

(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	CSL ベーリング株式会社	
要望された医薬品	要望番号	II-175
	成分名 (一般名)	(10%) 人免疫グロブリン G
	販売名	プリビジェン (Privigen)
	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 checked="" type="checkbox"/> 未承認薬 <input type="checkbox"/> 適応外薬
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。)	原発性免疫不全症候群 (PID)
	用法・用量 (要望された用法・用量について記載する。)	通常、200-800mg/kg を 3-4 週間ごとに投与する。 患者の状態に応じて適宜増減する。
	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)
現在の国内の開発状況	<input type="checkbox"/> 現在開発中 [ <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 ] <input checked="" 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 checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし ] (特記事項等)	
企業としての開発の意思	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合、その特段の理由)	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性 (該当するものに)	1. 適応疾病の重篤性 <input checked="" 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	

<p>チェックし、分類した根拠について記載する。）</p>	<p>(上記に分類した根拠)</p> <p>原発性免疫不全症候群は細菌やウイルスの排除に係る免疫系に生まれついて何らかの問題のある病気の総称である。易感染性が主たる症状であり、感染が反復または遷延化しやすい。このことより生活に支障を来す障害を残す可能性があるだけでなく、重症化すると致死的となる危険もある疾患である。</p> <p>以上より、適応疾病の重篤性として「ア、生命に重大な影響がある疾患(致死的な疾患)」に該当するものとする。</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>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</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>(上記に分類した根拠)</p> <p>要望書にも記載があるように、静注用人免疫グロブリン製剤は抗体産生不全を伴う原発性免疫不全症 (PID) 患者にとって生命を守るのに必須の薬剤 (EML: Essential Medicines List) のひとつとして WHO より認定されている。</p> <p>要望薬は 10%濃度の静注用人免疫グロブリン製剤である。</p> <p>海外では既に幅広く使用されており、2011 年 12 月の時点で 45 カ国において既に承認済みであり、世界的には標準的な薬剤であるとする。</p> <p>従来の 5%濃度の静注用グロブリンと比較してより少ない液量で投与することが可能であるため、原発性免疫不全症候群においては薬剤投与時間の大幅な短縮が図れる。また本疾患は生涯にわたり薬剤投与を継続しなければならず、本剤により患者にとっての精神的・肉体的負担が軽減され、コンプライアンス並びに QOL が改善されることも期待される。</p> <p>このことより「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」に該当するものとする。</p>
<p>備考</p>	

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

<p>欧米等 6 か国での承認状況</p> <p>(該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)</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		
	[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を下線)	
	米国	販売名 (企業名)	
		効能・効果	
		用法・用量	
		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	
	豪州	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</p> <p>(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		
	[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>

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)

(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>

現在本邦において、人免疫グロブリンGとしては、原発性免疫症候群は「低ならびに無ガンマグロブリン血症」として適応を取得している。従って、要望内容は妥当と考える。

<要望用法・用量について>

現在本邦においての用法用量は、「通常、1回人免疫グロブリン G として 200-600mg/kg 体重を 3-4 週間間隔で投与する。患者の状態に応じて適宜増減する。」としている。

学会要望では、海外承認国の用法用量が提案されているが、現在の人免疫グロブリンGの用法・用量については、2010年5月の公知申請承認時に国内での至適用量が十分検討された経緯があるため、承認された用法用量で十分と考える。

<臨床的位置づけについて>

要望薬は海外では既に幅広く使用されており、2011年12月の時点で45カ国において

既に承認済みである。このことから世界的には標準的な薬剤であり、その有効性及び安全性は確立されているものとする。このことから既存療法と比較し臨床的位置づけは高いものとする。

要望薬は、従来の5%濃度の静注用グロブリンと比較してより少ない液量で投与することが可能であるため、薬剤投与時間の短縮、患者への水分負荷の軽減が期待される。このことから本邦においても標準的薬剤として使用されるものとする。

#### 4. 実施すべき試験の種類とその方法案

本剤の用法用量は、海外で使用されている用法用量の範囲内であり、広く確立されているものと考えられる。従って、本適用に対する臨床試験は不要とする。

#### 5. 備考

<その他>

1)

#### 6. 参考文献一覧

1)