

(別添様式)

未承認薬・適応外薬の要望に対する企業見解 (募集対象 (1) (2))

1. 要望内容に関連する事項

| | | |
|----------|--|--|
| 会社名 | サノフィ株式会社 | |
| 要望された医薬品 | 要望番号 | IV-159 |
| | 成分名 (一般名) | ドセタキセル水和物 |
| | 販売名 | タキソテール点滴静注用 |
| | 未承認薬・ 適応外薬の 分類 (必ずいずれ かをチェック する。) | <input type="checkbox"/> 未承認薬 〔当該企業の外国法人の欧米等6カ国いずれかの国における承認取得〕 <input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし <input checked="" 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。) | 乳癌 |
| | 用法・用量 (要望された 用法・用量に ついて記載す る。) | 通常、成人に1日1回、ドセタキセルとして60mg/m ² (体表面積)を1時間以上かけて3～4週間間隔で点滴静注する。なお、患者の状態により適宜増減すること。ただし、1回最高用量は100mg/m ² とする。 |
| | 備考 | (特記事項等) <input type="checkbox"/> 小児に関する要望 (該当する場合はチェックする。) |

| | |
|---|---|
| <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>現在の国内の開発状況</p> | <p> <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) </p> |
| <p>意思 企業としての開発の</p> | <p> <input type="checkbox"/>あり <input checked="" type="checkbox"/>なし (開発が困難とする場合、その特段の理由) 4 項に記載したとおり、本治療は医学的公知に位置づけられ、追加臨床試験の必要性は低いと考えた。 </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、分類し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 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 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 (上記に分類した根拠)</p> <p>乳癌は、進行が不可逆的で、生命や日常生活に影響を及ぼす疾患であるため、上記に該当する。</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><input checked="" 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</p> <p><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>乳癌については、検証的試験の成績に基づき、米国及び欧州では単独投与又は併用投与時のドセタキセル 100mg/m²が承認されており、海外の教科書及び診療ガイドラインにおいても最高用量として 100mg/m²が推奨されていることから、海外では標準治療として位置づけられている。</p> |
| 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

| | | | |
|--|--|------------------------------------|--|
| <p>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。)</p> | <p><input checked="" type="checkbox"/>米国 <input checked="" type="checkbox"/>英国 <input checked="" type="checkbox"/>独国 <input checked="" type="checkbox"/>仏国 <input checked="" type="checkbox"/>加国 <input checked="" type="checkbox"/>豪州</p> | | |
| | <p>[欧米等 6 か国での承認内容]</p> | | |
| | | <p>欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所に下線)</p> | |
| | 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</u> <u>み、該当国にチェックし、</u> <u>該当国の標準的使用内容を</u> <u>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 | | |
| | <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>
補足等なし。

※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

補足等なし。

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

補足等なし。

(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) 米国「NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology Breast cancer Ver 2. 2022 (NCCN, 2022) ^{企業1)}」は更新したが、内容に変更はない。

<日本におけるガイドライン等>

1) 補足等なし。

(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) 補足等なし。

(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) 承認済み。

<要望用法・用量について>

要望書では、ドセタキセル 100mg/m² の医療上の有用性が記載されており、欧米において乳癌に対する治療の選択肢の一つとして位置付けられ、本邦においても乳癌に対してドセタキセル 100mg/m² の必要性があると考えられ、要望されている。

【企業見解】

欧米では乳癌に対する適応症を米国、英国、独国、仏国、加国、豪州を取得しており、その最高用量は 100mg/m² が承認されている。国内外の治療ガイドラインでも推奨されているおり、長年蓄積された報告において有用性は明らかにされている。

また、要望書の「3. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について<日本における臨床試験等>」において記載されているとおり、本邦において乳癌に対するドセタキセル 100mg/m² の臨床試験において評価されていることを踏まえると、乳癌に対するドセタキセル 100mg/m² の有用性が本邦においても期待できることから要望は妥当と考える。

<臨床的位置づけについて>

要望書において海外で実施された転移性乳癌及び早期乳癌を対象とした第Ⅲ相試験では、ドセタキセル 100mg/m² の有効性が検証されており、国内外の教科書やガイドラインでも同用量が推奨されていることを踏まえると、ドセタキセル 100mg/m² は、乳癌に対する治療の選択肢の一つとして位置付けられる旨が述べられている。

【企業見解】

上記を踏まえ、乳癌に対するドセタキセル 100mg/m² の有用性が期待できると考えられること、また乳癌専門医を対象に日本乳癌学会がドセタキセル 100mg/m² の必要性をアンケートしたところ、84.3%の医師に必要性があると回

答があったこと等を踏まえると、要望学会同様にドセタキセル 100mg/m² は、乳癌に対する治療の選択肢の一つとして位置付けられると考える。

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

要望書に記載されているとおり、本剤の要望効能・効果及び用法・用量における有効性及び安全性は複数の臨床試験において評価され、本剤の使用は国内外の臨床ガイドラインにおいても支持されており、本剤の有用性は公知であると考ええる。

また、本邦において乳癌に対するドセタキセル 100mg/m² の臨床試験が実施されていることを踏まえると、重複して新たな臨床試験の実施は不要と考える。したがって、本邦での用法・用量変更にあたり、新たな臨床試験の実施の必要性は低く、既報の臨床試験成績を利用した公知申請が可能であると考ええる。

5. 備考

<その他>
特記事項なし。

6. 参考文献一覧

企業-1) NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology Breast cancer Ver 2. 2022 (NCCN, 2022)