

第Ⅳ回要望に係る専門作業班（WG）の検討状況の概要等について （平成 29 年 11 月 30 日までの要望分）

1. 第 35 回検討会議終了時点の「医療上の必要性（適応疾患の重篤性・医療上の有用性）」の評価状況

- 検討中課題は 25（未承認薬 3、適応外薬 21、迅速実用化 1）品目であった。

WGの検討状況		代謝・その他	循環器	精神・神経	抗菌・抗炎症	抗がん	生物	小児	合計	
検討済み	必要性高い	未承認薬	0	2	0	1	0	0	2	5
		適応外薬	2	1	1	2	5	0	0	11
		迅速実用化	0	0	3	0	0	0	1	4
	必要性高くない	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0
		適応外薬	0	1	0	0	1	0	0	2
		迅速実用化	0	0	0	0	1	0	0	1
検討対象外	未承認薬	0	0	1	0	0	0	0	1	
	適応外薬	0	1	1	1	2	0	0	5	
	迅速実用化	1	0	0	1	0	0	0	2	
検討中	未承認薬	0	0	0	0	2	1	0	3	
	適応外薬	5	1	2	11	2	0	0	21	
	迅速実用化	0	0	0	1	0	0	0	1	
既に開発中	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	迅速実用化	0	0	0	0	0	0	0	0	
合計		8	6	8	17	13	1	3	56	

※「検討対象外」には検討前に要望者から取り下げられた要望（適応外：精神・神経 1 件、迅速実用化：抗菌・抗炎症 1 件）を含む

2. 前回会議から本会議までの「医療上の必要性（適応疾患の重篤性・医療上の有用性）」の評価状況

- 前回会議時点で検討中であった 25 品目について、平成 30 年 9 月末までのWGにおける評価の進捗状況は、下表のとおりである。
- 平成 30 年 10 月 17 日現在、検討中課題（残課題）数は 24（未承認薬 2、適応外薬 21、迅速実用化 1）品目である。
- 現在検討中である品目について本資料の別添 1※に掲載した。
※ 新たに検討対象外と判断したもの、開発中であることが明らかになったものも含む。

WGの検討状況		代謝・その他	循環器	精神・神経	抗菌・抗炎症	抗がん	生物	小児	合計	
検討済み	必要性高い	未承認薬	0	0	0	0	0	1	0	1
		適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0
		迅速実用化	0	0	0	0	0	0	0	0
	必要性高くない	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0
		適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0
		迅速実用化	0	0	0	0	0	0	0	0
検討対象外	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	迅速実用化	0	0	0	0	0	0	0	0	
検討中	未承認薬	0	0	0	0	2	0	0	2	
	適応外薬	5	1	2	11	2	0	0	21	
	迅速実用化	0	0	0	1	0	0	0	1	
既に開発中	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	迅速実用化	0	0	0	0	0	0	0	0	
合計		5	1	2	12	4	1	0	25	

3. 第35回検討会議終了時点の開発要請と公知申請の妥当性の確認状況について

- 前回会議までに医療上の必要性が高いと評価された20品目の開発要請と公知申請への該当性の確認状況については下表のとおりである。

検討会議	必要性が高いと評価された品目数	開発要請・企業公募日	開発要請品目数	企業公募品目数	合計
第28回～第32回	9	H28年度	1	2	3
第33回	2	H29年度	9	0	9
第34回	1	合計	10	2	12
第35回	8				
合計	20				

各WGの検討状況		合計
企業に開発要請したもの		10
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	0
既に開発に着手しているもの (承認申請済みのものを含む)	未承認薬	0
	適応外薬	1
	迅速実用化	0
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	0
	適応外薬	0
	迅速実用化	2
実施が必要な試験や公知申請の妥当性について検討中のもの	未承認薬	1
	適応外薬	5
	迅速実用化	1
開発企業を公募したもの		2
合計		12

4. 前回検討会議から本会議までの開発要請と公知申請の妥当性の確認に係る進捗状況について

- 前回会議で医療上の必要性が高いと評価された4品目について、平成30年8月30日に開発要請を行った。平成30年9月末までのWGにおける評価の進捗状況は、下表のとおりである。
- 平成30年10月17日現在、検討中課題（残課題）数は10（未承認薬1、適応外薬8、迅速実用化1）である。
- 現在検討中である品目について本資料の別添2※に掲載した。

※ WGで公知妥当性以外の判断をしたものもこちらに掲載する。

各WGの検討状況		合計
企業に開発要請したもの		11
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	1
既に開発に着手しているもの (承認申請済みのものを含む)	未承認薬	0
	適応外薬	0
	迅速実用化	0
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	0
	適応外薬	0
	迅速実用化	0
実施が必要な試験や公知申請の妥当性について検討中のもの	未承認薬	1
	適応外薬	8
	迅速実用化	1
開発企業を公募したもの		0
合計		11

専門作業班にて、「医療上の必要性に係る基準」への該当性等を検討中の要望一覧

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
<代謝・その他WG>								
1	IV-33	ブデゾニド (Budesonide)	自己免疫性肝疾患への使用(自己免疫性 肝炎、原発性胆汁性胆管炎、原発性硬化性 胆管炎)	1日1回9mgを経口投与する等(自己免疫性肝炎)	個人	ゼリア新薬工業株式 会社	適応外薬	
2	IV-44	ソマトロピン(遺 伝子組換え)	プラダーウィリー症候群における体組成改 善	未定	患者団体(プラダー・ウィ リー症候群児・者 親の会 竹の子の会)	ファイザー株式会社	適応外薬	
3	IV-45	ソマトロピン(遺 伝子組換え)	プラダーウィリー症候群における体組成改 善	通常1週間に体重kg当たり、ソマトロピン(遺伝子組換え)とし て0.245mgを6~8回に分けて皮下に注射する	患者団体(プラダー・ウィ リー症候群児・者 親の会 竹の子の会)	ファイザー株式会社	適応外薬	
4	IV-51	ミコフェノール酸 モフェチル	同種造血細胞移植時の移植片対宿主病の 抑制	1回500~1,500mgを1日2~3回食後に経口投与する。なお、 年齢、症状により適宜増減するが、1日3,000mgを上限とす る。	日本造血細胞移植学会	中外製薬株式会社	適応外薬	使用実態調査結果を依頼 中
5	IV-52	ミコフェノール酸 モフェチル	同種造血細胞移植時の移植片対宿主病の 抑制	1回300~600mg/m ² を1日2回食後に経口投与する。なお、 年齢、症状により適宜増減するが、1日2,000mgを上限とす る。	日本造血細胞移植学会	中外製薬株式会社	適応外薬	使用実態調査結果を依頼 中
<循環器WG>								
6	IV-54	アミドトリゾ酸ナト リウムメグルミン 液	大腸CT検査の前処置における腸管内残渣 の標識	通常、成人には本剤20~100mL(腸管洗浄剤の容量に対し本 剤5%程度)を検査前に腸管洗浄剤とあわせて投与する。	日本消化器がん検診学会	バイエル薬品株式会 社	適応外薬	

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
<精神・神経WG>								
7	IV-10	ベルテポルフィン	レーザー治療の適応にならない中心性漿液性脈絡網膜症における黄斑部網膜剥離の吸収	ビズダイン静注用3mg/m ² を10分かけて静脈内投与する。	日本眼科学会、日本網膜硝子体学会、日本眼循環学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬	要望者が照会事項対応中
8	IV-30	マイトマイシンC	緑内障、高眼圧症に対する緑内障手術時に使用し、術後合併症である線維芽細胞の増殖を抑制することで、眼圧下降効果を高めて眼圧再上昇による手術不成功を予防し、手術の成功率を改善する。	線維柱帯切除術(濾過手術)、緑内障治療用インプラント挿入術及びこれらの術後に行う結膜嚢形成手術(部分形成)施行時に、各患者に注射用粉末2mg1本を蒸留水で0.04-0.05%に希釈し、術者の手技に応じて、手術用マイクロスポンジに浸潤させて術野の強膜・結膜などの組織上に数分間接触させる方法、または結膜下に注射する方法により、用いる。	日本眼科学会	協和発酵キリン株式会社	適応外薬	
<抗菌・抗炎症WG>								
9	IV-2	リツキシマブ(遺伝子組換え)	既存治療で効果不十分な関節リウマチ	メトトレキサートの併用で、1回当たり1,000mg/bodyを2週間間隔で計2回(Day 1, 15)点滴静注する。各リツキシマブ投与前に、解熱鎮痛剤、抗ヒスタミン剤、及び静注メチルプレドニゾロン100mgによるプレメディケーションを行う。	日本リウマチ学会	全薬工業株式会社	適応外薬	
10	IV-3	クラリスロマイシン	小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 ※下線部が要望内容	プロトンポンプインヒビター、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を下表の1回量で1日2回1週間経口投与する。 <u>15-30kg未満は15mg/kg/日、30-40kg未満は15mg/kg/日、40kg以上は成人量と同様である。</u> ※下線部が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	大正製薬株式会社 アボット ジャパン株式会社	適応外薬	
11	IV-4	アモキシシリン	小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 ※下線部が要望内容	プロトンポンプインヒビター、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を下表の1回量で1日2回1週間経口投与する。 <u>15-30kg未満は50mg/kg/日、30-40kg未満は1500mg/日、40kg以上は成人量と同様である。</u> この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。 ※下線部が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	協和発酵キリン株式会社 アステラス製薬株式会社 武田薬品工業株式会社	適応外薬	
12	IV-23	メトトレキサート	1)ステロイド全身投与に抵抗性の非感染性ぶどう膜炎・強膜炎の治療 2)ステロイドの全身副作用によりステロイドの治療が困難な非感染性ぶどう膜炎・強膜炎の治療	通常成人に対して1週間単位の投与量を6mgとし、1週間単位の投与量は1回、または2-3回に分割して経口投与する。分割して投与する場合、初日から2日目にかけて12時間間隔で投与する。1週間単位の投与量として16mgを超えないようにする。副作用予防のため週8mgあるいは0.2mg/kg体重以上使用するとき葉酸週3-5mgをMTX最終投与後24-48時間後に投与する。	日本眼科学会 日本眼炎症学会	沢井製薬株式会社 ファイザー株式会社	適応外薬	

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
13	IV-24	メトトレキサート	1)副腎皮質ステロイド(以下ステロイド)の全身治療に抵抗性を示す非感染性小児ぶどう膜炎 2)ステロイド全身治療からの離脱が困難な非感染性小児ぶどう膜炎 3)ステロイド全身・局所治療の副作用によりステロイド治療の継続が困難な非感染性小児ぶどう膜炎	1週間単位の投与量をメトトレキサートとして4~10mg/m ² とし、1週間単位の投与量を1回又は2~3回に分割して経口投与する。分割して投与する場合、初日から2日目にかけて12時間間隔で投与する。1回又は2回分割投与の場合は残りの6日間、3回分割投与の場合は残りの5日間は休薬する。これを1週間ごとに繰り返す。 なお、患者の年齢、症状、忍容性及び本剤に対する反応等に応じて適宜増減する。	日本眼科学会 日本眼炎症学会	沢井製薬株式会社 ファイザー株式会社	適応外薬	
14	IV-36	メトトレキサート	1)副腎皮質ステロイド(以下ステロイド)全身投与に抵抗性の非感染性強膜炎の治療 2)ステロイド全身治療からの離脱が困難な非感染性強膜炎の治療 3)ステロイドやシクロスポリンの全身副作用によりステロイドの治療継続が困難な非感染性強膜炎の治療	通常成人に対して1週間単位の投与量を6mgとし、1週間単位の投与量は1回、または2-3回に分割して経口投与する。分割して投与する場合、初日から2日目にかけて12時間間隔で投与する。1週間単位の投与量として16mgを超えないようにする。副作用予防のため週8mgあるいは0.2mg/kg体重以上使用するとき葉酸週3-5mgをMTX最終投与後24-48時間後に投与する。	日本眼科学会 日本眼炎症学会	ファイザー株式会社	適応外薬	
15	IV-37	メトトレキサート	副腎皮質ステロイドと併用あるいは単独で使用するにより、サルコイドーシスによる諸症状の改善を目的とする。	4mg~16mg/週	日本サルコイドーシス/肉芽腫性疾患学会 日本呼吸器学会 日本循環器学会 厚生労働科学研究費補助金難治性疾患等政策研究事業びまん性肺疾患に関する調査研究班	ファイザー株式会社	適応外薬	要望者が照会事項対応中
16	IV-40	ミコフェノール酸モフェチル	強皮症にともなう間質性肺疾患の増悪抑制、改善	通常、ミコフェノール酸モフェチルとして1回250~1,000mgを1日2回12時間毎に食後経口投与する。 なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日3,000mgを上限とする。	日本呼吸器学会	中外製薬株式会社	適応外薬	

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等															
17	IV-42	エソメプラゾール	下記における小児・未成年者(青年)に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 胃潰瘍・十二指腸潰瘍・胃MALTリンパ腫・ 特発性血小板減少性紫斑病・早期胃癌に 対する内視鏡的治療後胃、ヘリコバクター・ ピロリ感染胃炎	<p>エソメプラゾール、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を下表の1日量を1日2回で1週間経口投与する。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を下表の1日量を1日2回で1日2回1週間経口投与する。</p> <table border="1"> <thead> <tr> <th></th> <th>15-30kg未満</th> <th>30-40kg未満</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>エソメプラゾール</td> <td>10mg/日</td> <td>20mg/日</td> </tr> <tr> <td>AMPC</td> <td>50mg/kg/日</td> <td>1500mg/日</td> </tr> <tr> <td>CAM</td> <td>15mg/kg/日</td> <td>15mg/kg/日</td> </tr> <tr> <td>MNZ</td> <td>500mg/日 (25kg以上)</td> <td>500mg/日</td> </tr> </tbody> </table> <p>40kg以上に関しては、成人用量に準じる。通常、成人にはエソメプラゾールとして1回20mg、アモキシシリン水和物として1回750mg(力価)及びクラリスロマイシンとして1回200mg(力価)の3剤を同時に1日2回、7日間経口投与する。なお、クラリスロマイシンは、必要に応じて適宜増量することができる。ただし、1回400mg(力価)1日2回を上限とする。プロトンポンプインヒビター、アモキシシリン水和物及びクラリスロマイシンの3剤投与によるヘリコバクター・ピロリの除菌治療が不成功の場合は、これに代わる治療として、小児(12歳以上)にはアモキシシリン水和物として1回50mg/kg(力価)、メロニダゾールとして1回250mg(力価)、及びエソメプラゾールとして1回10mg(15-30kg未満)または20mg(30-40kg未満)の3剤を同時に1日2回、7日間経口投与する。</p>		15-30kg未満	30-40kg未満	エソメプラゾール	10mg/日	20mg/日	AMPC	50mg/kg/日	1500mg/日	CAM	15mg/kg/日	15mg/kg/日	MNZ	500mg/日 (25kg以上)	500mg/日	<p>日本ヘリコバクター学会 日本小児栄養消化器肝臓学会 日本小児感染症学会</p>	アストラゼネカ株式会社	適応外薬	
	15-30kg未満	30-40kg未満																					
エソメプラゾール	10mg/日	20mg/日																					
AMPC	50mg/kg/日	1500mg/日																					
CAM	15mg/kg/日	15mg/kg/日																					
MNZ	500mg/日 (25kg以上)	500mg/日																					
18	IV-43	アセトアミノフェン	下記の疾患並びに症状の鎮痛 関節リウマチ	<p>通常、成人にはアセトアミノフェンとして、1回300～1000mgを経口投与し、投与間隔は4～6時間以上とする。なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日総量として4000mgを限度とする。また、空腹時の投与は避けることが望ましい。</p>	<p>一般社団法人 日本リウマチ学会</p>	<p>あゆみ製薬株式会社 東洋製薬化成株式会社 他</p>	適応外薬																
19	IV-49	アセトアミノフェン	下記の疾患並びに症状の鎮痛 (3)若年性特発性関節炎	<p>効能又は効果(3)の場合 通常、幼児及び小児にはアセトアミノフェンとして、体重1kgあたり1回10～15mgを経口投与し、投与間隔は4～6時間以上とする。なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日総量として60mg/kgを限度とする。ただし、成人の用量を超えない。また、空腹時の投与は避けさせることが望ましい。</p>	<p>日本小児リウマチ学会</p>	<p>あゆみ製薬株式会社 東洋製薬化成株式会社 他</p>	適応外薬																
20	IVS-6	サルグラモステム(遺伝子組換え)	自己免疫性肺胞蛋白症における低酸素血症の改善	<p>1回125μgを生理食塩水2mlに溶解しネブライザーを用いて適宜吸入する。1日2回、7日間吸入後、7日間休薬を1コースとして、吸入する。</p>	<p>日本呼吸器学会</p>	<p>ジェンザイム・ジャパン株式会社</p>	迅速実用化																

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	検討状況等
<抗がんWG>								
21	IV-20	ビンブラスチン硫酸塩	難治性デスモイド型線維腫症	メトトレキサート30mg/m ² とビンブラスチン硫酸塩6mg/m ² との併用で点滴静注する。これを1コースとして2週間に1回の投与を繰り返す。	日本整形外科学会	日本化薬株式会社	適応外薬	要望内容を成人と小児に分ける必要性について、要望者に確認中。
22	IV-21	メトトレキサート	難治性デスモイド型線維腫症	メトトレキサート30mg/m ² とビンブラスチン硫酸塩6mg/m ² との併用で点滴静注する。これを1コースとして2週間に1回の投与を繰り返す。	日本整形外科学会	ファイザー株式会社	適応外薬	要望内容を成人と小児に分ける必要性について、要望者に確認中。
23	IV-38	イソトレチノイン	高リスク神経芽腫	160mg/m ² /day 分2 経口投与 14日間投与、14日間休薬の28日を1サイクルとして繰り返す。	日本小児血液・がん学会	Roche / Ranbaxy / Mylan Pharmaceuticals / Teva Pharmaceuticals / Douglas Pharmaceuticals / Dr. Reddy's Laboratories	未承認薬	要望区分について、要望者に確認中。
24	IV-39	Thiotepa (Tris (aziridin-1yl) phosphine sulfate)	中枢神経系リンパ腫(原発性およびその他のリンパ腫の中枢神経系浸潤を含む)	40mg/m ² , 1時間点滴静注	日本リンパ網内系学会	ADIENNES.r.1. Via Broseta 64/B 24128 Bergamo, Italy	未承認薬	

未承認薬	2
適応外薬	21
迅速実用化	1
合計	24

専門作業班にて、実施が必要な試験等を検討中の要望一覧

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	開発要請に対する企業見解 (概略) ^{注1}	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<代謝・その他WG>								
1	IV-27	ケノデオキシコール酸 (chenodeoxycholic acid)	脳腱黄色腫症	日本神経治療学会	藤本製薬株式会社	開発方針を検討した上で必要とされる臨床試験計画を立案する。	治験相談実施済み。	適応外薬
2	IV-12	メロニダゾール	酒さ	日本皮膚科学会	マルホ株式会社、ガルデルマ株式会社	開発方針を検討した上で必要とされる臨床試験計画を立案する。	治験相談実施済み。	適応外薬
<精神・神経WG>								
3	IVS-8	ベバシズマブ(遺伝子組換え)	放射線脳壊死に起因する脳浮腫	日本脳神経外科学会 日本放射線腫瘍学会 日本定位放射線治療学会	中外製薬株式会社	公知申請を希望する。	画像診断に用いる製剤の開発状況を踏まえて検討中	迅速実用化
<循環器WG>								
4	IV-19	Defibrotide	類洞閉塞症候群	日本造血細胞移植学会	日本新薬株式会社	実施された医師主導治験をもとに申請することを検討中。	治験相談実施済み。 申請予定。	未承認薬
5	IV-46	リツキシマブ(遺伝子組換え)	血栓性血小板減少性紫斑病	日本血液学会	全薬工業株式会社	公知申請を希望する。		適応外薬

＜抗がんWG＞								
6	IV-25	カベシタピン	神経内分泌腫瘍	日本神経内分泌腫瘍研究会 日本膵臓学会 パンキャンジャパン	中外製薬株式会社	公知申請を希望する。	使用実態調査を依頼中。	適応外薬
7	IV-26	テモゾロミド	神経内分泌腫瘍	日本神経内分泌腫瘍研究会 日本膵臓学会 パンキャンジャパン	MSD株式会社	公知申請を希望する。	使用実態調査を依頼中。	適応外薬
8	IV-48	フルダラビンリン酸エステル	成人の再発・難治性急性骨髄性白血病に対する他の抗悪性腫瘍剤との併用療法	日本血液学会	サノフィ株式会社	公知申請を希望する。		適応外薬
9	IV-50	遺伝子組換えヒト顆粒球コロニー刺激因子レノグラスチム(遺伝子組換え)フィルグラスチム(遺伝子組換え)	再発・難治性急性骨髄性白血病に対するフルダラビン等を含む抗悪性腫瘍剤との併用療法(FLAG+IDR療法)	日本小児血液がん学会	中外製薬株式会社 協和発酵キリン株式会社	公知申請を希望する。		適応外薬
10	IV-53	遺伝子組換えヒト顆粒球コロニー刺激因子レノグラスチム(遺伝子組換え)フィルグラスチム(遺伝子組換え)	再発・難治性急性骨髄性白血病に対するフルダラビン等を含む抗悪性腫瘍剤との併用療法(FLAG+IDR療法)	日本血液学会	中外製薬株式会社 協和発酵キリン株式会社	公知申請を希望する。		適応外薬

注) 提出された企業見解より適宜抜粋した。

未承認薬	1
適応外薬	8
迅速実用化	1
合計	10