

(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	高田製薬株式会社	
要望された医薬品	要望番号	IV-189
	成分名 (一般名)	コルヒチン (コルヒチン)
	販売名	コルヒチン錠 0.5mg 「タカタ」
	未承認薬・ 適応外薬の 分類 (必ずいずれ かをチェック する。)	☐ 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〕 ☐ あり ☐ なし
		☒ 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。)	ベーチェット病
	用法・用量 (要望された 用法・用量に ついて記載す る。)	1 回 0.5 mg を 1 日 1～3 回経口投与する。
	備 考	(特記事項等) ベーチェット病診療ガイドライン 2020 ¹⁾ においては、皮膚粘膜病変、眼病変、関節炎、急性型神経型の再発予防などにその使用が推奨されている。

		☐ 小児に関する要望 (該当する場合はチェックする。)
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。）	約 20,000 人 <推定方法> ベーチェット病の推定患者数は、Stage I の患者を含めた統計が最後に行われた平成 26 年度の特定疾患医療受給者数（20,035 人）から、約 2 万人と推定した。なお、平成 30 年度指定難病申請患者（最軽症の Stage I の患者を除く）は 14,752 人であった。 ベーチェット病の特定医療費（指定難病）受給者証所持者数は令和 4 年度末で 15,157 人。	
現在の国内の開発状況	☐ 現在開発中 { ☐ 治験実施中 ☐ 承認審査中 } ☒ 現在開発していない { ☐ 承認済み ☐ 国内開発中止 ☒ 国内開発なし } (特記事項等)	
企業としての開発の意思	☐ あり ☒ なし (開発が困難とする場合、その特段の理由) 保発第 51 号厚生省保険局長通知に基づき原則として、「コルヒチン【内服薬】」を「ベーチェット病」に対し処方した場合、当該使用事例を審査上認める。とされています。 ご提案を受けて、現在のコルヒチン錠 0.5mg「タカタ」の適応追加にかかる負担等と適応追加後の費用等回収予測について検討いたしましたが、コルヒチン錠 0.5mg「タカタ」は、不採算品目として 2024 年に再算定を受けた製品であり、上記負担が可能との予測を立てられませんでした。 企業として適応追加対応は難しいと判断いたしました。	

「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。)	1. 適応疾病の重篤性 ☐ア 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患） ☒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 ☐ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 ☐エ 上記の基準に該当しない (上記に分類した根拠) 特殊型病変はその臓器障害によって致死になる可能性がある（例：腸管病変による消化管穿孔や消化管出血）。 眼病変は度重なる炎症発作によって網膜や視神経が不可逆的に障害され視機能低下を起こし、最悪の場合失明する。神経型も急性型を繰り返しつつ慢性進行型に移行した場合には非可逆的な障害を及ぼす。 また、ほとんどすべての患者に見られる口腔内アフタ性潰瘍は QOL を著しく障害することも報告されているほか、その他の皮膚粘膜病変、関節炎も ADL に影響しうる。 2. 医療上の有用性 ☐ア 既存の療法が国内にない ☐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 ☒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 ☐エ 上記の基準に該当しない (上記に分類した根拠) 臨床試験に基づき国内外のガイドラインでもベーチェット病の各病変に広く推奨されている。実際には以前からベーチェット病治療の標準治療薬として汎用されている¹⁾²⁾。
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

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	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 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	販売名（企業名）	

容を記載する。)		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		

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。）	☐ 米国 ☐ 英国 ☐ 独国 ☐ 仏国 ☐ 加国 ☐ 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の下線）	
	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)

※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>

保発第51号厚生省保険局長通知に基づき原則として、「コルヒチン【内服薬】」を「ベーチェット病」に対し処方した場合、当該使用事例を審査上認める。とされており、保険の範囲で使用することが可能と考えられます。

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1) 該当なし

5. 備考

<その他>

1)

6. 参考文献一覧

学会見解と同一の文献番号を使用している