

## 第 I ～ III 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

## 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 10（未承認薬 0、適応外薬 10）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	10	19	15	12	19	4	16	95
	適応外薬		32	40	31	40	70	4	33	250
検討済み	必要性高くない	未承認薬	5	6	4	6	5	4	1	31
	適応外薬		13	13	42	34	43	5	5	155
検討対象外	未承認薬		6	2	3	6	12	0	7	36
	適応外薬		63	26	46	29	42	2	26	234
検討中	未承認薬		0	0	0	0	0	0	0	0
	適応外薬		3	0	0	5	1	1	0	10
既に関発中	未承認薬		1	3	2	0	4	0	0	10
	適応外薬		2	1	2	1	4	0	1	11
合計			135	110	145	133	200	20	89	832

※ 「検討対象外」には、第 I 回要望の海外承認等なし、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、循環器 2 件、精神・神経 2 件、生物 1 件、小児 5 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 10 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 10（未承認薬 0、適応外薬 10）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	0	0	0
	適応外薬		0	0	0	0	0	0	0	0
検討済み	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
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
検討中	未承認薬		0	0	0	0	0	0	0	0
	適応外薬		3	0	0	5	1	1	0	10
既に関発中	未承認薬		0	0	0	0	0	0	0	0
	適応外薬		0	0	0	0	0	0	0	0
合計			3	0	0	5	1	1	0	10

### 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345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31回	336	～H26年度	257	38	295
第32回	3	H29.3.27	2*	-2*	0
第33回	0	H27-28年度	38	3	41
第34回	5	H29年度	8	0	8
第35回	1	H30.8.30	1	0	1
合計	345	合計	306	39	345
*開発要請先となり得る企業が確認され、企業公募を終了し、開発要請品に移行したもの。					

各WGの検討状況		合計	
企業に開発要請したもの		305	
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	119	
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	39	83
	適応外薬	44	
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	22	82
	適応外薬	60	
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	14
	適応外薬	13	
開発要請後に要望が取り下げられたもの	未承認薬	5	7
	適応外薬	2	
開発企業を公募したもの		40	
合計		345	

### 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

- 前回会議時点で公知申請の妥当性等を検討中であった14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14（未承認薬1、適応外薬13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		14	
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	0
	適応外薬	0	
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	0	0
	適応外薬	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	14
	適応外薬	13	
開発要請後に要望が取り下げられたもの	未承認薬	0	0
	適応外薬	0	
開発企業を公募したもの		0	
合計		14	

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
<b>&lt;代謝・その他WG&gt;</b>								
1	- 49	バシリキシマブ (抗CD25抗体製 剤:遺伝子組換 え)	・下記のような場合の肝臓移植後の拒絶反 応の予防並びに治療(成人) ・腎機能低下例 ・ステロイド非使用が好ましい例(C型肝炎 陽性例、小児など) ・その他、カルシニューリン阻害薬(CNIを一時的 に中止又は減量しなければならない時	・20mgを移植手術2時間前と移植後4日目の2回投与する ・本薬剤に対する重篤な過敏反応や移植片が生着しなかつ たときには二回目の投与は行わない ・本薬剤に対する重篤な過敏反応や移植片が生着しなかつ たときには二回目の投与は行わない	日本移植学会	ノバルティスファーマ 株式会社	適応外薬	今後の方針を検討中
2	- 17	抗ヒト胸腺細胞 ウサギ免疫グロ ブリン	腎移植の急性拒絶反応の抑制	サイモグロブリン 1.0～1.5 mg/kg/日を3～7日間投与する。	日本移植学会	サノフィ株式会社	適応外薬	要望者が要望の範囲を検 討中
3	- 18	抗ヒト胸腺細胞 ウサギ免疫グロ ブリン	小児腎移植の急性拒絶反応の抑制	サイモグロブリン 1.0～1.5 mg/kg/日を3～7日間投与する。	日本移植学会	サノフィ株式会社	適応外薬	要望者が要望の範囲を検 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
<b>&lt; 抗菌・抗炎症WG &gt;</b>								
4	- -12	メトロニダゾール	成人における既承認効能・効果に対する小児に関する要望 1. 嫌気性菌感染症 < 適応菌種 > 本剤に感性的のペプトストレプトコッカス属、バクテロイデス属、プレボテラ属、ボルフィロモナス属、フソバクテリウム属、クロストリジウム属、ユーバクテリウム属 < 適応症 > 敗血症・深在性皮膚感染症・外傷・熱傷及び手術創等の二次感染・骨髄炎・肺炎、肺膿瘍、膿胸・骨盤内炎症性疾患・腹膜炎、腹腔内膿瘍・胆嚢炎、肝膿瘍・化膿性髄膜炎・脳膿瘍 2. 感染性腸炎 < 適応菌種 > 本剤に感性的のクロストリジウム・ディフィシル < 適応症 > 感染性腸炎(偽膜性大腸炎を含む) 3. アメーバ赤痢	7.5mg/kgを8時間おきに20分以上かけて点滴静注する。最大投与量は成人の最大投与量を超えない。	日本小児感染症学会	ファイザー株式会社	適応外薬	抗菌・抗炎症WG(小児WG) 今後の方針を検討中
5	- -13	メトロニダゾール	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 下線部分が要望内容	小児(12歳以上)にはメトロニダゾールとして1回250mg、アモキシシリンとし1回25mg/kg(力価)及びプロトンポンプ抑制剤の3剤を同時に1日2回、7日間経口投与する 下線部分が要望内容	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	塩野義製薬株式会社	適応外薬	今後の方針を検討中
6	- -14	ラベプラゾールナトリウム	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 下線部分が要望内容	ラベプラゾール(RPZ)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。30kg未満はRPZ5mg、30kg以上はRPZ10mgで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。 下線部分が要望内容	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	エーザイ株式会社	適応外薬	今後の方針を検討中
7	- -15	オメプラゾール	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 下線部分が要望内容	オメプラゾール(OMP)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。15-30kg 未満はOMP10mg、30-40kg 未満はOMP20mg、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。 下線部分が要望内容	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	アストラゼネカ株式会社	適応外薬	今後の方針を検討中
8	- -16	ランソプラゾール	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 下線部分が要望内容	ランソプラゾール(LPZ)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。15-30kg 未満はLPZ15mg、30-40kg 未満はLPZ30mg、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。 下線部分が要望内容	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	武田薬品工業株式会社	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
<b>&lt; 抗がんWG &gt;</b>								
9	- -73	リツキシマブ(遺伝子組換え)	小児のCD20陽性のB細胞性非ホジキンリンパ腫(パーキットリンパ腫、前駆Bリンパ球性リンパ腫を含む)	通常成人には、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375mg/m <sup>2</sup> 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。 (下線部を削除)	日本小児血液・がん学会	全薬工業株式会社	適応外薬	使用実態調査中 抗がんWG(小児WG)
<b>&lt; 生物WG &gt;</b>								
10	- -29.1	乾燥人フィブリノゲン	大量出血に伴う後天性低フィブリノゲン血症の出血傾向の改善	注射用水に溶解し、静脈内に注入する。通常1回3gを用いる。なお、年齢・症状により適宜増減する。	日本麻酔科学会	一般社団法人 日本血液製剤機構	適応外薬	要望者と要望内容の範囲について検討中。
	日本外傷学会							
	日本血栓止血学会							

未承認薬	0
適応外薬	10
合計	10

## 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) <sup>注</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<b>&lt;代謝・その他WG&gt;</b>								
1	Ⅲ-①-78	リツキシマブ(遺伝子組換え)	既存治療で効果不十分なループス腎炎	一般社団法人日本 リウマチ学会	全薬工業株式会社	公知申請を希望する。	使用実態調査中	適応外薬
<b>&lt;精神・神経WG&gt;</b>								
2	I	3,4-ジアミノピリジン	Lambert-Eaton筋無力症候群	個人	BioMarin Pharmaceutical Inc.	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。	治験相談実施予定	未承認薬
3	Ⅲ-③-23	メピバカイン塩酸塩	歯科領域における浸潤麻酔および伝達麻酔 ※下線部分が要望内容	一般社団法人 日 本歯科麻酔学会	日本歯科薬品株式 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
<b>&lt;抗菌・抗炎症WG&gt;</b>								
4	Ⅱ-72	クリンダマイシンリン酸エステル 及びクリンダマイシン塩酸塩	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラ ズマ症の治療および再発予防	日本感染症学会	ファイザー株式会社	公知申請を希望する。	公募品目スルファジアジン(Ⅱ-111)を含む 併用療法で用いられる 各薬剤の用法・用量等について検討中 対面助言実施	適応外薬
5	Ⅱ-223	ホリナートカルシウム	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラ ズマ症の治療および再発予防	日本感染症学会	ファイザー株式会社	公知申請を希望する。	公募品目スルファジアジン(Ⅱ-111)を含む 併用療法で用いられる 各薬剤の用法・用量等について検討中 対面助言実施	適応外薬
<b>&lt;抗がんWG&gt;</b>								
6	Ⅲ-①-60	ブスルファン	1. 同種造血幹細胞移植の前治療(小児) 2. ユーイング肉腫ファミリー腫瘍、神経芽 細胞腫における自家造血幹細胞移植の 前治療(小児)	日本小児血液・が ん学会	大塚製薬株式会社	国内における使用実態等について情報収 集を行った上で、開発計画を検討する。	使用実態調査結果を確認中	適応外薬
7	Ⅲ-②-2	三酸化ヒ素	初発を含む急性前骨髄球性白血病	日本血液学会	日本新薬株式会社	公知申請を希望する。		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) <sup>注</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
8	Ⅲ-③-19	フルダラビンリン酸エステル	再発・難治性小児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	日本小児血液・がん学会	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
9	Ⅲ-④-20	ベバシズマブ	卵巣癌(変更なし)	日本婦人科腫瘍学会、日本産科婦人科学会	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
<b>&lt;小児WG&gt;</b>								
10	Ⅱ-17	アドレナリン	0.01%注射液の剤形追加 心停止の補助治療、各種疾患もしくは状態に伴う急性低血圧またはショック時の補助治療	小児救急医学会	第一三共株式会社		プレフィルドシリンジの要望について、要望者と対応協議中 学会のレジストリ結果公表待ち 小児WG(循環器WG)	適応外薬
11	Ⅱ-45	エタンブトール塩酸塩	肺結核およびその他の結核症の小児用法・用量の追加	日本小児呼吸器疾患学会	サンド株式会社 科研製薬株式会社	公知申請を希望する。	リファンピシンの併用剤 申請準備中 小児WG(抗菌・抗炎症WG)	適応外薬
12	Ⅱ-272.1	リファンピシン	肺結核およびその他の結核症の小児用法・用量の追加	日本小児呼吸器疾患学会	第一三共株式会社 サンド株式会社	公知申請を希望する。	リファンピシンの小児製剤(DS製剤)を導入予定 申請準備中 小児WG(抗菌・抗炎症WG)	適応外薬
	日本感染症学会							
13	Ⅲ-①-42	ニトロプルシドナトリウム水和物	うっ血性心不全の治療	日本小児循環器学会、日本小児麻酔学会	丸石製薬株式会社	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
14	Ⅲ-①-43	ニトロプルシドナトリウム水和物	高血圧性緊急症の治療	日本小児循環器学会、日本小児麻酔学会	丸石製薬株式会社	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

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	13
合計	14