

## 41. 経口リン酸塩製剤

- 対象疾病  
原発性低リン血症性クル病
- 検討会議開催日  
第13回（平成19年7月）
- 検討会議での主な検討結果  
早期に国内開発が開始されるべき