

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 （令和2年1月31日までの要望分）

1. 第40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31（未承認薬3、適応外薬22、迅速実用化6）品目であった。それに第Ⅳ回要望（令和元年5月1日～令和2年1月31日）の17品目（うち、適応外薬2品目は第40回検討会議で検討済み）を加えた評価状況は下表のとおりである。

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	3	0	3	2	10
		適応外薬	4	1	2	2	9	1	2	21
		迅速実用化	0	0	3	0	0	0	2	5
	必要性高くない	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0
		適応外薬	1	1	0	3	1	0	0	6
		迅速実用化	0	0	0	0	2	0	0	2
検討対象外	未承認薬	0	0	1	0	0	0	0	1	
	適応外薬	1	1	1	2	2	0	0	7	
	迅速実用化	1	0	0	1	0	0	0	2	
検討中	未承認薬	1	1	0	0	1	0	0	3	
	適応外薬	5	6	2	13	11	0	0	37	
	迅速実用化	1	0	2	1	2	0	0	6	
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	1	0	0	1	
合計			14	12	11	25	29	4	6	101

※「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：代謝・その他1件、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

- 前回会議終了時点で検討中であった46品目について、令和2年4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。
- 令和2年5月27日現在、検討中課題（残課題）数は39（未承認3、適応外薬32、迅速実用化4）品目である。
- 現在検討中である39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。
※ 前回会議終了時点から令和2年5月27日までに進捗のあった項は赤字。

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	0	0	0
		適応外薬	3	0	0	0	0	0	0	3
		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	1	1	0	0	1	0	0	3	
	適応外薬	0	6	2	13	11	0	0	32	
	迅速実用化	1	0	2	0	1	0	0	4	
既に開発中	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	適応外薬	2	0	0	0	0	0	0	2	
	迅速実用化	0	0	0	1	1	0	0	2	
合計			7	7	4	14	14	0	0	46

3. 第40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36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34回	12	H28年度	1	2	3
第35回	8	H29年度	9	0	9
第36回	1	H30.8.30	4	4	8
第37回	2	H30.11.12	1	0	1
第38回	3	H31.2.28	2	0	2
第39回	6	R1.6.28	3	0	3
第40回	4	R1.9.19	6	0	6
合計	36	合計	26	6	32

各WGの検討状況	合計
企業に開発要請したもの	30
公知申請が妥当であるもの	3
	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)	4
	2
	2
	0
治験の実施等が必要と考えられるもの	2
	0
	0
	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	20
	5
	14
	1
開発企業を公募したもの	6
合計	36

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ものは4品目であり、これまでに検討中であった16品目と合わせて検討中課題は20品目となった。令和2年4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。
 - 令和2年5月27日現在、検討中課題（残課題）数は17（未承認薬2、適応外薬14品目、迅速実用化1）である。
 - 現在検討中である17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。
- ※ 前回会議終了時点から令和2年5月27日までに進捗のあった項は赤字。

各WGの検討状況	合計
企業に開発要請したもの	18
公知申請が妥当であるもの	0
	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)	1
	1
	0
治験の実施等が必要と考えられるもの	0
	0
	0
	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	17
	2
	14
	1
開発企業を公募したもの	2
合計	20

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	-58	Doxylaminesuccinate / Pyridoxinehydrochloride	妊娠時の悪心・嘔吐	1日目は、1日1回就寝時に1錠を経口投与。2日目は、効果が不十分な場合、朝1錠、就寝時1錠に増量できる。最大推奨用量は、1日2錠(1日2回)。 BONJESTAは1錠あたり Doxylamine succinate及びPyridoxine hydrochlorideを各20mg含有する。	公益社団法人日本産科婦人科学会日本眼炎症学会	Duchesnay Inc.	未承認薬	
2	S-19	大建中湯	ヒルシュスブル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
< 循環器WG >								
3	-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	
4	-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	
5	-77	メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム	川崎病の急性期(静注用免疫グロブリンに不応または不応予測例)	通常、メチルプレドニゾンとして30 mg/kgを1日1回、1~3日間点滴静注する	日本小児循環器学会、日本川崎病学会<案>	ファイザー株式会社	適応外薬	企業見解を確認中
6	-82	インドシアニンググリーン	胆管の描出(赤外線照射時の蛍光測定による)	2.5~5.0 mgを静脈注射する。	日本外科学会	第一三共株式会社	適応外薬	要望書を確認中
7	-84	エルトロンボパゴオラミン	慢性特発性血小板減少性紫斑病	開始用量は、6歳以上は1日1回25mg、1~5歳には1日1回12.5mg。出血の危険性を減らすため、血小板数が50,000/μLを超えるまで増量する。1日最大投与量は50mgとする。	日本小児血液・がん学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬	企業見解を確認中
8	-85	ロミプロスチム(遺伝子組換え)	慢性特発性血小板減少性紫斑病	初回投与量1μg/kgを皮下投与する。投与開始後は血小板数、症状に応じて投与量を適宜増減し、週1回皮下投与する。また、最高用量は週1回10μg/kgとする。	日本小児血液・がん学会	協和キリン株式会社	適応外薬	企業見解を確認中

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 の分類	検討状況等
9	-87	リツキシマブ(遺伝子組換え)	1.CD20陽性のB細胞性非ホジキンリンパ腫 2.CD20陽性の慢性リンパ性白血病 3.免疫抑制状態下のCD20陽性のB細胞性リンパ増殖性疾患 4.多発血管炎性肉芽腫症、顕微鏡的多発血管炎 5.難治性のネフローゼ症候群(頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合) 6.慢性特発性血小板減少性紫斑病 7.下記のABO血液型不適合移植における抗体関連型拒絶反応の抑制 腎移植、肝移植 8.インジウム(111In)イブリツモマブ チウキセタン(遺伝子組換え)注射液及びイットリウム(90Y)イブリツモマブ チウキセタン(遺伝子組換え)注射液投与前投与	1.<CD20陽性のB細胞性非ホジキンリンパ腫に用いる場合> 通常、成人には、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375 mg/m2を1週間間隔で点滴静注する。最大投与回数は8回とする。他の抗悪性腫瘍剤と併用する場合は、併用する抗悪性腫瘍剤の投与間隔に合わせて、1サイクルあたり1回投与する。 維持療法に用いる場合は、通常、成人には、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375 mg/m2を点滴静注する。投与間隔は8週間を目安とし、最大投与回数は12回とする。 <CD20陽性の慢性リンパ性白血病に用いる場合> 他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人には、リツキシマブ(遺伝子組換え)として初回に1回量375 mg/m2、2回目以降は1回量500 mg/m2を、併用する抗悪性腫瘍剤の投与サイクルに合わせて、1サイクルあたり1回点滴静注する。最大投与回数は6回とする。 <免疫抑制状態下のCD20陽性のB細胞性リンパ増殖性疾患に用いる場合> 通常、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375 mg/m2を1週間間隔で点滴静注する。最大投与回数は8回とする。 <多発血管炎性肉芽腫症及び顕微鏡的多発血管炎及び慢性特発性血小板減少性紫斑病に用いる場合> 通常、成人には、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375 mg/m2を1週間間隔で4回点滴静注する。 <慢性特発性血小板減少性紫斑病に用いる場合> 通常、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375 mg/m2を1週間間隔で4回点滴静注する。 <難治性のネフローゼ症候群(頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合)に用いる場合> 通常、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375 mg/m2を1週間間隔で4回点滴静注する。ただし、1回あたりの最大投与量は500mgまでとする。 <ABO血液型不適合腎移植・肝移植における抗体関連型拒絶反応の抑制に用いる場合> 通常、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375 mg/m2を点滴静注する。ただし、患者の状態により適宜減量する。 <インジウム(111In)イブリツモマブ チウキセタン(遺伝子組換え)注射液及びイットリウム(90Y)イブリツモマブ チウキセタン(遺伝子組換え)注射液投与前投与に用いる場合>	日本小児血液・がん学会	全薬工業株式会社	適応外薬	企業見解待ち
< 精神・神経WG >								
10	-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	ビズサイン静注用3mg/m2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	要望書を確認中
11	-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 の分類	検討状況等
12	S-16	glycyl-L-2-methylprolyl-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	迅速実用化	要望書を確認中
13	S-17	glycyl-L-2-methylprolyl-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	迅速実用化	要望書を確認中
< 抗菌・抗炎症WG >								
14	-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	要望書を確認中
15	-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。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。 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	今後の方針を検討中

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 の分類	検討状況等															
16	-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。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。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメトロニダゾール(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	今後の方針を検討中															
17	-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ことにより、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	要望書を確認中															
18	-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	今後の方針を検討中															
19	-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	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をメトロニダゾール(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。 <table border="1" data-bbox="1113 1066 1715 1228"> <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> 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)、メト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。		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	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	アストラゼネカ株式会社	適応外薬	今後の方針を検討中
	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																					
20	-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	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。	一般社団法人 日本リウマチ学会	あゆみ製薬株式会社 東洋製薬化成株式会社 他	適応外薬	今後の方針を検討中															
21	-55	アセトアミノフェン	下記の疾患並びに症状の鎮痛 術後疼痛	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。	公益社団法人 日本麻酔科学会	あゆみ製薬株式会社 東洋製薬化成株式会社 他	適応外薬	今後の方針を検討中															

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 の分類	検討状況等
22	-70	エムトリシタピン テノホビルジソ プロキシルフマ	HIV感染症の予防	通常、成人には1回1錠(エムトリシタピンとして200mg及びテ ノホビル ジソプロキシルフマル酸塩として300mgを含有)を1 日1回経口投与する。	日本エイズ学会	鳥居薬品株式会社日 本たばこ産業株式 会社	適応外薬	企業見解を確認中
23	-86	ミコフェノール酸 モフェチル	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性血管炎(顕微鏡的多発血管炎、多 発血管炎性肉芽腫症 旧Wegener肉芽腫 症、結節性多発動脈炎、好酸球性多発血 管炎性肉芽腫症 旧Churg-Strauss 症候 群、高安動脈炎)、全身性エリテマトー デス(SLE)、多発性筋炎、皮膚筋炎、 強皮症、混合性結合組織病、および難治 性リウマチ性疾患	成人 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。 小児 通常、ミコフェノール酸モフェチルとして1回150~ 600mg/m2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2,000mgを上限 とする。	日本リウマチ学会、日本小 児リウマチ学会、厚生労働 科学研究「自己免疫疾患に 関する調査研究」研究班、 厚生労働科学研究「難治 性血管炎に関する調査研 究」研究班	中外製薬株式会社	適応外薬	要望書を確認中
24	-88	ミコフェノール酸 モフェチル	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性血管炎(顕微鏡的多発血管炎、多 発血管炎性肉芽腫症 旧Wegener肉芽腫 症、結節性多発動脈炎、好酸球性多発血 管炎性肉芽腫症 旧Churg-Strauss 症候 群、高安動脈炎)、全身性エリテマトー デス(SLE)、多発性筋炎、皮膚筋炎、 強皮症、混合性結合組織病、および難治 性リウマチ性疾患	成人 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。 小児 通常、ミコフェノール酸モフェチルとして1回150~ 600mg/m2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2,000mgを上限 とする。	日本小児リウマチ学会、日 本リウマチ学会	中外製薬株式会社	適応外薬	要望書を確認中
25	-90	トシリズマブ	多関節に活動性を有する若年性特発性 関節炎	体重: 30kg: 1回162mgを2週間間隔で皮下注する。 体重:<30kg: 1回162mgを3週間間隔で皮下注する。 2歳以上に限る。	日本小児リウマチ学会	中外製薬	適応外薬	要望書を確認中
26	-91	トシリズマブ	全身型若年性特発性関節炎	体重: 30kg: 1回162mgを1週間間隔で皮下注する。 体重:<30kg: 1回162mgを2週間間隔で皮下注する。 2歳以上に限る。	日本小児リウマチ学会	中外製薬	適応外薬	要望書を確認中
< 抗がんWG >								
27	-20	ピンブラスチン硫 酸塩	難治性デスモイド型線維腫症	メトトレキサート30mg/m2とピンブラスチン硫酸塩6mg/m2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	要望書を確認中
28	-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/m2とピンブラスチン硫酸塩6mg/m2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	要望書を確認中
29	-39	Thiotepa (Tris(aziridin- 1yl)phosphine	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/m2,1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	適応外薬	企業見解を確認中
30	-62	ロムスチン (CCNU)	神経膠腫	120-130 mg/sqm, 6週毎(単剤またはプロカルバジン・ピンク リスチンと併用時)に内服する。	日本脳腫瘍学会	medac Pharma	未承認薬	企業見解を確認中
31	-63	オキサリプラチン	胃癌	他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはオキ サリプラチンとして85mg/m2(体表面積)を1日1回静脈内に2 時間で点滴投与し、少なくとも13日間休薬する。これを1サイ クルとして投与を繰り返す。	日本胃癌学会	株式会社ヤクルト本 社	適応外薬	企業見解を確認中

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 の分類	検討状況等
32	-64	フルオロウラシル	胃癌	レボホリナート・フルオロウラシル持続静注併用療法レボホリナートとして1回200mg/m ² (体表面積)を2時間かけて点滴静注する。レボホリナートの点滴静注終了直後にフルオロウラシルとして400mg/m ² (体表面積)を静注、さらにフルオロウラシルとして2400~3000mg/m ² (体表面積)を46時間持続静注する。これを2週間ごとに繰り返す。	日本胃癌学会	協和発酵キリン株式会社	適応外薬	企業見解を確認中
33	-65	レボホリナートカルシウム	胃癌	レボホリナート・フルオロウラシル持続静注併用療法レボホリナートとして1回200mg/m ² (体表面積)を2時間かけて点滴静注する。レボホリナートの点滴静注終了直後にフルオロウラシルとして400mg/m ² (体表面積)を静注、さらにフルオロウラシルとして2400~3000mg/m ² (体表面積)を46時間持続静注する。これを2週間ごとに繰り返す。	日本胃癌学会	ファイザー株式会社	適応外薬	企業見解を確認中
34	-69	サリドマイド	未治療多発性骨髄腫	通常成人にはサリドマイドとして1日1回100 mgを就寝前に経口投与する。1サイクルは4週間とし、このサイクルを繰り返す。なお、患者の状態により適宜増減するが、1日400 mgを超えないこと。	日本骨髄腫学会	藤本製薬株式会社	適応外薬	企業見解を確認中
35	-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	企業見解を確認中
36	S-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	Roche / Ranbaxy / Mylan Pharmaceuticals / Teva Pharmaceuticals / Douglas Pharmaceuticals / Dr. Reddy's Laboratories / Cipla	迅速実用化	企業見解を確認中
37	-76	バンデタニブ	RET融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	通常、成人にはバンデタニブとして1回300mgを1日1回、経口投与する。なお、患者の状態により適宜減量する。	後藤功一 国立がん研究センター東病院呼吸器内科 呼吸器内科長	サノフィ株式会社	適応外薬	企業見解を確認中
38	-83	アレムツズマブ	再発又は難治性の慢性リンパ性白血病, T細胞性前リンパ球性白血病	通常、成人にはアレムツズマブ(遺伝子組換え)として1日1回3mgの連日点滴静注から開始し、1日1回10mgを連日点滴静注した後、1日1回30mgを週3回隔日に点滴静注する。ただし、投与開始から12週間までの投与とする。なお、患者の状態により適宜減量する	日本リンパ網内系学会	サノフィ株式会社	適応外薬	企業見解を確認中
39	-92	オキサリプラチン	再発・難治性非ホジキンリンパ腫	B法: 他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはオキサリプラチンとして130 mg/m ² (体表面積)を1日1回静脈内に2時間で点滴投与し、少なくとも20日間休薬する。これを1サイクルとして投与を繰り返す。 C法: 他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはオキサリプラチンとして100 mg/m ² (体表面積)を1日1回静脈内に2時間で点滴投与し、少なくとも13日間休薬する。これを1サイクルとして投与を繰り返す。	日本リンパ網内系学会	ヤクルト本社	適応外薬	企業見解待ち

未承認薬	3
適応外薬	32
迅速実用化	4
合計	39

新たに開発中であることが分かった要望

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	備考
< 抗菌・抗炎症WG >								
1	S-6	サルグラモスチム (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	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。	日本呼吸器学会	ジェンザイム・ジャパン株式会社	迅速実用化	
< 代謝・その他WG >								
2	-78	モノエタノールア ミノレイン酸塩	切除困難な静脈奇形の硬化退縮および疼痛、運動障害などの症状の改善	1バイアル(10g:10%)あたり血管造影用X線造影剤(10ml)を加えて5%モノエタノールアミノレイン酸塩として0.4ml/kgを極量として病変内に注入する。	日本形成外科学会	富士化学工業株式会社	適応外薬	取下げ
3	-79	モノエタノールア ミノレイン酸塩	切除困難な静脈奇形の硬化退縮および疼痛、運動障害などの症状の改善	1バイアル(10ml:10%)あたり血管造影用X線造影剤(10ml)を加えて5%モノエタノールアミノレイン酸塩として0.4ml/kgを極量として病変内に注入する。	日本形成外科学会	富士化学工業株式会社	適応外薬	取下げ
< 抗がんWG >								
4	S-12	ロペグインター フェロン -2b(英 文名: Ropeginterferon Alfa-2B)	本態性血小板血症	2週間に1回皮下投与する。用量は、1回あたり100µgから開始し、患者の忍容性と血液学的効果を十分確認しながら投与ごとに50µgずつ段階的に維持療法の用量まで増量する。1回あたりの最大用量は500µgとする。なお、リスク、ベネフィット、患者の状態などにより適宜増減する。(この記載内容は、開発企業であるPharmaEssentiaCorp.から得たSmPC案に	社団法人 日本血液 学会骨髄増殖性腫 瘍患者・家族会 (MPN-JAPAN)	PharmaEssentiaCorpo ration(台湾)AOP OrphanPharmaceutica ls AG(欧州, Austria) ファーマエッセンシア ジャパン株式会社(日 本, 東京)	迅速実用化	治験届提出済み

未承認薬	0
適応外薬	2
迅速実用化	2
合計	4

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	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<代謝・その他WG>								
1	-44	ソマトロピン(遺伝子組換え)	ブラダーウィリー症候群における体組成改善	患者団体(ブ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	公知申請を希望する。	治験相談実施予定	適応外薬
2	-45	ソマトロピン(遺伝子組換え)	ブラダーウィリー症候群における体組成改善	患者団体(ブ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	公知申請を希望する。	治験相談実施予定	適応外薬
3	-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	日本造血細胞移植学会	中外製薬株式会社	公知申請を希望する。		適応外薬
4	-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	日本造血細胞移植学会	中外製薬株式会社	公知申請を希望する。		適応外薬
<精神・神経WG>								
5	-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。	日本眼科学会	協和発酵キリン株式会社	公知申請を希望する。	企業見解確認中	適応外薬
6	S-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
<抗がんWG>								
9	-25	カペシタビン	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。	使用実態調査結果を確認中	適応外薬
10	-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。	使用実態調査結果を確認中	適応外薬
11	-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。	使用実態調査中	適応外薬
12	-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。	使用実態調査中	適応外薬
13	-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。	使用実態調査中	適応外薬
14	-67	ドセタキセル水和物	悪性軟部腫瘍	日本整形外科学会 日本臨床腫瘍学会 日本産科婦人科学会	サノフィ株式会社		企業見解確認中	適応外薬
15	-68	ゲムシタピン塩酸塩	悪性軟部腫瘍	日本整形外科学会 日本臨床腫瘍学会 日本産科婦人科学会	日本イーライリリー株式会社		企業見解確認中	適応外薬
16	-71	トレチノイン	急性前骨髄球性白血病	日本血液学会	富工業薬工業株式会社			適応外薬

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	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
< 生物WG >								
17	-59	フィブリノゲン (乾燥人フィブリノゲン)	産科危機的出血、心臓血管外科手術に伴う後天性低フィブリノゲン血症による出血傾向の改善	日本産科婦人科学会	一般社団法人 日本血液製剤機構			適応外薬
18	-60	不活化ダニ媒介脳炎ウイルス	ダニ媒介脳炎の予防	日本渡航医学会	ファイザー株式会社	本剤は国内未承認薬であり、公知申請には該当しないが、治験を実施することなく、既存のエビデンスに基づき、承認申請することを希望する。	治験相談実施予定	未承認薬
< 小児WG >								
19	-61	不活化ダニ媒介脳炎ウイルス	ダニ媒介脳炎の予防	日本渡航医学会	ファイザー株式会社	本剤は国内未承認薬であり、公知申請には該当しないが、治験を実施することなく、既存のエビデンスに基づき、承認申請することを希望する。	治験相談実施予定	未承認薬

注) 提出された企業見解より適宜抜粋した。

未承認薬	2
適応外薬	14
迅速実用化	1
合計	17

既に開発に着手しているもの

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	備考	未承認薬 適応外薬 の分類
< 生物WG >								
14	-29	抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリン lymphocyte immune globulin, anti-thymocyte globulin	中等症以上の再生不良性貧血	日本血液学会 日本小児血液・がん学会	ファイザー株式会社	本剤は国内未承認薬であり、公知申請には該当しないが、治験を実施することなく、既存のエビデンスに基づき、承認申請することを希望する。	治験相談実施、 治験届提出済み	未承認薬

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	0
迅速実用化	0
合計	1