

「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

＜抗がん WG＞

目 次

＜抗がん剤分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における適応外薬

フルダラビンリン酸エステル(要望番号;Ⅲ-③-19)·····	1
フルダラビンリン酸エステル(要望番号;Ⅳ-48)·····	2
G-CSF 製剤(要望番号;Ⅳ-50)·····	3
G-CSF 製剤(要望番号;Ⅳ-53)·····	4

【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

パクリタキセル(要望番号;ⅣS-10)·····	5
--------------------------	---

要望番号	Ⅲ-③-19	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	フルダラビンリン酸エステル	
	会社名	サノフィ株式会社	
要望内容	効能・効果	再発・難治性急性骨髄性白血病（小児）	
	用法・用量	フルダラビン 30 mg/m ² を30分以上かけて5日間点滴静脈内投与する。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>急性骨髄性白血病は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等6カ国では承認されていないものの、診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績等から、フルダラビンリン酸エステル、顆粒球コロニー刺激因子（以下、「G-CSF」）等の併用投与は再発・難治性急性骨髄性白血病患者に対して欧米等において標準的療法に位置づけられていると考えられる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、再発・難治性急性骨髄性白血病に対するフルダラビンリン酸エステル、G-CSF等の併用投与であり、それぞれ成人及び小児について要望書が提出されていることから、要望番号Ⅳ-48、50及び53について、併せて検討を行った。		

要望番号	IV-48	要望者名	日本血液学会
要望された医薬品	一般名	フルダラビンリン酸エステル	
	会社名	サノフィ株式会社	
要望内容	効能・効果	再発・難治性急性骨髄性白血病（成人）	
	用法・用量	フルダラビン 30 mg/m ² を 30 分以上かけて 5 日間点滴静脈内投与する。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>急性骨髄性白血病は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等 6 カ国では承認されていないものの、診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績等から、フルダラビンリン酸エステル、G-CSF 等の併用投与は再発・難治性急性骨髄性白血病患者に対して欧米等において標準的療法に位置づけられていると考えられる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、再発・難治性急性骨髄性白血病に対するフルダラビンリン酸エステル、G-CSF等の併用投与であり、それぞれ成人及び小児について要望書が提出されていることから、要望番号Ⅲ-③-19、IV-50及びIV-53について、併せて検討を行った。		

要望番号	IV-50	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	1) レノグラスチム（遺伝子組換え） 2) フィルグラスチム（遺伝子組換え）	
	会社名	1) 中外製薬株式会社 2) 協和発酵キリン株式会社	
要望内容	効能・効果	再発・難治性急性骨髄性白血病（小児）	
	用法・用量	フルダラビン、シタラビン等の抗悪性腫瘍剤併用化学療法の前日より、G-CSF 製剤としてレノグラスチム 1 回量 5 µg/kg 又はフィルグラスチム 1 回量 300 µg/m ² を、皮下注または 1 時間の点滴静注にて併用化学療法終了日まで（通常 5～6 日間）連日投与する。ただし、患者の状態により適宜増減する。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>急性骨髄性白血病は致命的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ウ]</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等 6 カ国では承認されていないものの、診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績等から、フルダラビンリン酸エステル、G-CSF 等の併用投与は再発・難治性急性骨髄性白血病患者に対して欧米等において標準的療法に位置づけられていると考えられる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、再発・難治性急性骨髄性白血病に対するフルダラビンリン酸エステル、G-CSF等の併用投与であり、それぞれ成人及び小児について要望書が提出されていることから、要望番号Ⅲ-③-19、IV-48及びIV-53について、併せて検討を行った。		

要望番号	IV-53	要望者名	日本血液学会
要望された医薬品	一般名	1) レノグラスチム（遺伝子組換え） 2) フィルグラスチム（遺伝子組換え）	
	会社名	1) 中外製薬株式会社 2) 協和発酵キリン株式会社	
要望内容	効能・効果	再発・難治性急性骨髄性白血病（成人）	
	用法・用量	フルダラビン、シタラビン等の抗悪性腫瘍剤併用化学療法の開始前日より、G-CSF 製剤としてレノグラスチム 1 回量 5 µg/kg 又はフィルグラスチム 1 回量 300 µg/m ² を、皮下注または 1 時間の点滴静注にて併用化学療法終了日まで（通常 5～6 日間）連日投与する。ただし、患者の状態により適宜増減する。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>急性骨髄性白血病は致命的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等 6 カ国では承認されていないものの、診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績等から、フルダラビンリン酸エステル、G-CSF 等の併用投与は再発・難治性急性骨髄性白血病患者に対して欧米等において標準的療法に位置づけられていると考えられる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、再発・難治性急性骨髄性白血病に対するフルダラビンリン酸エステル、G-CSF等の併用投与であり、それぞれ成人及び小児について要望書が提出されていることから、要望番号Ⅲ-③-19、IV-48及びIV-50について、併せて検討を行った。		

要望番号	IVS-10	要望者名	日本胃癌学会
要望された医薬品	一般名	パクリタキセル	
	会社名	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社	
要望内容	効能・効果	胃癌	
	用法・用量	<p>胃癌には他の抗悪性腫瘍剤と併用でF法を使用する。</p> <p>F法：通常、成人にはパクリタキセルとして、1日1回20 mg/m²（体表面積）を1時間かけて腹腔内投与し週1回投与を2～3週連続し、少なくとも2週間休薬する。これを1クールとして、投与を繰り返す。または、パクリタキセルとして、1日1回40 mg/m²（体表面積）を1時間かけて腹腔内投与し週1回投与を2週連続し、少なくとも2週間休薬する。これを1クールとして、投与を繰り返す。</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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>胃癌は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [エ]</p> <p>[特記事項]</p> <p>本要望は、募集対象の分類のうち「先進医療 B で一定の実績があるもの。」に該当するとして要望書が提出された。先進医療 B で実施された国内第Ⅲ相試験では、腹膜播種を有する胃癌患者を対象として、テガフル・ギメラシル・オテラシルカリウム（以下、「S-1」）とパクリタキセルの静脈内及び腹腔内への併用投与（IP 群）と標準的な治療である S-1 とシスプラチンの併用投与（SP 群）を比較した結果、主要評価項目である全生存期間の FAS 対象の主解析では、中央値で 2.5 カ月の差（IP 群：17.7 カ月、SP 群：15.2 カ月）が認められたものの、IP 群の SP 群に対する優越性は示されなかった（ハザード比 0.717、層別ログランク検定 p=0.080）。当該結果を踏まえ、第 48 回先進医療技術審査部会では、要望内容について「B. 従来の医療技術を用いるよりも、やや有効である」と評価されている（ただし、評価委員による評価表においては主解析については、本試験から有効であるとは結論付けられない旨、</p>		

	<p>試験治療の標準治療に対する有効性は証明されたとはいえない旨等のコメントが付記されている)。また、当該試験の追跡調査結果が報告された第 63 回同部会においても評価結果は同一であった。</p> <p>上記を踏まえ、要望内容について、評価基準である「既存の療法と比べて明らかに優れている」に該当するとまでは判断できず、医療上の有用性は「エ」に該当すると判断した。</p>
<p>備 考</p>	<p>要望者からは複数の用法・用量が要望されている一方、要望書においてパクリタキセルを 20 mg/m² から 40 mg/m² に増量することによる効果は明らかではなく、検討が必要である旨の考察がなされていること等を踏まえると、今後、臨床試験を実施する等により、要望内容の臨床的有用性をより明確に示すべきであると考え。また、腹腔内投与は新投与経路に該当することから、要望された用法・用量が薬事承認されるためには、パクリタキセルを腹腔内投与した際の毒性試験、薬物動態試験等の情報が必要と考える。</p>