

第Ⅳ回要望の未承認薬・適応外薬の開発要望について(平成30年10月1日～平成31年4月30日)

資料 2-5

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 迅速実用化 の分類	備考
1	IV-71	トレチノイン	急性前骨髄球性白血病	<p>・急性前骨髄球性白血病の寛解導入後療法にも適応を拡大するため、【用法・用量】から「寛解導入療法として」の記載を削除する。服用回数を「3回」から「2回または3回」に変更する。</p> <p>【用法・用量】 通常、成人にはトレチノイン1日60～80mg (45mg/m²)を2回または3回に分けて食後経口投与する。 なお、年齢、症状により適宜増減する。</p>	日本血液学会	富士製薬工業株式会社	適応外薬	企業見解を確認中
2	IV-72	魚油由来静脈注射用脂肪乳剤 (精製魚油エマルジョン)	小児静脈栄養関連胆汁うっ滞における栄養補給	体重1 kgあたり1日1 g (Omegavenとして10 mL)を8時間～24時間かけて経静脈的に持続投与する(0.15g /kg/hrを越えない速度で投与する)	日本小児外科学会	Fresenius Kabi Deutschland GmbH	未承認薬	企業見解を確認中
3	IV-73	オンダンセトロン塩酸塩	術後の悪心・嘔吐の予防及び治療	通常、小児にはオンダンセトロンとして1回0.05～0.1mg/kg(最大4mg)を緩徐に静脈内投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。	日本小児麻酔学会	①光製薬株式会社 ②サンド株式会社 ③富士製薬工業株式会社	適応外薬	要望書を確認中
4	IV-74	レベチラセタム	てんかん重積状態	成人の場合1回1000～3000mgを静脈内投与する。	日本救急医学会	ユーシービージャパン株式会社	適応外薬	要望書を確認中

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 迅速実用化 の分類	備考
5	IV-75	イマチニブメシル酸塩	隆起性皮膚線維肉腫	通常、成人にはイマチニブとして1日1回600mgを食後に経口投与する。なお、血液所見、年齢・症状により適宜増減するが、1日800mg(400mgを1日2回)まで増量できる。	日本臨床腫瘍学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬	要望書を確認中
6	IVS-16	glycyl-L-2-methylpropyl-L-glutamic acid (グリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸) (trofinetide(トロフィネチド) (開発名: NNZ-2566))	レット症候群に起因する運動・神経系の諸障害の改善および進行の停止	レット症候群患者に対してグリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸として1日70 mg/kg 分2(成人(15歳超))を経口投与により使用する。	認定NPO法人 レット症候群支援機構	Neuren Pharmaceuticals, Ltd.(豪)(ニューレンファーマシューティカルズ リミテッド) ACADIA Pharmaceuticals Inc.(米)(アカディアファーマシューティカルズ インコーポレイテッド) Neuren Pharmaceuticals, Ltd.(豪)(ニューレンファーマシューティカルズ リミテッド) ACADIA Pharmaceuticals Inc.(米)(アカディアファーマシューティカルズ インコーポレイテッド)	迅速実用化	要望書を確認中

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 迅速実用化 の分類	備考
7	IVS-17	glycyl-L-2-methylpropyl-L-glutamic acid (グリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸) (trofinetide(トロフィネチド) (開発名: NNZ-2566))	レット症候群に起因する運動・神経系の諸障害の改善および進行の停止	レット症候群患者に対してグリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸として1日200 mg/kg分2(小児(5-15歳))を経口投与により使用する。	認定NPO法人 レット症候群支援機構	Neuren Pharmaceuticals, Ltd.(豪)(ニューレンファーマシューティカルズ リミテッド) ACADIA Pharmaceuticals Inc.(米)(アカディアファーマシューティカルズ インコーポレイテッド) Neuren Pharmaceuticals, Ltd.(豪)(ニューレンファーマシューティカルズ リミテッド) ACADIA Pharmaceuticals Inc.(米)(アカディアファーマシューティカルズ インコーポレイテッド)	迅速実用化	要望書を確認中
8	IVS-18	イソトレチノイン (isotretinoin, 13-cis-retinoic acid)	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	日本小児血液・がん学会	迅速実用化	要望書を確認中
9	IVS-19	大建中湯	ヒルシュスプルング病並びに類縁疾患患者における術後腸管麻痺、イレウス		日本小児外科学会	株式会社ツムラ、小太郎漢方製薬株式会社	迅速実用化	要望書を確認中

未承認薬	1
適応外薬	4
迅速実用化	4
合計	9