

「医療上の必要性に係る基準」への該当性  
 に関する専門作業班（WG）の評価  
 <代謝・その他WG>

## 目次

<代謝性疾患用薬分野>	小児分野
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】	との関係
本邦における未承認薬	
ミグルスタット（要望番号；293）……………	1 ○
【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】	
本邦における適応外薬	
ゾレドロン酸（要望番号；165）……………	7
ピオグリタゾン塩酸塩（要望番号；242）……………	11
<その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）>	
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】	
本邦における未承認薬	
Ca-DTPA（要望番号；11）……………	15
Zn-DTPA（要望番号；13）……………	19
デクスラゾキサソ（要望番号；177）……………	23
ホメピゾール（要望番号；287）……………	27
メチレンブルー（要望番号；306）……………	31
経口リン酸塩製剤（要望番号；348）……………	37 ○
亜セレン酸ナトリウム（要望番号；358）……………	41

# 目次（つづき）

＜その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）＞	小児分野 との関係
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】	
本邦における適応外薬	
デキサメタゾン（要望番号；176）……………	45
メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム（要望番号；304）…	49 ○
【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】	
本邦における未承認薬	
rhBMP-2 含有骨充填剤（要望番号；10）……………	53
rhPDGF 含有β-リン酸三カルシウム（要望番号；14）……………	57
アトロピン・プラリドキシムクロリド注射用キット（要望番号；24）…	61

注) 「小児分野との関係」列の「○」について

要望内容に、小児に関連する内容が含まれるが、成人と小児に共通する疾患等であることから、各疾患分野のWGが主に担当する品目

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本小児神経学会 日本先天代謝異常学会		293
2)	要望された医薬品	一般名	ミグルスタット
		販売名	Zavesca
		会社名	アクテリオン ファーマシューティカルズ ジャパン株式会社
3)	要望内容	効能・効果	小児例から成人例の Niemann-Pick 病 C 型（ニーマン・ピック病 C 型）及び酵素補充療法が有効ではないまたは継続できない成人の Gaucher 病 I 型（ゴーシェ病 I 型）
		用法・用量	Niemann-Pick 病 C 型：1 回 200mg、1 日 3 回経口投与（12 歳以下の小児例へは体表面積で換算した量を投与） Gaucher 病 I 型：1 回 100mg、1 日 3 回経口投与
		要望の分類（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（剤形追加も含む） [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>Niemann-Pick 病 C 型は進行性の神経症状を示し、乳児後期発症例は、発症からまもなく言葉がしゃべれなくなり 2-3 年で寝たきりとなる。発病から 5～10 年前後で死亡することが多い。若年発症では、知的退行と運動障害で発病し、5～6 年で寝たきりになる。発病から 10 年～20 年前後で死亡することが多い。現在、乳児後期発症例は日本で約 10 名が生存し、若年型も日本で約 10 名が生存している。症状の進行を防ぐ有効な治療法はなく、嚥下障害や呼吸不全に対する経管栄養や胃ろう造設、気管切開と喉頭分離などの対症的な医療ケアが治療の中心となる。</p> <p>Gaucher 病 1 型は肝臓、脾臓、骨の進行性の症状を示すが、神経症状は示さない。2 型と 3 型は、それぞれ乳児期と小児期に進行性の神経症状で発症する。2 型は急激に進行し、発病後数年で死亡する。3 型は発病後 5 年～10 年で死亡する。日本では、1 型が約 50</p>	

		<p>名、2型が10名～20名、3型が20名～30名存在する。酵素補充療法が承認されているが、中枢神経症状には、顕著な効果は得られていない。また Gaucher 病の神経症状にはミグルスタットが有効であるとする報告はない。進行性の神経症状に対しては対症的なケアが治療の中心になる。</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p>Niemann-Pick 病 C 型は進行性の稀少神経難病で、これまで全く治療法がない中で、進行性の神経症状に対する初めての新しい治療薬として期待できる。</p> <p>Gaucher 病の中枢神経症状には効果があるという報告はなく、Gaucher 病 1 型で、酵素補充療法の継続が困難または酵素補充療法で効果が不十分な例に対する新しい治療薬として期待できる。</p>
5)	備考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] 米国ではニーマン・ピック病 C 型について承認申請中である。 ゴーシェ病 I 型には小児適応はない。
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  [特記事項]

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p>ニーマン・ピック C 型に関する判断基準への該当性：          ニーマン・ピック病 C 型は、(1) 適応疾患の重篤性：「ア生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）」、(2) 医療上の有用性：「ア既存の療法が国内にない」及び「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」に該当し、医療上その必要性は極めて高い。</p> <p>根拠：</p>
----	-------------------------------	--

	<p>ニーマン・ピック病 C 型は進行性の神経症状を示し、乳児後期発症例は、発症からまもなく言葉がしゃべれなくなり、2~3年で寝たきりとなる。発病から 5~10 年前後で死亡することが多い。若年発症例では、知的退行と運動障害で発病し、5~6 年で寝たきりになる。発病から 10~20 年前後で死亡することが多い ([4]Garver WS et al. Am J Med Genet 2007;143:1204-1211)。診断の平均年齢は 10.4 歳で、その半数は 6.9 歳前に診断される。平均死亡年齢は 16.2 歳で、その半数は 12.5 歳前に死亡している。</p> <p>12 歳以上のニーマン・ピック病 C 型患者を対象に、ミグルスタットの有効性を未治療群と無作為化比較法で検討した OGT918-007 試験及びその sub-study として、12 歳未満の小児患者にミグルスタットを体表面積で補正した投与量を 1 年間非盲検下で投与し、成人での成績と比較した試験成績からミグルスタットの有用性が確認されている。</p> <p>現状では症状の進行を防ぐ有効な治療法はなく、嚥下障害や呼吸不全に対する経管栄養や胃ろう造設、気管切開と咽頭分離などの対症的な医療ケアが中心であり、これまで全く治療法がない中で、本剤は進行性の神経症状に対する初めての新しい治療法として期待できるものである。</p> <p>ゴーシェ病 I 型に関する判断基準への該当性： ゴーシェ病 I 型は、(1) 適応疾患の重篤性：「ア生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）」、(2) 医療上の有用性：「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」に該当する。</p> <p>根拠： 前述したように、ゴーシェ病 I 型は遺伝的に、グルコセラブロシダーゼが不足し、複合糖脂質のグルコセラミドを分解できず、各種臓器に蓄積してしまう疾患である。本邦での治療はセラザイムによる酵素補充療法が一般的に行われている。ミグルスタットはグルコシルセラミド合成酵素を阻害することにより、セラミドからのグルコシルセラミド生合成を抑制する、いわゆる基質抑制療法である。しかし、ミグルスタット単独投与では、酵素補充療法と同等の治療効果を全ての患者で維持するには十分ではない。したがって、欧米での効能・効果は「酵素補充療法が有効ではないまたは継続出来ない成人の Gaucher（ゴーシェ）病 I 型）」とされており、現時点ではニーマン・ピック病 C 型への適応に比べ医療上の必要性は高くないと考えている。</p>
--	--

9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] なし
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> あり <input checked="" type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由) ニーマン・ピック病 C 型は他に有効な治療法のない進行の早い難病疾患です。以下に述べる点に、是非ご配慮いただけるよう切望します。 ニーマン・ピック病 C 型の発病は遺伝的要因によること、ミグルスタットは民族的差異の起きにくい薬物動態特性であることから、海外臨床試験成績を日本人に適用することは可能であると考えます。 ニーマン・ピック病 C 型の本邦における患者数は推定 20 名であり、臨床試験では対象患者が絞られることとなりますが、少数例での試験を実施する場合においても試験実施には数年を要し、限られた情報収集のために承認までの数年間、享受を期待する全患者様への供給が制限されます。疾患の重篤性及び進行性を考慮し、早期に全患者様へ供給することが望ましいと考えています。 ゴーシェ病 I 型は、グルコセレブロシダーゼが不足し、グルコセレブロシドが分解できず、臓器に蓄積してしまう疾患であるが、本邦では既にグルコセレブロシダーゼの改良型であるイミグルセラゼ（セレザイム）が販売されています。本邦でイミグルセラゼでの治療が何らかの理由で出来ない患者の数は把握できてはおりません。したがって、現時点でゴーシェ病 I 型の開発は困難と考えています。
11)	備 考	

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

12)	<p>「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)</p>	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li><input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患)</li> <li><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</li> <li><input type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</li> <li><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</li> </ul> <p>[特記事項] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li><input checked="" type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない</li> <li><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</li> <li><input type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</li> <li><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</li> </ul> <p>[特記事項] なし</p>
13)	備 考	小児 WG において検討済みである。





『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本内分泌学会		165
2)	要望された医薬品	一般名	ゾレドロン酸
		販売名	Aclasta 5 mg solution for infusion (EU) Reclast injection (US)
		会社名	ノバルティス ファーマ株式会社
3)	要望内容	効能・効果	骨粗鬆症、ステロイド性骨粗鬆症
		用法・用量	12 か月毎に 1 回 5 mg を点滴静注
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 未承認薬 <input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬 (剤形追加も含む) [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 骨粗鬆症は骨折発症の主要な原因であり、骨折は要介護の原因の第三位～第五位、寝たきりの原因の第二位～第四位となっている。また、ステロイド性骨粗鬆症はステロイド治療によりもたらされる副作用であり、年齢や性別を問わず、ステロイド治療開始後半年未満で患者の骨折危険度は上昇することが知られている。</p> <p>2. 医療上の有用性 骨粗鬆症では骨折を抑制することが治療の目的であり、その効果が科学的に実証されている治療薬を用いることが重要である。既に日本においても骨折抑制効果の実証された内服の薬剤が複数承認されている。しかしながら、その治療効果は長期にわたる継続的な内服によって初めて得られるものであることが明らかにされており、治療アドヒアランスと治療効果との間に相関が認められるとされている。一方、経口骨粗鬆症治療薬の服薬継続率は一般的に極めて不良であり、多くの研究で、治療 1 年後の服薬継続率は 50 % 未満であるとされている。したがって、年一回の点滴静注 (15 分) で 1 年分の治療が完了するゾレドロン酸は、骨粗鬆症治療の目的達成には非常に有用な治療選択肢である。さらに、経口骨粗鬆症治療薬、</p>	

		特にビスフォスフォネート製剤では、消化器症状のために服薬継続が困難となることも稀ではないため、そのような患者に対する代替治療としても、ゾレドロン酸は極めて有用性の高いものであると考えられる。
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項]

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p>以下のことから医療上その必要性が高いと考える。</p> <p>(1) 適応疾患の重篤性：骨粗鬆症は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である（イに該当）。</p> <p>(2) 医療上の有用性：以下のとおり既存の療法と比べて明らかに優れていると考える（イに該当）。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・リセドロン酸を対照とした無作為化試験において、本剤の1年後の腰椎骨密度の上昇率はリセドロン酸を有意に上回っていた（Lancet, 373:1253, 2009）。</li> <li>・本剤は1年に1回の投与であり、患者の Quality of Life 及び服薬コンプライアンスを向上させると考えられる。</li> </ul>
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] なし

10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし  (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班 (WG) の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</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)</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</p> <p><input checked="" type="checkbox"/>エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] 当該疾病の全ての患者が、適応疾病の重篤性について該当するとは判断できない。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</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><input type="checkbox"/>ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</p> <p><input checked="" type="checkbox"/>エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] 欧米において有効性・安全性が既存の療法と比べて明らかに優れていることを示す結果はないこと、欧米における標準的療法とは判断できないこと、及び、国内においても既存の骨粗鬆症治療薬及びビスホスホネート系薬剤は多数存在することから、本剤の医療上の必要性が高いと判断することはできない。</p>
13)	備 考	



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	個人		242
2)	要望された 医薬品	一般名	ピオグリタゾン塩酸塩
		販売名	アクトス錠
		会社名	武田薬品工業株式会社
3)	要望内容	効能・効果	2型糖尿病合併慢性腎臓病患者でインスリン抵抗性が推定される場合
		用法・用量	2型糖尿病合併慢性腎臓病患者では、15mgを1日1回朝食前または朝食後に経口投与する
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 未承認薬 <input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬 (剤形追加も含む) [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 (ア) (イ) (ウ) のすべて。 心血管病発症のリスクが高い糖尿病透析患者が増加している。</p> <p>2. 医療上の有用性 (ア) (イ) (ウ) のすべて。 糖尿病が原疾患の慢性腎臓病患者は増加しており、本邦において慢性腎臓病患者に使用できる経口糖尿病治療薬が少ない。経口糖尿病治療薬は、インスリン治療と比べ患者の QOL 向上に繋がると考えられる。</p>	
5)	備考		

2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国
		[特記事項]

		<p>米国及び EU における 2 型糖尿病合併腎機能障害患者に関する記載は以下のとおり。</p> <p>米国：ピオグリタゾン、M-III、及び M-IV の血漿中消失半減期は、中等度（クレアチニンクリアランス 30～60 mL/min）から重度（クレアチニンクリアランス 30 mL/min 未満）の腎障害患者において、健康人と比較して変化はみられなかった。腎機能障害患者についての用量調節は不要である。</p> <p>EU：腎機能障害患者（クレアチニンクリアランス 4 mL/min 超）に対する用量調節は不要である。透析患者については情報が得られていないので、本剤を透析患者には投与しないこと。腎機能障害患者では、ピオグリタゾン及びその活性代謝物の血漿中濃度は腎機能正常者におけるものより低いが、経口投与時のピオグリタゾンクリアランスは類似している。このため遊離（非結合）のピオグリタゾン濃度に差はない。</p>
7)	<p>海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)</p>	<p><input type="checkbox"/> 米国    <input type="checkbox"/> 英国    <input type="checkbox"/> 独国    <input type="checkbox"/> 仏国</p> <p>[特記事項]</p>

### 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	<p>「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見</p>	<p>米国 NKF-KDOQI ガイドラインでは、2 型糖尿病合併慢性腎障害患者に使用可能な薬剤のうち透析患者においても用量調整が不要な薬剤としてピオグリタゾンをはじめ 6 種類の薬剤挙げられている。そのうち本邦において使用可能な薬剤はピオグリタゾンとグリクラジドの 2 種類であり、インスリン抵抗性改善薬（チアゾリジン薬）としては唯一ピオグリタゾンのみである。また、本剤は 2 型糖尿病治療薬として世界で最も多い販売実績のある薬剤であり、広く臨床の現場で使われている。</p> <p>本邦では糖尿病が原疾患の慢性腎臓病患者は増加している一方で、本邦で唯一製造承認を取得しているチアゾリジン薬である本剤が 2 型糖尿病合併慢性腎障害患者に使用できない現状は、「医療上の必要性に係る基準：当該疾患に係る既存の療法が国内にない等、医療上の有用性があること」に該当すると考える。</p>
----	--------------------------------------	--

9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] なし
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班 (WG) の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</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 checked="" type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない [特記事項] 当該疾病の全ての患者が、適応疾病の重篤性について該当するとは判断できない。
		<p>(2) 医療上の有用性についての該当性</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いる <input checked="" type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない [特記事項] 2 型糖尿病合併慢性腎臓病患者に対しては、使用可能な既存の治療薬が存在すること、及び、欧米において医療上の有用性についてイ又はウと判断できる根拠がないことから、医療上の必要性が高いと判断することはできない。なお、本要望は、「2 型糖尿病合併慢性腎臓病患者」に対する効能追加ではなく、添付文書において「禁忌」とされている「重篤な腎機能障害のある患者」の削除又は緩和を目的としたものであり、「未承認薬・適応外薬」には必

		ずしも該当しないものであると考える。
13)	備 考	



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
 「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本核医学会 日本医学放射線学会		11
2)	要望された 医薬品	一 般 名	Ca-DTPA
		販 売 名	Ditripentat-Heyl (独) pentetate calcium trisodium injection (米)
		会 社 名	日本メジフィジックス株式会社
3)	要 望 内 容	効 能 ・ 効 果	(独) 放射性金属 (アメリシウム、プルトニウム、 キュリウム、カリホルニウム、バークリウム) 中毒 の長期治療 (米) プルトニウム、アメリシウム、キュリウム体 内汚染が判明した、またはその疑いのある患者の汚 染物質の排泄の促進
		用 法 ・ 用 量	(独) 成人：1日 1g を静脈投与 小児：1日 25～50mg/kg を静脈投与 (米) 初期投与 成人：1回 1g を静脈投与 小児 (12歳以下)：14mg/kg を静脈投与 最大 1g/日を超えない 初回投与翌日、継続が必要な場合は、可能 であれば Zn-DTPA に切り替えること。 継続的投与 成人：1日 1回 1g を静脈投与 小児 (12歳以下)：1日 1回 14mg/kg を静 脈投与。最大 1g/日を超えない
		要望の分類 (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 (剤形追加も含む)  [特記事項] なし

4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 「ア：生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）」に該当する。放射線体内被ばくは致死に至る緊急疾患である。特に高レベル核種である Pu 等を扱う再処理施設等では、事故による被ばくは、最悪の場合、致命的であることが予想される。急性放射線症候群として皮膚、骨髄、消化管障害等やまた晩発影響として発がんが考えられる。</p> <p>2. 医療上の有用性 「ア：既存の療法が国内にない」及び「ウ：欧米において標準的療法に位置づけられている」に該当する。 アについては、本邦において Pu 等の放射性物質に関する除去剤は承認されていない。現状、緊急被ばく医療体制において放射線医学総合研究所は、Pu 等による緊急時対策として医師個人の輸入によって本薬剤を備蓄している。 ウについては、体内に取り込まれた Pu 等は臓器や組織に留まり、その周辺組織に放射線を照射し続ける。すなわち、Pu 等が体内に入った後、体内に残った Pu 等は最終的に肝臓や骨に長く滞留して、健康に悪影響を与える可能性がある。このような健康影響リスクがあるため、作業者が Pu 等を体内に摂取した場合、そのリスクを軽減すべく、Pu 等を積極的に体内から排泄促進して、内部被ばく線量を低減することが求められる。 諸外国では、本薬剤を承認医薬品として Pu 等の摂取事故のみならずテロ対策も視野に入れ国家備蓄の取り組みがなされ、その必要性が国家のレベルで認識されている。</p>
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェック)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項]

	する)
--	-----

### 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	<p>「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見</p>	<p>1. 適応疾病の重篤性 「ア：生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）」に該当する。放射線体内被曝は致死に至る緊急疾患である。特に高レベル核種であるプルトニウム，アメリシウム，キュリウム（以下，Pu 等）を扱う再処理施設等では、事故による被曝は、最悪の場合、致命的であることが予想される。急性放射線症候群として皮膚，骨髄，消化管障害等やまた晩発影響として発がんが考えられる。</p> <p>2. 医療上の有用性 「ア：既存の療法が国内にない」及び「ウ：欧米において標準的療法に位置づけられている」に該当する。 アについては、本邦において Pu 等の放射性物質に関する除去剤は承認されていない。現状、緊急被曝医療体制において放射線医学総合研究所が、Pu 等に対応した本剤を緊急時に備えて備蓄している。 ウについては、FDA が、公知資料の精査及び急性職業被曝で体内汚染された過去 40 年間の 646 名の患者データを基に Ca-DTPA と Zn-DTPA は Pu 等を体外からの排出を促進すると結論し、その安全性と有用性について承認している。実際、体内に取り込まれた Pu 等は生理的過程を経て排泄されるか、あるいは処置を行うことにより体外に除去されるまで、臓器や組織に留まり、その周辺組織に放射線を照射し続ける。すなわち、Pu 等が体内に入った後、体内に残った Pu 等は最終的に肝臓や骨に長く滞留して、健康への影響を与える可能性がある。このような健康影響リスクがあるため、作業者が Pu 等を体内に摂取した場合、そのリスクを軽減すべく、Pu 等を積極的に体内から除去し、内部被曝線量を低減することが求められる。諸外国では、本剤を承認医薬品として整備し、Pu 等の摂取事故のみならずテロ対策も視野に入れ国家備蓄の取り組みがなされ、その必要性が国家レベルで認識されている。</p>
9)	<p>国内開発の状況 (該当するものにチェックする)</p>	<p><input checked="" type="checkbox"/> 治験開始前   <input type="checkbox"/> 治験実施中   <input type="checkbox"/> 承認審査中   <input type="checkbox"/> 承認済み</p> <p><input type="checkbox"/> 国内開発なし   <input type="checkbox"/> 国内開発中止</p> <p>[特記事項] なし</p>

10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし  (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	企業の開発の意思に関して、「未承認薬等の開発項目が複数あり、すでに3品目に着手したため負担が重い。また、海外の契約締結企業から2月にデータを入手したばかりで要請から6箇月での申請は大変厳しいため、申請スケジュールの配慮を願いたい。」との申し出があった。

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患） <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  [特記事項] なし  (2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" 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いる <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない  [特記事項] なし
13)	備 考	

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本核医学会 日本医学放射線学会		13
2)	要望された 医薬品	一般名	Zn-DTPA
		販売名	Zink-trinatrium-pentetat (独) Pentetate Zinc Trisodium Injection (米)
		会社名	日本メジフィジックス株式会社
3)	要望内容	効能・効果	(独) 放射性金属 (アメリシウム, プルトニウム, キュリウム, カリホルニウム, バークリウム) 中毒の長期治療 (米) プルトニウム, アメリシウム, キュリウム体内汚染が判明した、またはその疑いのある患者の汚染物質の排泄の促進
		用法・用量	(独) 中毒の症状によって、適宜増減する。 成人：1日1アンプルを静脈投与 小児：1日25~50mg/kgを静脈投与 (米) 初期投与 成人：1回1gを静脈投与 小児(12歳以下)：14mg/kgを静脈投与 最大1g/日を超えない Ca-DTPAが入手できれば、体内汚染24時間以内に投与するのが望ましい。24時間後は、Zn-DTPAもCa-DTPAも同等に有効である。 継続的投与 成人：1日1回1gを静脈投与。 小児(12歳以下)：1日1回14mg/kgを静脈投与。最大1g/日を超えない
		要望の分類 (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 (剤形追加も含む) [特記事項] なし

4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 「ア：生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）」に該当する。放射線体内被ばくは致死に至る緊急疾患である。特に高レベル核種である Pu 等を扱う再処理施設等では、事故による被ばくは、最悪の場合、致命的であることが予想される。急性放射線症候群として皮膚、骨髄、消化管障害等やまた晩発影響として発がんが考えられる。</p> <p>2. 医療上の有用性 「ア：既存の療法が国内にない」及び「ウ：欧米において標準的療法に位置づけられている」に該当する。 アについては、本邦において Pu 等の放射性物質に関する除去剤は承認されていない。現状、緊急被ばく医療体制において放射線医学総合研究所は、Pu 等による緊急時対策として医師個人の輸入によって本薬剤を備蓄している。 ウについては、体内に取り込まれた Pu 等は臓器や組織に留まり、その周辺組織に放射線を照射し続ける。すなわち、Pu 等が体内に入った後、体内に残った Pu 等は最終的に肝臓や骨に長く滞留して、健康に悪影響を与える可能性がある。このような健康影響リスクがあるため、作業者が Pu 等を体内に摂取した場合、そのリスクを軽減すべく、Pu 等を積極的に体内から排泄促進して、内部被ばく線量を低減することが求められる。 諸外国では、本薬剤を承認医薬品として Pu 等の摂取事故のみならずテロ対策も視野に入れ国家備蓄の取り組みがなされ、その必要性が国家のレベルで認識されている。</p>
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェック)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項]

	する)
--	-----

### 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	<p>「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見</p>	<p>1. 適応疾病の重篤性 「ア：生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）」に該当する。放射線体内被曝は致死に至る緊急疾患である。特に高レベル核種であるプルトニウム，アメリシウム，キュリウム（以下，Pu 等）を扱う再処理施設等では、事故による被曝は、最悪の場合、致命的であることが予想される。急性放射線症候群として皮膚，骨髄，消化管障害等やまた晩発影響として発がんが考えられる。</p> <p>2. 医療上の有用性 「ア：既存の療法が国内にない」及び「ウ：欧米において標準的療法に位置づけられている」に該当する。 アについては、本邦において Pu 等の放射性物質に関する除去剤は承認されていない。現状、緊急被曝医療体制において放射線医学総合研究所が、Pu 等に対応した本剤を緊急時に備えて備蓄している。 ウについては、FDA が、公知資料の精査及び急性職業被曝で体内汚染された過去 40 年間の 646 名の患者データを基に Ca-DTPA と Zn-DTPA は Pu 等を体外からの排出を促進すると結論し、その安全性と有用性について承認している。実際、体内に取り込まれた Pu 等は生理的過程を経て排泄されるか、あるいは処置を行うことにより体外に除去されるまで、臓器や組織に留まり、その周辺組織に放射線を照射し続ける。すなわち、Pu 等が体内に入った後、体内に残った Pu 等は最終的に肝臓や骨に長く滞留して、健康への影響を与える可能性がある。このような健康影響リスクがあるため、作業者が Pu 等を体内に摂取した場合、そのリスクを軽減すべく、Pu 等を積極的に体内から除去し、内部被曝線量を低減することが求められる。諸外国では、本剤を承認医薬品として整備し、Pu 等の摂取事故のみならずテロ対策も視野に入れ国家備蓄の取り組みがなされ、その必要性が国家レベルで認識されている。</p>
9)	<p>国内開発の状況 (該当するものにチェックする)</p>	<p><input checked="" type="checkbox"/> 治験開始前   <input type="checkbox"/> 治験実施中   <input type="checkbox"/> 承認審査中   <input type="checkbox"/> 承認済み</p> <p><input type="checkbox"/> 国内開発なし   <input type="checkbox"/> 国内開発中止</p> <p>[特記事項] なし</p>

10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし  (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	企業の開発の意思に関して、「未承認薬等の開発項目が複数あり、すでに3品目に着手したため負担が重い。また、海外の契約締結企業から2月にデータを入手したばかりで要請から6箇月での申請は大変厳しいため、申請スケジュールの配慮を願いたい。」との申し出があった。

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <p><input checked="" type="checkbox"/>ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）</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</p> <p><input type="checkbox"/>エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <p><input checked="" 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><input type="checkbox"/>ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</p> <p><input type="checkbox"/>エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p>
13)	備 考	



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	個人		177
2)	要望された 医薬品	一般名	デクスラゾキサソ
		販売名	Totect (米国)、Savene (欧州)
		会社名	(国内関係企業なし)
3)	要望内容	効能・効果	アントラサイクリン系薬剤静脈内投与による血管外漏出
		用法・用量	1日1回、漏出發症6時間以内に1日目1000mg/m <sup>2</sup> 、2日目1000mg/m <sup>2</sup> 、3日目500mg/m <sup>2</sup> を1~2時間かけて静脈内投与。体表面積2m <sup>2</sup> 以上の患者に2000mg超えないこと。アイスパック等冷却物は少なくとも投与15分前に取り除くこと。
		要望の分類 (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 (剤形追加も含む) [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 多くの癌腫に対してアントラサイクリン系薬剤は使用されている。専門的知識と経験を有する医療者の管理の下で行えば、血管外漏出の発生はまれである。しかしながら、一旦発生し難治性の潰瘍や壊死が生じた場合には、進行が重篤及び不可逆的で外科的デブリードメントが必要となり、後遺症に繋がり日常生活に著しい影響を及ぼす。</p> <p>2. 医療上の有用性 dexrazoxane 以外に科学的に有効性が確認されているアントラサイクリン系薬剤の血管外漏出に伴う組織障害の治療法は存在しない。FDA からも、アントラサイクリン系薬剤の血管外漏出に伴う組織障害に対する唯一の治療法として承認されている。</p>	
5)	備考		

--	--	--

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項]

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の 必要性に係 る基準」へ の該当性 に関する企業 側の意見	
9)	国内開発の 状況 (該当するも のにチェック する)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項]
10)	企業の開発 の意思 (該当するも のにチェック する)	<input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	開発企業が未定である。

## 4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班 (WG) の評価

12)	「医療上の 必要性に係 る基準」へ の該当性に	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) <input checked="" 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>関する WG の評価 (該当するものにチェックする)</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</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <p><input checked="" 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><input type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p>
13)	備 考	



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
 「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本中毒学会・ 財団法人日本中毒情報センター		287
2)	要望された 医薬品	一 般 名	ホメピゾール
		販 売 名	Antizol (米国、英国、独国)、Fomepizole (仏国)
		会 社 名	(国内関係企業なし)
3)	要 望 内 容	効 能 ・ 効 果	エチレングリコール中毒、及びメタノール中毒の治療
		用 法 ・ 用 量	<p>・ 15mg/kg の初期投与後に 10mg/kg を 12 時間ごとに 4 回投与、その後 15mg/kg を 12 時間ごとに血中エチレングリコールまたはメタノール濃度が検出限界以下になるまで、または 20mg/dl 未満かつ血液 pH が正常で無症状になるまで投与する。</p> <p>Antizol は 1 回量を少なくとも 100mL の生理食塩注射液か 5%ブドウ糖注射液で希釈し、1 回の投与は 30 分間以上かけてゆっくり静注する。</p> <p>・ 血液透析を実施する場合の用法・用量</p> <p>血液透析開始時は、最後の投与から透析開始までの経過時間が 6 時間までなら投与しない、6 時間以上の場合は次回に予定している用量を投与する。</p> <p>血液透析中は、用量はそのまま投与間隔を 4 時間に短縮して投与する。</p> <p>血液透析終了時は、最後の投与から血液透析終了までの時間が 1 時間までの場合は投与しない、1～3 時間の場合は次回に予定している用量の 2 分の 1 を投与し、3 時間を越える場合は次回に予定している用量を投与する。</p> <p>血液透析終了後の維持投与は、最後の投与から 12 時間の時点で、次回に予定している用量を投与する。</p>

		要望の分類 (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 (剤形追加も含む) [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	1. 適応疾病の重篤性 適応疾病であるエチレングリコール中毒およびメタノール中毒は、古くから死亡例が多数報告されており、視神経障害による視力障害を来した症例報告も多い <sup>7-11)</sup> 。 7) Kahn HS, Brotchner RJ: A recovery from ethylene glycol (anti-freeze) intoxication; a case of survival and two fatalities from ethylene glycol including autopsy findings..Annals of internal medicine. 1950; 32: 284-294. 8) 斎藤秀樹, 広瀬保夫, 田中敏春, 他: 著明な脳浮腫を呈したメタノール中毒の1例. 救急医学 2001; 25: 119-122. 9) TakahashiShirushi, KanetakeJun, KanawakuYoshimasa, FunayamaMasato: Brain death with calcium oxalate deposition in the kidney: Clue to the diagnosis of ethylene glycol poisoning. Legal Medicine 2008; 10: 43-45. 10) 山本俊一, 城間正, 仲村佳巳, 他: 緑内障様視神経萎縮がみられた有機溶媒中毒. 臨床眼科 2001; 55: 945-948. 11) Hsu HH, Chen CY, Chen FH, et al. : Optic atrophy and cerebral infarcts caused by methanol intoxication: MRI., Neuroradiology 1997; 39: 192-4. 12) 財団法人 日本中毒情報センター編: 財団法人 日本中毒情報センター 医師向け中毒情報 エチレングリコール(O18800), 2008, Ver.2.03 13) 財団法人 日本中毒情報センター編: 財団法人 日本中毒情報センター 医師向け中毒情報 メチルアルコール(O15400), 2008, Ver.2.02  2. 医療上の有用性 ・エチレングリコール中毒およびメタノール中毒において、静脈内投与が可能な特異的解毒剤である。 ・国内における既存の療法は、エタノールの経口投与によりメタノールの代謝を阻害する治療法と血液透析によるエチレングリコール、メタノールおよび毒性代謝物の除去のみである。エタノールの経口投与は、緊急時に迅速性に欠け、かつ、患者によってはエタノール中毒を発現する可能性がある。また、血液透析は施行できる施設が限定され迅速性に欠ける。	

		<p>3. 危機管理上の重要性</p> <p>エチレングリコールまたはメタノールが、意図的に水や飲料等に混入される化学テロおよび事件が発生した場合に備え、危機管理上、緊急時に迅速に投与が可能な静脈内投与製剤であるフォメピゾールの早期承認が望まれる。</p>
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項]

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項]
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)

11)	備 考	開発企業が未定である。
-----	-----	-------------

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）</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</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項]</p> <p>なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</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><input checked="" type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項]</p> <p>なし</p>
13)	備 考	



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本中毒学会・ 財団法人日本中毒情報センター		306
2)	要望された 医薬品	一般名	メチレンブルー
		販売名	Methylene Blue Injection, 1%
		会社名	(国内関係企業なし)
3)	要望内容	効能・効果	薬剤性のメトヘモグロビン血症
		用法・用量	<p>薬剤性のメトヘモグロビン血症においてチアノーゼ、他の何らかの症状のある患者、および無症状の場合でも、メトヘモグロビン濃度が 20～30%以上の場合に投与する。</p> <p>初回投与：メチレンブルー1～2mg/kg（1%メチレンブルー液 0.1～0.2mL/kg）を5分以上かけてゆっくり静注。</p> <p>追加投与：効果が不十分な場合は、1時間後に同量を反復投与する。</p> <p>(通常は1時間以内に症状の改善がみられる。)</p> <p>通常最大投与量：7mg/kg まで。</p>
	要望の分類 (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 (剤形追加も含む) [特記事項] なし	
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>メトヘモグロビン血症を起こすアニリン類等の化学物質は、農薬や工業用品をはじめ、医薬品、美術工芸用品等様々な製品に含有されるため、小児の誤飲でもメトヘモグロビン血症が報告されている<sup>6)7)</sup>。また、経口摂取、吸入、皮膚のあらゆる経路の曝露でメトヘモグロビン血症を引き起こすことが報告されている<sup>8)9)</sup>。</li> <li>メトヘモグロビン血症は、血中メトヘモグロビン濃度が 70%台で死亡例が報告されている<sup>10-12)</sup>が、血中メトヘモグロビン濃度が 50～70%台に上昇しても、メチレンブルー投与により速やかに血中メトヘモグロビン濃度を低下させることで救命できた症</li> </ul>	

		<p>例が報告されている<sup>13-15)</sup>。</p> <p>6) Dahshan A, Donovan GK.: Severe methemoglobinemia complicating topical benzocaine use during endoscopy in a toddler: a case report and review of the literature..Pediatrics. 2006; 117: e806-9.</p> <p>7) Spiller Henry, Rodgers George, Willias Danetta, et. al.: Methemoglobinemia due to malachite green ingestion in a child., Clinical toxicology. (Philadelphia, Pa.) 2008; 46: 320-321.</p> <p>8) 坂井靖夫, 鈴木潤一, 大松正宏, 他: 急性アニリン中毒の2例. 中毒研究 1991; 4: 265-268.</p> <p>9) 熊谷和美, 金田浩太郎, 井上健, 他: 排気ガス吸入によりメトヘモグロビン血症と一酸化炭素中毒を合併した1症例. 日本救急医学会雑誌 2005; 16: 62-65.</p> <p>10) Dixon DS, Reisch RF, Santinga PH. : Fatal methemoglobinemia resulting from ingestion of isobutyl nitrite, a "room odorizer" widely used for recreational purposes., Journal of forensic sciences 1981;26:587-93.</p> <p>11) Saito T, Takeichi S, Yukawa N, et al.: Fatal methemoglobinemia caused by liniment solutions containing sodium nitrite., Journal of forensic sciences 1996; 41: 169-71.</p> <p>12) Saito T, Takeichi S, Osawa M, et al. : A case of fatal methemoglobinemia of unknown origin but presumably due to ingestion of nitrate., International journal of legal medicine. 2000; 113: 164-7.</p> <p>13) 横尾直樹, 中谷寿男, 葛西猛, 他: アニリン中毒の2症例における血中ケトン体比の推移. 救急医学 1987; 11: 1963-1967.</p> <p>14) Mier R J: Treatment of aniline poisoning with exchange transfusion., Journal of Toxicology Clinical Toxicology. 1988; 26: 357-364.</p> <p>15) 宮軒将, 仲村広毅, 熊田恵介, 他: メチレンブルーの経口投与が著効した急性アニリン中毒によるメトヘモグロビン血症の1例. 中毒研究 1998; 11: 381-384.</p> <p>16) 財団法人 日本中毒情報センター編: 財団法人 日本中毒情報センター 医師向け中毒情報 アニリン(O01100), 2000, Ver.2.00.</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・適応疾患であるメトヘモグロビン血症の特異的な解毒剤である。メトヘモグロビン血症は、アニリン、ニトロベンゼン、二酸化</li> </ul>
--	--	--

		<p>窒素等による中毒の時に発現する場合がある。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・国内における既存の療法はない。</li> </ul> <p>3. 危機管理上の重要性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・工場や化学災害等で発生する集団中毒のみならず、ロケット推進剤が日本国内に落下した場合は、燃料の 1,1-ジメチルヒドラジンおよび酸化剤の赤煙硝酸から発生する二酸化窒素による中毒の発生が想定されることが、厚生労働省および財団法人日本中毒情報センターから医療関係者へ北朝鮮の飛翔体に関する情報として提供されている<sup>17)</sup>。危機管理上、二酸化窒素によるメトヘモグロビン血症の解毒剤であるメチレンブルー注射液の国内承認および備蓄が必要である。</li> <li>・2000 年九州・沖縄サミット<sup>18)</sup>および 2008 年北海道洞爺湖サミット<sup>19)20)</sup>における現地救急医療対策の一環で、首脳および上級シエルパに対する化学テロ対策用解毒剤としてメチレンブルー注射液も準備されたが、本薬剤は国内未承認薬であったため、海外から医師の個人輸入で調達せざるをえなかった経緯がある。医療機関で調整された院内製剤のメチレンブルー注射液<sup>21)22)</sup>を各国首脳等に使用するのには問題があり、世界的な標準治療を施すために、今後も首脳および上級シエルパに対する化学テロ対策用解毒剤として必要である。</li> </ul> <p>早期の国内承認が求められる。</p> <p>17) 日本中毒情報センター、会員向けホームページ、ニュース欄          北朝鮮の飛翔体事案に関する中毒について (2009 年 4 月 1 日)  <a href="http://www.j-poison-ic.or.jp/">http://www.j-poison-ic.or.jp/</a>(要パスワード)</p> <p>18) 黒木由美子, 遠藤容子, 真殿かおり, 他: わが国で承認されていない解毒剤—九州・沖縄サミット時に準備した輸入解毒剤—. 中毒研究 2001; 3: 259-267.</p> <p>19) 吉岡敏治, 嶋津岳士, 黒木由美子, 他: 北海道洞爺湖サミット 2008 における NBC 災害, テロ対策-化学兵器対策を中心に-. 日本集団災害医学会誌 2008 ; 13, 163-171.</p>
5)	備 考	

2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についての み、該当国にチェック する)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  [特記事項]

3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の 必要性に係 る基準」へ の該当性 に関する企業 側の意見	
9)	国内開発の 状況 (該当するも のにチェック する)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み  <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項]
10)	企業の開発 の意思 (該当するも のにチェック する)	<input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし  (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	開発企業が未定である。

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班 (WG) の評価

12)	「医療上の 必要性に係 る基準」へ の該当性 に関する WG の評価	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <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  [特記事項]
-----	---	---

	(該当するものにチェックする)	なし  (2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" 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いる <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない  [特記事項] なし
13)	備考	



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
		小児腎臓病学会 日本内分泌学会 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業ホルモン受容機構異常に関する調査研究班	
2)	要望された医薬品	一般名	経口リン酸塩製剤
		販売名	K-Phos Neutral (米) など
		会社名	ゼリア新薬工業株式会社
3)	要望内容	効能・効果	原発性低リン血症性クル病、Fanconi 症候群、低リン血症
		用法・用量	K-Phos Neutral では、一回 1-2 錠、一日 4 回（毎食後、眠前）
		要望の分類（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（剤形追加も含む） [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>&lt;小児腎臓病学会&gt;          対象疾患について          原発性低リン血症性クル病は、腎尿細管でのリン再吸収障害によって尿中に大量のリンが喪失する結果、低リン血症をきたし、その結果、低身長、クル病、骨軟化症をきたし、下肢の X 脚や Y 脚などの骨格異状を呈するものである。成人では下肢の変形で生じる関節症、骨軟化症による腰痛や骨折が問題となる。原因は腎近位尿細管でリンの再吸収をつかさどるナトリウム依存性リン輸送体の発現や活性を調節している液性因子（FGF23 などが想定されている）が関係しているといわれ、先天性のほか成人では良性および悪性腫瘍に伴う低リン血症性骨軟化症の存在が知られている。まれな疾患であり、本邦における発症頻度、罹患率などの疫学的データは不足している。</p> <p>本剤の医療上の有用性について          根治療法はなく、現時点では中性リン酸投与とビタミン D の大量投与によって血清リン濃度を 2.5mg/dl 以上に維持することが中心的な治療法である。早期から適切に治療すれば、低成長、骨変化、</p>	

		<p>骨折などを予防できるが、市販されている中性リン酸の薬剤はない。このため、各医療施設で、化学薬品である中性リン酸ナトリウムを調合、処方しているのが現状である。中性リン酸の有用性、有効性、安全性に関しては多数の症例の蓄積から明らかになっており、米国ではカプセル製剤として市販されている（例：Neutra-Phos(1カプセル 250mg。常用量 4歳未満 一回1カプセル一日4回投与、4歳以上 一回1~2カプセル 一日4回投与)。カプセル製剤を用いずに水溶液を調剤し服用することもある。Joulie 溶液としてしられているものは、<math>\text{Na}_2\text{HPO}_4</math> と <math>\text{NaH}_2\text{PO}_4</math> のモル比が 4:1 になるように調合し、溶液の pH が 7.4 となるように調合したものである。なお、本邦では輸液の補正用製剤として補正用リン酸二カリウムが承認されているが、注射製剤であり、経口投与に対応した製剤はない。</p> <p>&lt;日本内分泌学会&gt;&lt;厚生労働科学研究費補助金調査研究班&gt;</p> <p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>低リン血症性くる病は、成長障害や O 脚などの骨変形を惹起し、患児の運動能を重度に障害する。また成人発症の低リン血症性骨軟化症では、著明な骨痛や筋力低下から、しばしば患者は完全に寝たきりとなってしまふ。いずれの場合も疾患は不可逆的であり、判断基準の(1)イに相当する。</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p>低リン血症性くる病/骨軟化症に対しては、リン製剤を主とする治療が一般的であるにも拘わらず、これらの疾患に対して保険適応となっているリン製剤が存在しない。従って判断基準の(2)ア、ウに相当する。現状ではリン製剤は、一部の病院の薬剤部で調剤の上処方されており、広く認知されるには至っていない。このため、腫瘍性低リン血症性くる病/骨軟化症などの疾患患者に対し、リン製剤が投与されず、必ずしも適切ではないビスフォスフォネート製剤などの投与が長期間行われ、患者の症状が改善しない場合がある。また現状のリン製剤による副作用が問題となった場合、保険適用の薬剤の場合と同様の補償を受けられない可能性がある。さらに、リン製剤投与に対するインフォームとコンセントについても、必ずしもコンセンサスは得られていない。以上の状況を改善するために、リン製剤の認可を要望する。</p>
5)	備考	



--	--	--

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] ただし、各国の効能・効果は以下の通り。 (米) リンサプリメントとして本剤 1 錠の服用により、米 FDA が成人及び 4 歳以上の小児向けに推奨しているリンの一日必要量 (U.S. RDA) の 25 % を摂取できる (英) ビタミン D 抵抗性くる病にともなう低リン酸血症 (独) 低リン酸血症性くる病、先天性・後天性リン酸塩尿症 (仏) 適切な栄養補給で改善しない低リン酸血症
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  [特記事項]

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	1. 医療上の必要性 (1) について 慢性低リン血症くる病は、成長障害や O 脚などの骨変形を惹起し、患児の運動能を重度に障害する。また成人発症の慢性低リン血症性骨軟化症では、著明な骨痛や筋力低下から、しばしば患者は完全に寝たきりとなってしまふ。いずれの場合も疾患は不可逆的であり、判断基準の(1)イに相当する。 2. 医療上の必要性 (2) について 慢性低リン血症性くる病/骨軟化症に対しては、リン製剤を主とする治療が一般的であるにも拘わらず、これらの疾患に対して保険適応となっているリン製剤が存在しない。従って判断基準の(2)ア、ウに相当する。
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み  <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] なし
10)	企業の開発の意思 (該当するもの)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし

	のにチェックする)	(開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	原発性低リン血症性クル病について、第 22 回未承認薬使用問題検討会議（平成 21 年 10 月 1 日）における開発支援対象品目である。

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <p><input type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）</p> <p><input checked="" 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</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</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><input checked="" type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p>
13)	備 考	小児 WG において検討済みである。

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	個人		358
2)	要望された医薬品	一般名	亜セレン酸ナトリウム
		販売名	亜セレン酸ナトリウム
		会社名	(国内関係企業なし)
3)	要望内容	効能・効果	セレン欠乏症により生じる重篤な視力障害、神経障害、心筋障害、毛髪変化の改善
		用法・用量	亜セレン酸ナトリウム 1日 100 $\mu$ g を経静脈的に投与。中心静脈栄養製剤に混注し投与を行う。
		要望の分類 (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 (剤形追加も含む) [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>セレンは、欠乏症で死亡する唯一の微量元素である。クローン病などで罹病期間が長く腸管切除が繰り返されると短腸症候群を来す。完全中心静脈栄養および経腸栄養などの長期間の人工栄養法を余儀なくされる。これまでに本邦で市販されている完全中心静脈栄養剤および経腸栄養剤には、ほとんどセレンは含まれておらず、1年から3年程度で体内に蓄えられていたものが枯渇し、欠乏症が発症する。欠乏症のおもな症状は、亜急性に進行する小脳失調症、視野障害、視力障害、知覚障害、心筋障害、重篤な場合は、不整脈により死に至ることがある。症状は、進行すると不可逆性である。</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p>亜セレン酸ナトリウム投与により、欠乏症により起こる重篤な神経症状、視力障害、視野障害、心筋症の発症、さらには死に至ることを予防、回避しうる。また、重篤な副作用報告はない。</p> <p>現在、保険適応薬剤となっていないため、施設ごとの倫理委員会に使用許諾を得て、薬剤費を病院が持つ場合や患者負担を強いる状況が続いているのが実際である。</p> <p>当院でもクローン病と診断後、消化管穿孔や腸閉塞により繰り返</p>	

		<p>される上下部消化管広範切除により短腸症候群発症。完全中心静脈栄養療法中に、視力低下、視野狭窄、四肢運動失調、歩行障害が出現し、急速に進行したセレン欠乏症を経験した。亜セレン酸ナトリウム使用を倫理委員会に使用許諾を得て、患者に投与を行っている。費用負担は、患者支払いとなっている状態で、患者負担を強いている状況である。</p> <p>亜セレン酸ナトリウムは、症例報告、当院での使用経験でも重篤な副作用はなく、比較的安全な薬剤と考えられている。</p> <p>難治性疾患がもとで長期間の完全中心静脈栄養療法もしくは、経腸栄養療法を余儀なくされている患者において、セレン欠乏症が認められた場合、亜セレン酸ナトリウム投与は有効な治療法であり、亜セレン酸ナトリウムを保険適応薬剤として認めていただきたい。</p>
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項]

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェック)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項]

	する)	
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし  (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	開発企業が未定である。

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班 (WG) の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</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 checked="" 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>[特記事項] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <input checked="" 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いる <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない <p>[特記事項] なし</p>
13)	備 考	



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本臨床腫瘍学会 卵巣がん体験者の会スマイリー		176
2)	要望された 医薬品	一般名	デキサメタゾン
		販売名	デキサメタゾン 4mg 錠
		会社名	万有製薬株式会社
3)	要望内容	効能・効果	4mg 製剤の剤形追加 [抗悪性腫瘍剤（シスプラチンなど）投与に伴う消化器症状（悪心・嘔吐）]
		用法・用量	デキサメタゾンとして1日4～20mgを1～2回に分割経口投与（最大20mgまで）
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 未承認薬 <input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬（剤形追加も含む） [特記事項] 既承認のデキサメタゾン 0.5mg 錠において要望の効能・効果は既に承認されており、本要望は、医療用後発医薬品としての4mg 錠の剤形追加である。
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>現在、本邦の死亡原因の第1位は悪性腫瘍である。悪性腫瘍患者に対する化学療法の適応はさらに広がっており、合併症の予防は重要である。シスプラチンを代表とする高度嘔吐リスク薬剤だけではなく中等度リスク薬剤では悪心・嘔吐に対して予防薬が不可欠である。これらの薬剤は肺がん、胃がん、結腸・直腸がん、乳がん、卵巣がん、悪性リンパ腫などで使用される。</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p>国内では、デキサメタゾン 4mg 錠の製造承認がなく、化学療法投与患者に対して導入することにより急性・遅発性嘔吐に対する予防薬として使用できる。本邦ではデキサメタゾン錠は 0.5mg 製剤のみの保険承認であることから、経口剤として使用する場合は高リスク化学療法では1日32錠（1錠0.5mg）の内服が必要となり、中等度リスク化学療法でも1日16錠の内服となる。デキサメタゾン</p>	

		錠 4mg 製剤の使用では内服用量はそれぞれ 8 錠, 4 錠と患者にとってはその内服の負担は軽減される. これにより予防薬としての適切な服薬遵守が容易となり患者にとって化学療法リスクの軽減をもたらし, 化学療法の継続が可能となることが期待される。
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項]

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p>(1) ア：本剤は抗悪性腫瘍薬の補助薬としての位置づけであるため、致命的な疾患には該当しないと考える。</p> <p>(1) イ：抗悪性腫瘍薬に伴う悪心・嘔吐の場合、治療に関連した一過性の症状であり、病気の進行が不可逆的であるとは考えにくい。</p> <p>(1) ウ：抗悪性腫瘍薬に伴う悪心・嘔吐は時として日常生活に影響を及ぼすが、上述したように一過性であり、これに該当するとは考えられない。</p> <p>(2) ア：上述したように、5-HT<sub>3</sub>受容体拮抗薬、アプレピタント、およびデカドロン注射薬がある。</p> <p>(2) イ：欧米の臨床試験において、主に 5-HT<sub>3</sub>受容体拮抗薬との併用により有効性を示しているが、NK-1 受容体拮抗薬などの既存の治療と比して明らかに優れているというエビデンスはない。</p> <p>(2) ウ：NCCN ガイドライン、ASCO ガイドラインに標準治療として位置づけられている。</p> <p>上述したとおり、(2) には該当するが、(1) に該当するとは言い難く、従って、「医療上その必要性が高い」とは言い切れない。</p>
----	-------------------------------	--



9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] 下記参照。
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> あり <input checked="" type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由) <b>Merck Sharp &amp; Dohme Corp., a subsidiary of Merck &amp; Co., Inc., Whitehouse Station, N.J., U.S.A</b> では、現在、世界的にデカドロン 4mg 錠の製造販売をしていない。既に海外では 4mg 錠を含め後発品が多く存在 (Roxane Laboratories、IVAX Corporate、Par Pharmaceuticals など) している。 急性嘔吐には、5-HT <sub>3</sub> 受容体拮抗薬及びデカドロン注射用のアンプルがあり、また、遅発性嘔吐についてもアプレピタント (イメンド) が 2009 年 10 月に、またパロノセトロン (アロキシ) も 2010 年 1 月に承認されたことから、様々な代替治療が可能となった。一例として、アプレピタント等が承認され処方可能な US 及び UK におけるデカドロン錠の嘔吐等に対する処方比率はきわめて低い。アプレピタント及びパロノセトロンが承認され、それらの国々と近い環境となった本邦において、デカドロンに対するニーズは不明である。
11)	備 考	

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班 (WG) の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <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 checked="" 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 [特記事項] なし (2) 医療上の有用性についての該当性 <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 checked="" type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない 〔特記事項〕 なし
13)	備 考	

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	小児腎臓病学会		304
2)	要望された医薬品	一般名	メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム
		販売名	ソル・メドロール静注用
		会社名	ファイザー株式会社
3)	要望内容	効能・効果	ネフローゼ症候群
		用法・用量	通常のプレドニゾン使用（2mg/kg）で効果がないネフローゼ症候群に対してメチルプレドニゾンとして1日30mg/kg（最大量1g）を使用する。症状によって追加投与を行う。
		要望の分類（該当するものにチェックする）	<input type="checkbox"/> 未承認薬 <input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬（剤形追加も含む） 〔特記事項〕 なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性（1）ア ステロイド抵抗性小児ネフローゼ症候群は発症後10年で30%が末期腎不全に至り、その最終腎生検では巣状分節性糸球体硬化を示す。巣状分節性糸球体硬化症はわが国では小児腎不全の原疾患の約20%を占め、後天性腎疾患の中では最多である。治療効果がないと腎不全になる疾病であり、腎不全に対して透析や移植療法があるが、著しく患者に負担がかかり、死亡例も見られ重篤である。</p> <p>2. 医療上の有用性（2）ウ 低アルブミン血症状態が続くと在宅治療は困難で長期入院が必要となる。さらに感染症、血栓症による死亡も起こりうる。腎不全になれば長期間におよぶ透析、または腎移植を行う必要がある。腎不全になればたとえ生存しても様々な合併症が問題となる。よって、腎不全への進行を阻止できることは有用である。</p>	
5)	備考		

--	--	--

2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 〔特記事項〕 なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 〔特記事項〕

3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	(1) 適応疾病の重篤性については、「ア 生命に重大な影響がある疾患(致命的な疾患)」また、(2) 医療上の有用性については「ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている」(国内においても標準的治療として位置づけられていると考えられる)に該当すると考えられ、適用外薬の要望『医療上の必要性に関わる基準への該当性』において述べられている記載内容と同様の見解である。
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 〔特記事項〕 なし
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし  (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班(WG)の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患(致命的な疾患) <input checked="" 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>関する WG の評価 (該当するものにチェックする)</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</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <p><input type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない</p> <p><input checked="" 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><input type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p>
13)	備 考	小児 WG において検討済みである。



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本口腔外科学会		10
2)	要望された 医薬品	一般名	rhBMP-2 含有骨充填剤
		販売名	InFUSE Bone Graft/InductOs
		会社名	(国内関係企業なし)
3)	要望内容	効能・効果	歯科インプラント前処置としてのサイナスリフト時の骨を誘導
		用法・用量	(記載なし)
		要望の分類 (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 (剤形追加も含む)  [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	(記載なし)	
5)	備考		

2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] 米国において、医療機器として承認されている。
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  [特記事項]

3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項]
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	開発企業が未定である。

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班 (WG) の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <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 checked="" 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 [特記事項] なし  (2) 医療上の有用性についての該当性 <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いる <input checked="" type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない [特記事項]
-----	---	--



		<p>本製品を用いた療法について、歯科インプラント前処置としては、採骨が必要ではあるが、自家腸骨あるいは口腔内の自家骨から骨を誘導する既存の療法が国内にあること、米国の臨床試験において既存の療法と比べて明らかに優れていることが示されていないこと、及び、欧米における標準的療法とは判断できないことから、医療上の必要性が高いと判断することはできない。</p>
13)	備 考	



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本歯周病学会		14
2)	要望された 医薬品	一般名	rhPDGF 含有 β-リン酸三カルシウム
		販売名	GEM21S
		会社名	第一三共株式会社
3)	要望内容	効能・効果	歯槽骨欠損、根分岐部病変、歯周欠損に関連する歯肉退縮
		用法・用量	セット内容 1 シリンジ(0.5mL) rhPDGF-BB 0.3 mg/mL 1 カップ(0.5mL) β-TCP  用法 全層弁を剥離し、デブライドメント、ルートプレーニングの後、歯根表面をテトラサイクリンで処理し、骨欠損内に PDGF 溶液と混和した β-TCP を充填する。歯肉弁は処置部位を完全に覆うように縫合糸で縫合する。
		要望の分類 (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 (剤形追加も含む) [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 「イ. 病気の進行が不可逆で、日常生活に著しい影響を及ぼす」 日本国内の成人の 80%が歯周病に罹患していると言われており、特に中等度・重度歯周病の患者は歯根膜、歯槽骨等の歯牙の支持組織の欠損が著しく、通常の治療では治癒が困難であり、拔牙に至るケースが多い。歯周病の進行は歯牙の喪失に繋がり、歯牙の喪失は咀嚼、発音等の機能の低下、容貌の変化などの審美性やメンタル面へ影響など著しい QOL の低下をもたらすこととなる。</p> <p>2. 医療上の有用性 「ウ. 欧米において標準的療法に位置づけられている」</p>	

		<p>成長因子や骨充填材による治療は国内外を問わず一般的であり、その組み合わせによる治療が効果できることも共通の見解となっていることは文献や米国で GEM21S が既承認の製品であること、国内の指針より明確である。欧州は現在未承認であるが、「欧米において標準的療法に位置づけられている」に該当すると考える。</p> <p>GTR 法はテクニックセンシティブであり、EMD に代表される成長因子は現在承認されているものは生物由来である等の問題がある。</p> <p>GEM21S のようなリコンビナントヒト成長因子と骨充填の組み合わせはより高い予知性を有する治療を行う上で極めて有用である。</p>
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] 米国において、医療機器として承認されている。
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項]

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性          「ウ. その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当する。          歯根膜、歯槽骨等の歯牙の支持組織の欠損は不可逆的に進み、治療が困難であり、抜歯に至るケースが多い。歯牙の喪失は咀嚼不十分による消化管障害、栄養障害につながり、さらにはメンタル面にも影響を、及ぼすことから、QOL の低下をもたらすこととなる。しかしながら、人工歯、インプラントの技術も進んでいることから、不自由さはあるものの「イ. 病気の進行が不可逆で、日常生活に著しい影響を及ぼす」には該当せず、「ウ」に該当すると考える。</p> <p>2. 医療上の有用性          ア～ウのいずれにも該当しないと考える。          アに該当しない理由: 日本においては GTR 法(保険適用)、及び MED</p>
----	-------------------------------	---

		<p>法（保険適用外）、骨移植術（人工骨移植術は保険適用外）が標準的治療として位置づけられており、単独、又は併用で用いられている。GTR 法で使用するメンブレン、骨移植術で使用する人工骨であるハイドロキシアパタイト製剤はそれぞれ医療機器として承認されている。また、本剤を用いる際の施術法である MED 法で使用するエナメルマトリックスタンパクとしては、エムドゲイン®ゲルが 2001 年に医療機器としての承認を取得している（欧米でも承認取得）。よって、既存の療法は国内に存在する。</p> <p>イに該当しない理由：本剤は米国では医療機器として承認されているものの、欧州では医薬品としての審査段階で「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」とは判断されていない。</p> <p>ウに該当しない理由：上述のとおり欧州では医薬品として未承認であり、標準的療法であるとする根拠はない。</p> <p>現在日本で用いられている 3 種の標準的治療法はそれぞれメリットと共にデメリットもあり、MED 法で使用されるエムドゲイン®も生物由来製品特有の問題がある。しかしながら、1998 年に承認されたエムドゲイン®はその後加熱により安全性を高め、エムドゲイン®ゲルという販売名で 2001 年に承認された。したがって、本剤が承認されれば歯周病治療の選択肢の 1 つになるとは考えられるものの、複数の治療法が存在するため、現時点で医療上の必要性が極めて高いとは考えにくい。</p>
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] なし
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> あり <input checked="" type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

12)	<p>「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価                  (該当するものにチェックする)</p>	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患)</li> <li><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</li> <li><input checked="" type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</li> <li><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</li> </ul> <p>[特記事項] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない</li> <li><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</li> <li><input type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</li> <li><input checked="" type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</li> </ul> <p>[特記事項]                  既存の療法が国内に存在すること、及び、米国では医療機器として承認されているものの、欧州において医薬品として中央審査方式により審査された結果、有効性が認められないと判断され、承認に至らなかったこと等により、医療上の有用性のイ又はウに該当しないと考えられることから、医療上の必要性が高いとは判断できない。</p>
13)	備考	

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本中毒学会・ 財団法人日本中毒情報センター		24
2)	要望された 医薬品	一般名	アトロピン・プラリドキシムクロリド注射用キット
		販売名	Mark I Nerve Agent Antidote Kit (atropine and pralidoxime chloride injection)
		会社名	(国内関係企業なし)
3)	要望内容	効能・効果	自己注射用剤による有機リン剤（神経剤／殺虫剤） 中毒の治療
		用法・用量	<p>Mark I 神経剤解毒剤キットは、Atropen 自動注射器（アトロピン硫酸塩 2.0mg/0.7mL）1本、Pralidoxime Chloride 自動注射器（プラリドキシム塩化物 600mg/2mL）1本から構成される。</p> <p>初回投与：Atropen 自動注射器（アトロピン硫酸塩 2.0mg/0.7mL）を取り出し、大腿部の外側を狙って緑の先端を直角に強く突き、薬剤が投与されるまで、少なくとも10秒間は保持した後、自動注射器を抜く。</p> <p>続いて、Pralidoxime Chloride 自動注射器（プラリドキシム塩化物 600mg/2mL）を大腿部の外側を狙って黒の先端を直角に強く突き、薬剤が投与されるまで、少なくとも10秒間は保持した後、自動注射器を抜く。</p> <p>注射した部位を数秒間マッサージする。</p> <p>追加投与：Atropen 自動注射器の初回投与から10分後、重篤な症状が発現している場合は、2、3本目を追加投与する。</p> <p>Pralidoxime Chloride 自動注射器 投与15分後に神経剤による症状が継続している場合は、追加投与する。さらに15分後、症状が継続している場合は追加投与し、計3回投与後も</p>

			症状が続く場合は、それ以上の投与を行わず、医師の診察を受ける。
		要望の分類 (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 (剤形追加も含む) [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>サリンなどの有機リン系化学兵器神経剤、および有機リン系殺虫剤等による中毒では、その解毒剤の緊急投与ができない状況下では、重症化し、死亡する場合がある<sup>1)2)6)7)</sup>。</p> <p>6) 財団法人 日本中毒情報センター編：財団法人 日本中毒情報センター 医師向け中毒情報：サリン,20081105, Ver.2.01</p> <p>7) 財団法人 日本中毒情報センター編：財団法人 日本中毒情報センター 医師向け中毒情報：有機リン剤, 20090217, Ver.1.08</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・硫酸アトロピンおよびプラリドキシムは、有機リン系化学兵器神経剤、および有機リン系殺虫剤等の特異的解毒剤である。</li> <li>・神経剤の対応では通常救命処置である ABC (Airway - Breathing - Circulation)の順で治療にあたって、気管攣縮により気道確保、換気が困難となるため、DDABC (Decontamination - Drug - Airway - Breathing - Circulation)の順番で、先に解毒剤である硫酸アトロピンを投与して気道分泌を抑え、気管攣縮を解除してから換気を行うとされている<sup>8)</sup>。解毒剤の早期投与の観点から Mark I 神経剤解毒剤キットは有用である。</li> <li>・国内では、有機リン剤による化学テロ・事件や大規模化学災害時など多数の傷病者が発生時に、初動対応者や医療従事者が、緊急対応できる自動注射器型の解毒剤セット (硫酸アトロピン、プラリドキシムのセット) がない。</li> </ul> <p>8) Sidell,F.R.,Borak,J.:Chemical Warfare Agents :II. Nerve Agents, Annals of Emergency Medicine 1992 ; 21 : 865 - 871.</p> <p>3. 危機管理上の重要性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・自衛隊および東京消防庁では、有機リン剤による化学テロ・事件等への危機管理対策として、すでに本解毒剤セットを備蓄しているが、国内未承認解毒剤であるため、毎回薬監証明を取得して、輸入し備蓄しているのが現状である。医療関係者においても、有機リン中毒患者が多数発生した場合に、自動注射器型の解毒剤セットは、発生現場および医療機関において早期に治療を開始でき</li> </ul>	



		<p>るため、極めて有用である。本セットの早期の承認が望まれる。</p> <p>・米国で解毒薬備蓄プロジェクトとして進められている ”CHEMPACK” プログラムでは、Mark I 神経剤解毒剤キットが備蓄用コンテナに備蓄されており、全米で 1,300 以上の拠点に合計 2,000 コンテナ（145 万人分の解毒薬）が配備されている。</p>
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項]

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項]
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)

11)	備 考	開発企業が未定である。
-----	-----	-------------

4. 「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li><input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）</li> <li><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</li> <li><input type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</li> <li><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</li> </ul> <p>[特記事項]</p> <p>なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない</li> <li><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</li> <li><input type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている</li> <li><input checked="" type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</li> </ul> <p>[特記事項]</p> <p>化学テロ、事故等で多数の患者が発生した場合など、本剤のような 2 種類の注射剤を組み合わせた注射用キットが必要となる状況が生じる可能性があることは理解するが、一般的には、既承認の 2 成分の注射薬を順次使用すれば通常の治療は可能であり、当該製剤の薬事承認の必要性は低いと考えられた。</p> <p>承認国の米国においても特定の施設での備蓄薬とされ、一般の医療現場における日常診療での使用は想定されていないと考えられる。以上より、医療上の必要性が高いとは判断できない。</p>
13)	備 考	