資料 3 - 1

「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

＜代謝・その他 WG＞

目　次

＜その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）＞
【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
ミコフェノール酸　モフェチル
（要望番号；IV-51, 52）…… 1

<table>
<tr><td>要望番号</td><td>IV-51, 52</td><td>要 望 者 名</td><td>日本造血細胞移植学会</td></tr>
<tr><td colspan="2" rowspan="2">要望された医薬品</td><td>一 般 名</td><td>ミコフェノール酸　モフェチル</td></tr>
<tr><td>会 社 名</td><td>中外製薬株式会社</td></tr>
<tr><td colspan="2" rowspan="2">要 望 内 容</td><td>効能・効果</td><td>造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制</td></tr>
<tr><td>用法・用量</td><td>成人
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。

小児
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。</td></tr>
<tr><td>「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</td><td colspan="3">（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ア
〔特記事項〕
造血幹細胞移植における移植片対宿主病（以下、「GVHD」）は、移植関連死の主要な一因である。
以上より、「ア」に該当すると考える。

（2）医療上の有用性についての該当性　ウ
〔特記事項〕
要望された適応について、ミコフェノール酸　モフェチル（以下、「本剤」）の欧米等 6 カ国における承認はないが、以下の理由等から、「ウ」に該当すると考える。
① 海外の診療ガイドライン（Prophylaxis and treatment of GVHD: EBMT–ELN〈European Group for Blood and Marrow Transplantation</td></tr>
</table>

	and the European LeukemiaNet〉 working group recommendations for a standardized practice）において、GVHD の予防に対して本剤の経口投与は標準的療法に位置付けられており、GVHD の治療に対しても二次治療の選択肢の一つとして記載されていること。 ② 成人の造血幹細胞移植患者を対象とした国内の臨床試験において、本剤の経口投与による GVHD の抑制（予防及び急性／慢性 GVHD の治療）に対する有用性が報告されていること。 ③ 成人及び小児の国内使用実態調査において、GVHD の抑制（予防及び急性／慢性 GVHD の治療）に対する本剤の使用実態が確認されたこと。国内の診療ガイドライン（造血細胞移植ガイドライン GVHD 第 4 版）において、GVHD の抑制（予防及び急性／慢性 GVHD の治療）に対する選択肢の一つとして本剤の経口投与について記載されていること。
備　　考	