

第42回 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
議事次第

令和2年9月16日(水)
オンライン会議
(フクラシア東京ステーション)

議 事

1. 第Ⅰ～Ⅲ回要望に係る専門作業班（WG）の検討状況等について
2. 第Ⅳ回要望に係る専門作業班（WG）の検討状況等について
3. 要望品目の医療上の必要性について
4. 企業から提出された開発工程表等について
5. その他

配付資料一覧

検討会議の概要

資料 1 検討会議における検討の進め方

専門作業班（WG）の検討状況の概要等

資料 2-1 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

資料 2-2 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

資料 2-3 第 IV 回要望一覧

医療上の必要性に関する専門作業班（WG）の評価

資料 3-1 循環器WG

資料 3-2 抗菌・抗炎症WG

資料 3-3 抗がんWG

資料 3-4 小児WG

開発要請・開発企業の募集を行った品目の進捗状況

資料 4-1 企業から提出された開発工程表について

資料 4-2 企業から提出された開発工程表の概要等（第 I 回要望）

資料 4-3 企業から提出された開発工程表の概要等（第 II 回要望）

資料 4-4 企業から提出された開発工程表の概要等（第 III 回要望）

資料 4-5 企業から提出された開発工程表の概要等（第 IV 回要望）

○ 資料 5 開発企業の募集を行った医薬品のリスト

特定用途医薬品について

資料 6-1 特定用途医薬品について

資料 6-2 特定用途医薬品の検討会議における進め方

資料 6-3 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」開催要綱（改訂案）

資料 6-4 特定用途医薬品への該当性の基準について（案）

参考資料 1 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」開催要綱

参考資料 2 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」構成員

参考資料 3-1 専門作業班（WG）の設置について

参考資料 3-2 専門作業班（WG）メンバー

参考資料 4-1 医療上の必要性の評価の基準について

参考資料 4-2 開発要請先企業の指定の考え方について

参考資料 5 人道的見地から実施される治験の制度該当性基準について

参考資料 6 執行部に所属している学会について

注) ○を付した資料は開発要請・開発企業の募集を行った品目に関する資料

検討会議における検討の進め方

医療上必要な医薬品や適応(未承認薬等)を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。未承認薬・適応外薬に係る要望を公募。募集期間は第Ⅰ回は2009年6月18日から8月17日まで、第Ⅱ回は2011年8月2日から9月30日まで、第Ⅲ回は随時募集で、第一期を2013年8月1日から12月27日まで、第二期を2014年6月30日まで、第三期を2014年12月31日まで、第四期を2015年6月30日までとしてとりまとめた。現在は第Ⅳ回として、随時募集で要望を募集中(2015年7月1日から2020年7月31日までをとりまとめた)。

○未承認薬

欧米等6ヶ国(米、英、独、仏、加、豪)のいずれかの国で承認されていること。

○適応外薬

欧米等6ヶ国(米、英、独、仏、加、豪)のいずれかの国で承認(一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む)されていること。

○未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

欧米等6ヶ国(米、英、独、仏、加、豪)のいずれの国でも未承認薬であるが、一定の要件を満たしていること。

次の(1)及び(2)の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

(1)適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合

- ア 生命の重大な影響がある疾患(致命的な疾患)
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

(2)医療上の有用性が次のいずれかの場合

<未承認薬、適応外薬>

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

<未承認薬迅速実用化スキーム対象品目>

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 国内外の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている

【学会、患者団体等】 未承認薬・適応外薬に係る要望

- 重複をまとめると
- ・第Ⅰ回要望は374件
 - ・第Ⅱ回要望は290件
 - ・第Ⅲ回要望は168件
 - ・第Ⅳ回要望は118件

【関連学会、製薬企業】 要望に係る見解の提出

医療上の必要性を評価

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬
検討会議

WG(分野ごと設置)

3 / 144

2020年7月末まで

企業に開発要請
第Ⅰ回要望は165件
第Ⅱ回要望は88件
第Ⅲ回要望は51件
第Ⅳ回要望は29件

開発企業を募集
第Ⅰ回要望は20件
第Ⅱ回要望は15件
第Ⅲ回要望は5件
第Ⅳ回要望は10件

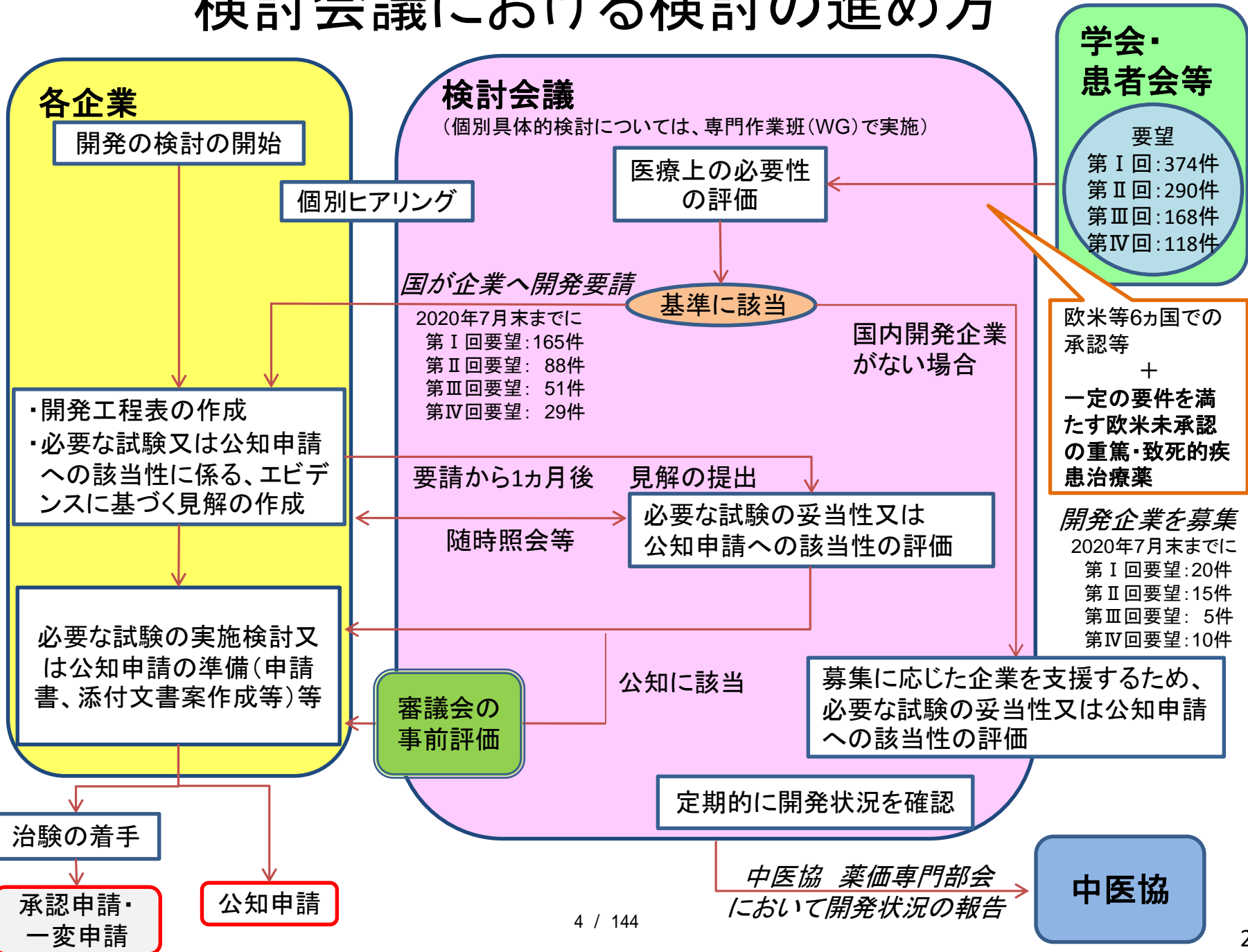
【製薬企業】

承認申請に向けた開発の実施

【開発支援】

- ・希少疾病用医薬品指定等により開発支援
- ・公知申請への該当性の妥当性を確認
- ・承認申請のために実施が必要な試験の妥当性を確認

検討会議における検討の進め方



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 41 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 8 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 9 月 16 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41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8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9月16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
<代謝・その他WG>								
1	Ⅲ-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	Ⅲ-④-17	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	Ⅲ-④-18	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
<抗菌・抗炎症WG>								
4	Ⅲ-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、ポルフィロモナス属、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	Ⅲ-④-13	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インヒビターの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	Ⅲ-④-14	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。 <u>30kg未満はRPZ5mg、30kg以上はRPZ10mgで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

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
7	Ⅲ-④-15	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	Ⅲ-④-16	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
<抗がんWG>								
9	Ⅲ-①-73	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(ノードリンパ腫、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 ² 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)
<生物WG>								
10	Ⅲ-①-29.1	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) ^注	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<代謝・その他WG>								
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
<精神・神経WG>								
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。	治験相談実施済み	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
<抗菌・抗炎症WG>								
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
<抗がんWG>								
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) ^注	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。	使用実態調査結果を確認中	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
<小児WG>								
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

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 4 月 30 日までの要望分）

1. 第 41 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 39（未承認薬 3、適応外薬 32、迅速実用化 4）品目であった。それに第Ⅳ回要望（令和 2 年 2 月 1 日～令和 2 年 4 月 30 日）の 3 品目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	7	1	2	2	9	1	2	24
		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	2	0	0	1	0	0	4	
	適応外薬	1	7	2	13	11	0	0	34	
	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	2	0	0	3	
合計		15	14	11	25	29	4	6	104	

※「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 42 品目について、令和 2 年 8 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 9 月 16 日現在、検討中課題（残課題）数は 32（未承認 3、適応外薬 26、迅速実用化 3）品目である。
- 現在検討中である 32 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 9 月 16 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	1	0	0	0	0	0	1
		適応外薬	0	4	0	1	3	0	0	8
		迅速実用化	0	0	0	0	1	0	0	1
	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	1	3	2	12	8	0	0	26	
	迅速実用化	1	0	2	0	0	0	0	3	
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		3	9	4	13	13	0	0	42	

3. 第41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39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35回	20	H28年度	1	2	3
第36回	1	H29年度	9	0	9
第37回	2	H30年度	7	4	11
第38回	3	R1.6.28	3	0	3
第39回	6	R1.9.19	6	0	6
第40回	4	R2.3.30	2	2	4
第41回	3				
合計	39	合計	28	8	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3品目であり、これまでに検討中であった17品目と合わせて検討中課題は20品目となった。令和2年8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9月16日現在、検討中課題（残課題）数は18（未承認薬2、適応外薬15品目、迅速実用化1）である。
- 現在検討中である18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9月16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	31
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）	5
	3
	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
	2
	17
	1
開発企業を公募したもの	8
合計	39

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）	0
	0
	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	18
	2
	15
	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	IV-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	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
3	IV-94	シクロホスファミド水和物	同種造血細胞移植 (HLA半合致移植) 時の移植片対宿主病の抑制	シクロホスファミド(無水物換算)として、1日1回50mg/kgを2~3時間かけて点滴静注し、移植後3日目、4日目、または移植後3日目、5日目の2日間投与する。	日本造血細胞移植学会	塩野義製薬株式会社	適応外薬	要望書を確認中
<循環器WG>								
4	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	
5	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1kgあたり1日1g(Omegavenとして10mL)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	
6	IV-82	インドシアニングリーン	胆管の描出(赤外線照射時の蛍光測定による)	2.5~5.0mg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	企業見解確認中

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
7	IV-95	ダルテパリン	1.血液体外循環時の灌流血液の凝固防止(血液透析) 2.汎発性血管内血液凝固症(DIC) 3.担がん患者に発症した静脈血栓塞栓症	<p>1.血液体外循環時の灌流血液の凝固防止(血液透析) 本剤を直接又は生理食塩液により希釈して投与する。</p> <p>出血性病変又は出血傾向を有しない患者の場合 通常、成人には体外循環開始時、ダルテパリンナトリウムとして15~20国際単位/kgを回路内に単回投与し、体外循環開始後は毎時7.5~10国際単位/kgを抗凝固薬注入ラインより持続注入する。</p> <p>出血性病変又は出血傾向を有する患者の場合 通常、成人には体外循環開始時、ダルテパリンナトリウムとして10~15国際単位/kgを回路内に単回投与し、体外循環開始後は毎時7.5国際単位/kgを抗凝固薬注入ラインより持続注入する。</p> <p>2.汎発性血管内血液凝固症(DIC) 通常、成人にはダルテパリンナトリウムとして1日量75国際単位/kgを24時間かけて静脈内に持続投与する。なお、症状に応じ適宜増減する。</p> <p>3. 担がん患者に発症した静脈血栓塞栓症 ①発症後30日間：200 IU/kg 1日1回皮下注。なお、一日投与総量として18,000IUを超えないこと。 ②発症後2-6か月：150 IU/kg 1日1回皮下注。なお、一日投与総量として18,000IUを超えないこと。</p> <p>プレフィルドシリンジを使用する場合、下記の表に従った一日用量で投与を行うこと。</p> <p>静脈血栓塞栓症発症後1か月間： 体重(kg)：1日1回の用量(国際単位) 56以下：10,000 IU 57-68：12,500 IU 69-82：15,000 IU 83以上：18,000 IU</p> <p>静脈血栓塞栓症発症後2-6か月間： 体重(kg)：1日1回の用量(国際単位) 56以下：7,500 IU 57-68：10,000 IU 69-82：12,500 IU 83-98：15,000 IU 99以上：18,000 IU</p> <p>使用上の注意への追記希望 ①本剤は部分トロンボプラスチン時間(aPTT)検査のモニタリングは不要であり、十分な説明の上長期在宅自己投与が可能である。 ②腎機能低下症例の注意点：重度の腎機能障害患者(Cockcroft-Gault式によるクレアチニンクリアランス<30 mL/分)では、抗Xa値をモニタリングして、適切なフラグミン用量を決定すること。 ③減量規定：血小板数により下記の対応を行う。 50000-100000/mm³：至適用量から2500IU/日あるいは1規格を減量し投薬する。</p>	日本腫瘍循環器学会	ファイザー株式会社	適応外薬	要望書確認中

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
<精神・神経WG>								
8	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	ビズサイン静注用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	要望書を確認中
9	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
10	IVS-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ルズ インコーポレイテッド)	迅速実用化	要望書を確認中
11	IVS-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 の分類	検討状況等
< 抗菌・抗炎症WG >								
12	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	今後の方針を検討中
13	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	今後の方針を検討中
14	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
15	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	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	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	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。 <table border="1"> <tr> <td></td> <td>15-30kg未満</td> <td>30-40kg未満</td> </tr> <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> </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																					
17	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	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															
18	IV-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															
19	IV-70	エムトリシタピン テノホビルジソプロキシルフマル酸塩	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															
20	IV-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 ①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)、②全身性エリテマトーデス(SLE)、③多発性筋炎、皮膚筋炎、④強皮症、⑤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/m ² 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															

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
21	IV-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 ①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)、②全身性エリテマトー デス(SLE)、③多発性筋炎、皮膚筋炎、④ 強皮症、⑤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
22	IV-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
23	IV-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>								
24	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	メトレキサート30mg/m2とビ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
25	IV-21	メトレキサート	難治性デスモイド型線維腫症	メトレキサート30mg/m2とビ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
26	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	適応外薬	企業見解を確認中
27	IV-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
28	IV-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
29	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	企業見解を確認中
30	IV-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
31	IV-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

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	IV-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	企業見解を確認中

未承認薬	3
適応外薬	26
迅速実用化	3
合計	32

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	要望内容	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	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	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	公知申請を希望する。	国内臨床試験(小児、成人で1つの試験)を実施する予定。2020年7月実施の対面助言において、当該国内臨床試験のデザインを合意済み。治験届は2020年9月頃	適応外薬
2	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	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	公知申請を希望する。	同上	適応外薬
3	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	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。	企業見解確認中	適応外薬
4	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	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。	企業見解確認中	適応外薬
5	IV-57	グラニセトロン塩酸塩	術後の悪心・嘔吐	日本麻酔科学会	太陽ファルマ株式会社	公知申請を希望する。	企業見解確認中	適応外薬
<精神・神経WG>								
6	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。	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。		適応外薬
7	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
<抗がんWG>								
8	IV-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
9	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。	使用実態調査結果を確認中	適応外薬
10	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。	使用実態調査結果を確認中	適応外薬
11	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テム(遺伝子組換え)フィルグラステム(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。	使用実態調査結果を確認中	適応外薬
12	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テム(遺伝子組換え)フィルグラステム(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。	使用実態調査結果を確認中	適応外薬
13	IV-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

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
14	IV-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
15	IV-71	トレチノイン	急性前骨髄球性白血病	日本血液学会	富士製薬工業株式会社		企業見解確認中	適応外薬
<生物WG>								
16	IV-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	公知申請を希望する	企業見解確認中	適応外薬
17	IV-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。	治験相談実施済。 治験届は、2020年9月頃提出予定。	未承認薬
<小児WG>								
18	IV-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。	治験相談実施済。 治験届は、2020年9月頃提出予定。	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	15
迅速実用化	1
合計	18

第IV回要望の未承認薬・適応外薬の開発要望について(令和2年5月1日～令和2年7月31日)

資料 2-3

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-96	リドカイン(ゲル10%)	帯状疱疹後神経痛に伴う疼痛の緩和	1日2-3回皮膚病変のない疼痛箇所に適量を塗布する。	日本ペインクリニック学会		適応外薬	
2	IV-97	カルボプラチン	頭頸部癌, 肺小細胞癌, 睾丸腫瘍, 卵巣癌, 子宮頸癌, 悪性リンパ腫, 非小細胞肺癌, 乳癌, 子宮体癌 以下の悪性腫瘍に対する他の抗悪性腫瘍剤との併用法 小児悪性固形腫瘍(神経芽腫・網膜芽腫・肝芽腫・中枢神経系胚細胞腫瘍, 再発又は難治性のユーイング肉腫ファミリー腫瘍・腎芽腫)	1. 頭頸部癌, 肺小細胞癌, 睾丸腫瘍, 卵巣癌, 子宮頸癌, 悪性リンパ腫, 非小細胞肺癌, 子宮体癌の場合 通常, 成人にはカルボプラチンとして, 1日1回300~400mg/m ² (体表面積)を投与し, 少なくとも4週間休薬する。これを1クールとし, 投与を繰り返す。なお, 投与量は, 年齢, 疾患, 症状により適宜増減する。(以下略)	公益社団法人 日本臨床腫瘍学会	ブリistol・マイヤーズスクイブ株式会社	適応外薬	
3	IV-98	ドロスピレノン・エチニルエストラジオール ベータデクス(24錠の実薬と4錠のプラセボ錠からなる)	月経困難症、月経前不快気分障害(PMDD)	1日1錠を毎日一定の時刻に定められた順に従って(淡赤色錠から開始する)28日間連続経口投与する。以上28日間を投与1周期とし、出血が終わっているか続いているかにかかわらず、29日目から次の周期の錠剤を投与し、以後同様に繰り返す。	公益社団法人 日本産科婦人科学会 公益社団法人 日本産婦人科医会 一般社団法人 日本女性医学学会	バイエル薬品	適応外薬	
4	IVS-20	スニチニブリンゴ酸	イマチニブ抵抗性の消化管間質腫瘍、根治切除不能又は転移性の腎細胞癌、腫神経内分泌腫瘍、切除不能な進行・再発の胸腺がん	1日1回50mgを4週間連日経口投与し、その後2週間休薬する。これを1コースとして投与を繰り返す。	公益社団法人日本臨床腫瘍学会	ファイザー株式会社	迅速実用化	

未承認薬	0
適応外薬	3
迅速実用化	1
合計	4

「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

＜循環器 WG＞

目 次

＜循環器分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における未承認薬

Angiotensin II（要望番号；IV-93）……………	1
---------------------------------	---

要望番号	IV-93	要望者名	日本集中治療医学会
要望された医薬品	一般名	Angiotensin II	
	会社名	La Jolla Pharmaceutical (国内開発法人未定)	
要望内容	効能・効果	敗血症性ショックや他の血管拡張性ショック患者に対する、血管収縮作用を介した血圧上昇効果	
	用法・用量	生理食塩水で希釈し調整。20 ng/kg/min の投与速度で静脈内持続投与開始。必要なら 5 分ごとに 15 ng/kg/min 刻みで投与速度を増加させる。投与開始 3 時間以内の投与速度上限は 80 ng/kg/min。維持投与速度上限は 40 ng/kg/min。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>敗血症性ショック等の血管拡張性ショックは死亡率の高い重篤な疾患であることから、「ア 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>本剤は米国、英国、独国及び仏国で承認されており、これらの国での承認の根拠となった海外臨床試験では、ノルアドレナリン等の既存の昇圧薬で効果不十分な血管拡張性ショックの患者における本剤の昇圧効果が示されている。現在、本邦においては、血管拡張性ショック時の昇圧にはノルアドレナリン等の既存の昇圧薬が標準的に用いられているが、これらの薬剤で効果不十分な場合の昇圧薬はない。以上より、「ア 既存の療法が国内にない」に該当すると判断した。</p>		
備考	欧米での承認の根拠となった臨床試験の投与対象は、既存の昇圧薬で効果不十分な患者であることから、血管拡張性ショックのうち、既存の昇圧薬による治療で効果不十分な場合での使用に関して、医療上の必要性が高いと考える。		

「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
＜抗菌・抗炎症 WG＞

目 次

＜抗炎症分野＞

【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

リツキシマブ（遺伝子組換え）（要望番号；IV-2）…… 1

要望番号	IV-2	要望者名	一般社団法人日本リウマチ学会
要望された医薬品	一般名	リツキシマブ（遺伝子組換え）	
	会社名	全薬工業株式会社	
要望内容	効能・効果	既存治療で効果不十分な関節リウマチ	
	用法・用量	合成抗リウマチ薬（メトトレキサートなど）との併用、または単独で1回当たり1,000 mg/bodyを2週間間隔で計2回（day 1, 15）点滴静注する。各リツキシマブの投与前に、解熱鎮痛剤、抗ヒスタミン剤、及び静注メチルプレドニゾン 100 mg によるプレメディケーションを行う。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> イ</p> <p>[特記事項]</p> <p>炎症を放置すると痛みが増すだけでなく、関節破壊が生じ、関節機能が損なわれる。さらに発熱、肺、血管、眼などの全身症状が起こることもあり、日常生活に著しい影響をもたらす。また、早期から適切な治療を行わず、関節破壊が進行した例では、その機能の回復は難しいため、「イ 病気の進行が不可逆で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>本薬は、米、英、独、仏、加及び豪国において、抗TNF製剤による治療で効果不十分な関節リウマチに対して承認されている。また、欧米等の診療ガイドラインの記載内容等から、標準的療法に位置付けられており、特定の状況（悪性リンパ腫を含む悪性腫瘍、神経脱髄疾患の既往歴等）の患者に対しては第一選択として推奨されている。国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられることから、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>今回の要望と同じ要望（要望II-261）が、第16回 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議に提出されたが、要望に対する本剤の医療上の有用性が高いと判断できる十分な根拠がなかったことから、医療上の必要性の基準に該当しないと判断されている。今般、海外ガイドラインにおける本剤の位置付けが更新された（悪性リンパ腫を含む悪性腫瘍、神経脱髄疾患の既往歴等のあるリウマ</p>		

	<p>チ患者に対して第一選択として推奨される薬剤) こと等を踏まえ、医療上の有用性は期待できると判断する。ただし、要望されている 効能・効果を踏まえると、本剤の日本人関節リウマチ患者における有効性、安全性を確認するための臨床試験の実施が必要と考える。 具体的な試験計画等については、今後、独立行政法人医薬品医療機器総合機構が行う対面助言において議論が必要と考える。</p>
--	--

「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

＜抗がん WG＞

目 次

＜抗がん剤分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における未承認薬

イソトレチノイン（要望番号；IVS-18）…………… 1

本邦における適応外薬

オキサリプラチン（要望番号；IV-63）…………… 3

フルオロウラシル（要望番号；IV-64）…………… 4

レボホリナートカルシウム（要望番号；IV-65）…………… 5

要望番号	IVS-18	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	イソトレチノイン (isotretinoin, 13-cis-retinoic acid)	
	会社名	Roche、Ranbaxy、Mylan Pharmaceuticals、Teva Pharmaceuticals、Douglas Pharmaceuticals、Dr. Reddy's Laboratories、Cipla、Mega Lifesciences	
要望内容	効能・効果	高リスク神経芽腫の維持療法	
	用法・用量	160 mg/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。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>高リスク神経芽腫は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>募集対象の分類のうち「優れた試験成績に係る論文が権威のある学術雑誌等で公表されているもの。」に該当する試験として、化学療法又は自家骨髄移植後の高リスク神経芽腫患者を対象に、イソトレチノイン投与の維持療法としての有効性等を検討することを目的とした海外第Ⅲ相試験 (N Eng J Med, 1999; 341: 1165-73) が提出された。当該試験の結果、イソトレチノイン投与群において、イソトレチノイン非投与群と比較して、主要評価項目とされた3年無イベント生存率の改善が認められた (イソトレチノイン投与群 46%、イソトレチノイン非投与群 29%、p=0.027)。</p> <p>高リスク神経芽腫患者では、再発後に有効な治療法がないため、再発までの期間を延長することが重要であると考えられており、欧米等6カ国では高リスク神経芽腫の適応としては承認されていない^{注)}ものの、当該試験結果等が報告されて以降、海外ガイドライン等において、イソトレチノインを含む維持療法が標準的な治療として記載されている。また、高リスク神経芽腫の維持療法に対して承認を有する薬剤は国内になく、国内診療ガイドライン等ではイソトレチノインを含む維持療法以外の治療選択肢が記載さ</p>		

	<p>れていない。したがって、「ア」に該当すると判断した。</p> <p>注) 米国では、「重症難治性結節性ざ瘡」を適応として、英・独・仏国では、「抗生物質や局所治療に難治性の重症ざ瘡（結節性、集簇性、瘢痕化のリスクのある場合）」を適応として承認されている。</p>
備 考	

要望番号	IV-63	要望者名	日本胃癌学会
要望された医薬品	一般名	オキサリプラチン	
	会社名	株式会社ヤクルト本社	
要望内容	効能・効果	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	
	用法・用量	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 85 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。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>治癒切除不能な進行・再発の胃癌は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等 6 カ国では承認されていないものの、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、海外臨床試験成績等から、フルオロウラシル、レボホリナートカルシウム及びオキサリプラチンの併用投与は、治癒切除不能な進行・再発の胃癌患者に対して欧米等において標準的治療に位置付けられていると考えられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、治癒切除不能な進行・再発の胃癌に対するフルオロウラシル、レボホリナートカルシウム及びオキサリプラチンの併用投与であることから、要望番号 IV-64 及び IV-65 について、併せて検討を行った。		

要望番号	IV-64	要望者名	日本胃癌学会
要望された医薬品	一般名	フルオロウラシル	
	会社名	協和発酵キリン株式会社	
要望内容	効能・効果	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	
	用法・用量	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 200 mg/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 400 mg/m ² (体表面積) を静注、さらにフルオロウラシルとして 2,400 mg/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。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項] 治癒切除不能な進行・再発の胃癌は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項] 欧米等6カ国では承認されていないものの、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、海外臨床試験成績等から、フルオロウラシル、レボホリナートカルシウム及びオキサリプラチンの併用投与は、治癒切除不能な進行・再発の胃癌患者に対して欧米等において標準的治療に位置付けられていると考えられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、治癒切除不能な進行・再発の胃癌に対するフルオロウラシル、レボホリナートカルシウム及びオキサリプラチンの併用投与であることから、要望番号IV-63及びIV-65について、併せて検討を行った。		

要望番号	IV-65	要望者名	日本胃癌学会
要望された医薬品	一般名	レボホリナートカルシウム	
	会社名	ファイザー株式会社	
要望内容	効能・効果	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	
	用法・用量	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 200 mg/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 400 mg/m ² (体表面積) を静注、さらにフルオロウラシルとして 2,400 mg/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。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項] 治癒切除不能な進行・再発の胃癌は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項] 欧米等6カ国では承認されていないものの、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、海外臨床試験成績等から、フルオロウラシル、レボホリナートカルシウム及びオキサリプラチンの併用投与は、治癒切除不能な進行・再発の胃癌患者に対して欧米等において標準的治療に位置付けられていると考えられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、治癒切除不能な進行・再発の胃癌に対するフルオロウラシル、レボホリナートカルシウム及びオキサリプラチンの併用投与であることから、要望番号IV-63及びIV-64について、併せて検討を行った。		

「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

<小児 WG>

目 次

<小児分野>

【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

メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム （要望番号；IV-77）	1
エルトロンボパグ オラミン （要望番号；IV-84）	2
ロミプロスチム（遺伝子組換え） （要望番号；IV-85）	3
リツキシマブ（遺伝子組換え） （要望番号；IV-87）	4

要望番号	IV-77	要望者名	日本小児循環器学会、日本川崎病学会
要望された医薬品	一般名	メチルプレドニゾロンコハク酸エステルナトリウム	
	会社名	ファイザー株式会社	
要望内容	効能・効果	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）	
	用法・用量	通常、メチルプレドニゾロンとして 30 mg/kg を 1 日 1 回、1～3 日間点滴静注する。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>川崎病は小児の急性熱性疾患であり、特徴的な合併症である冠動脈瘤が形成されると血管狭窄や血栓形成により狭心症や心筋梗塞を起こす危険性が高く、心筋梗塞が発現した場合には致死的な経過を辿ることもあることから、「ア 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ウ]</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等 6 カ国において本剤は川崎病の急性期の効能・効果では承認されていないが、静注用免疫グロブリン不応例に対する本剤の投与は米国及び英国のガイドラインで、静注用免疫グロブリン不応予測例に対する本剤の投与は英国のガイドラインで、それぞれ推奨されており、本邦のガイドラインにおいても静注用免疫グロブリン不応例及び不応予測例に対する本剤投与が推奨されていることから、「ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる」に該当すると判断した。</p>		
備考	要望用法・用量の投与期間の妥当性は、欧米のガイドラインの記載等を踏まえ、今後、検討する必要があると考える。		

要望番号	IV-84	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	エルトロンボパグ オラミン	
	会社名	ノバルティスファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	慢性特発性血小板減少性紫斑病	
	用法・用量	開始用量として、6歳以上は1日1回25 mg、1～5歳には1日1回12.5 mg。出血の危険性を減らすため、血小板数が50,000/ μ L以上を維持するよう調整する。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>[特記事項]</p> <p>小児における慢性特発性血小板減少性紫斑病（以下、「ITP」）の病態は成人と同様であり、頭蓋内出血等の重篤かつ致死的な出血の発現を抑制するために、血小板数を一定以上に管理する必要があることから、「イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>[特記事項]</p> <p>1歳以上の慢性ITPに対する用法・用量は米国、英国、独国及び仏国で承認されており、米国ガイドラインにおいて1歳以上の慢性ITPの二次治療として本剤の投与が推奨されている。国内ガイドラインでも同様に小児の慢性ITPの二次治療として推奨されており、慢性ITPの治療体系における本剤の位置付けは欧米と同様であると考え。加えて、本邦でも本剤の小児の慢性ITPに対する使用経験が報告されている。以上より、「ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる」に該当すると判断した。</p>		
備考	要望用法・用量の妥当性は、成人の慢性ITPに対する国内外の承認用法・用量を踏まえ、今後、検討する必要があると考える。		

要望番号	IV-85	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	ロミプロスチム（遺伝子組換え）	
	会社名	協和キリン株式会社	
要望内容	効能・効果	慢性特発性血小板減少性紫斑病	
	用法・用量	初回投与量 1 $\mu\text{g}/\text{kg}$ 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 10 $\mu\text{g}/\text{kg}$ とする。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> イ</p> <p>[特記事項]</p> <p>小児における慢性特発性血小板減少性紫斑病（以下、「ITP」）の病態は成人と同様であり、頭蓋内出血等の重篤かつ致死的な出血の発現を抑制するために、血小板数を一定以上に管理する必要があることから、「イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>1 歳以上の慢性 ITP に対する用法・用量は米国、英国、独国、仏国及び豪州で承認されており、米国ガイドラインにおいて 1 歳以上の慢性 ITP の二次治療として本剤投与が推奨されている。国内ガイドラインでも同様に小児の慢性 ITP の二次治療として推奨されており、慢性 ITP の治療体系における本剤の位置付けは欧米と同様であると考え。加えて、本邦でも本剤の小児の慢性 ITP に対する使用経験が報告されている。以上より、「ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	IV-87	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	リツキシマブ（遺伝子組換え）	
	会社名	全薬工業株式会社	
要望内容	効能・効果	小児の慢性特発性血小板減少性紫斑病	
	用法・用量	1回あたり 375 mg/m ² を1週間間隔で4回投与	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> イ</p> <p>[特記事項]</p> <p>小児における慢性特発性血小板減少性紫斑病（以下、「ITP」）の病態は成人と同様であり、頭蓋内出血等の重篤かつ致死的な出血の発現を抑制するために、血小板数を一定以上に管理する必要があることから、「イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>慢性 ITP について欧米等 6 カ国で承認されていないものの、米国及び欧州ガイドラインにおいて小児の慢性 ITP の二次治療として推奨されている。国内ガイドラインでも同様に小児の慢性 ITP の二次治療として推奨されており、慢性 ITP の治療体系における本剤の位置付けは欧米と同様と考える。加えて、本邦でも本剤の小児慢性 ITP に対する使用経験が報告されていることも考慮すると「ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる」に該当すると判断した。</p>		
備考			

企業から提出された開発工程表について

開発工程表の提出状況について

- 企業に対し開発要請を行っている要望（第Ⅰ回要望 183 件*、第Ⅱ回要望 93 件、第Ⅲ回要望 44 件及び第Ⅳ回要望 30 件）について、現在開発を実施しているすべての開発要請先の企業より 2020 年 8 月 20 日現在の状況を踏まえた開発工程表が提出された。
※本検討会議以前のスキームにおいて開発が必要と判断され、第 34 回検討会議において、本検討会議のスキームに則って開発要請を行うこととしたペグアスパラガーゼを含む。
- 提出された開発工程表の現状については資料 4 - 2「企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅰ回要望)」、資料 4 - 3「企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅱ回要望)」、資料 4 - 4「企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅲ回要望)」及び資料 4 - 5「企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅳ回要望)」参照。

開発工程表の評価基準について

- 開発要請を受けた企業が適切な開発計画を立てているか又は開発計画に従って適切に開発を行っているか評価を行う。
- 承認済みの医薬品については、その旨報告を行い、以降の評価を行わない。
- 「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」の条件として、開発要請を受けた品目について「半年以内の公知申請」または「一年以内の治験の着手」を求めていることから、以下の基準に基づいて、各開発計画又は実際の開発の状況について評価を行う。

開発工程表の評価基準等

(1) 第Ⅰ回要望分開発要請品目（開発要請時：2010 年 5 月、2010 年 12 月、2011 年 5 月、2018 年 3 月）

- ①. 開発要請時に既に承認申請済みのもの及び治験計画届提出済みのものについては、企業が開発要請を受けた未承認薬・適応外薬の開発を適切に行ったものと評価する。ただし、治験計画届提出済みのものについては、開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。
- ②. 開発要請から半年以内に WG の結論により公知申請が可能とされたものについては、開発を適切に行ったものと評価する。
- ③. 公知申請予定のもので、使用実態調査が必要とされたもの等、特段の事情がある場合は、その事情、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。なお、公知申請の該当性について WG の結論が出ていないものについては、今回は評価を行わない。
- ④. 開発要請から 1 年以内に治験計画届を提出したものについては、開発を適切に行ったものと評価し、さらに開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。
- ⑤. 公知申請には該当しないが、治験を実施せず、既存データを用いて承認申請をする場合は、④に準じ、開発要請から 1 年以内に承認申請したものについて、開発を適切に行ったものと評価する。
- ⑥. その他については、開発計画ごとの個別の事情や、行政側持ち時間等を考慮して個別

に評価を行う。

(2) 第Ⅱ回要望分開発要請品目（開発要請時：2012年4月、2013年1月、2013年7月、2014年11月、2017年3月）

- ①. 開発要請時に既に承認申請済みのもの及び治験計画届提出済みのものについては、企業が開発要請を受けた未承認薬・適応外薬の開発を適切に行ったものと評価する。ただし、治験計画届提出済みのものについては、開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。
- ②. 開発要請から半年以内にWGの結論により公知申請が可能とされたものについては、開発を適切に行ったものと評価する。
- ③. 公知申請予定のもので、使用実態調査が必要とされたもの等、特段の事情がある場合は、その事情、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。なお、公知申請の該当性についてWGの結論が出ていないものについては、今回は評価を行わない。
- ④. 開発要請から1年以内に治験計画届を提出したもの又は治験計画届提出予定としたものについては、開発を適切に行ったものと評価し、さらに治験計画届提出以降は開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。
- ⑤. 公知申請には該当しないが、治験を実施せず、既存データを用いて承認申請をする場合は、④に準じ、開発要請から1年以内に承認申請したもの又は申請予定としたものについて、開発を適切に行ったものと評価する。
- ⑥. その他については、開発計画ごとの個別の事情や、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。

(3) 第Ⅲ回要望分開発要請品目（開発要請時：2014年8月、2014年11月、2015年5月、2015年8月、2015年11月、2016年2月、2016年6月、2016年8月、2016年11月、2017年3月、2017年8月、2018年3月、2018年8月）

- ①. 開発要請時に既に承認申請済みのもの及び治験計画届提出済みのものについては、企業が開発要請を受けた未承認薬・適応外薬の開発を適切に行ったものと評価する。ただし、治験計画届提出済みのものについては、開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。
- ②. 開発要請から半年以内にWGの結論により公知申請が可能とされたもの及び公知申請予定としたものについては、開発を適切に行ったものと評価する。
- ③. 公知申請予定のもので、使用実態調査が必要とされたもの等、特段の事情がある場合は、その事情、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。なお、公知申請の該当性についてWGの結論が出ていないものについては、今回は評価を行わない。
- ④. 開発要請から1年以内に治験計画届を提出したもの又は治験計画届提出予定としたものについては、開発を適切に行ったものと評価し、さらに治験計画届提出以降は開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。
- ⑤. 公知申請には該当しないが、治験を実施せず、既存データを用いて承認申請をする場合は、④に準じ、開発要請から1年以内に承認申請したもの又は申請予定としたものについて、開発を適切に行ったものと評価する。
- ⑥. その他については、開発計画ごとの個別の事情や、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。

(4) 第Ⅳ回要望分開発要請品目（開発要請時：2016年8月、2017年6月、2017年8月、2018年1月、2018年3月、2018年8月、2018年11月、2019年2月、2019年6月、2019年9月、2020年3月、2020年6月）

- ①. 開発要請時に既に承認申請済みのもの及び治験計画届提出済みのものについては、企業が開発要請を受けた未承認薬・適応外薬の開発を適切に行ったものと評価する。ただし、治験計画届提出済みのものについては、開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。
- ②. 開発要請から半年以内にWGの結論により公知申請が可能とされたものについては、開発を適切に行ったものと評価する。
- ③. 公知申請予定のもので、使用実態調査が必要とされたもの等、特段の事情がある場合は、その事情、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。なお、公知申請の該当性についてWGの結論が出ていないものについては、今回は評価を行わない。
- ④. 開発要請から1年以内に治験計画届を提出したもの又は治験計画届提出予定としたものについては、開発を適切に行ったものと評価し、さらに治験計画届提出以降は開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。
- ⑤. 公知申請には該当しないが、治験を実施せず、既存データを用いて承認申請をする場合は、④に準じ、開発要請から1年以内に承認申請したもの又は申請予定としたものについて、開発を適切に行ったものと評価する。
- ⑥. その他については、開発計画ごとの個別の事情や、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。

資料 4-2

企業から提出された開発工程表の概要等(第 I 回要望)(令和2年8月20日現在)

1. 企業から提出された開発工程表に基づく情報

(単位:件)

	第1回開発要請分 ^{※1} (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分 ^{※2} (2018年3月)	計
承認済み	101	71	5	0	177
承認申請済み	2	1	0	0	3
治験計画届提出済み	1	0	0	1	2
公知申請予定	0	0	0	0	0
治験計画届提出予定	0	0	0	0	0
その他	0	0	0	1	1
合計	104	72	5	2	183

※1 要望番号176(デキサメタゾン)については2010年10月に開発要請

※2 本検討会議以前のスキームにおいて開発が必要と判断され、第34回検討会議において、本検討会議のスキームに則って開発要請を行うこととされたペグアスパラガーゼを含む。

開発要請取り下げ	3	3	0	0	6
----------	---	---	---	---	---

2. 開発工程表の詳細な分類

(単位:件)

a. 承認済みのもの、承認申請済みのもの、治験計画届提出済みのもの

	第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分 (2018年3月)	計
承認済み	101	71	5	0	177
承認申請済み	2	1	0	0	3
治験計画届提出済み	1	0	0	1	2

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分 (2018年3月)	計
0	0	0	0	0

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分 (2018年3月)	計
0	0	0	0	0

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分 (2018年3月)	計
0	0	0	0	0

e. 開発要請後半年以降に公知申請を予定するもの

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分 (2018年3月)	計
0	0	0	0	0

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分 (2018年3月)	計
0	0	0	0	0

g. その他

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分 (2018年3月)	計
0	0	0	1	1

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの

第1回開発要請分 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分 (2018年3月)	計
3	3	0	0	6

3. 各医薬品の開発工程表の概要

a-0. 承認済みのもの（177件）

<第1回開発要請分（101件）>

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
350	セルジーン	レナリドミド	レブラミドカプセル	5番染色体長腕部欠失を伴う骨髄異形成症候群	2010年8月	
27	サノフィ	アミオダロン塩酸塩	アンカロン錠	生命に危険のある下記の再発性不整脈で他の抗不整脈薬が無効か、又は使用できない場合 心不全（低心機能）又は肥大型心筋症に伴う心房細動	2010年9月	
202	大塚製薬	トルバプタン	サムスカ錠	ループ利尿薬等の他の利尿薬で効果不十分な心不全における体液貯留	2010年10月	
269	ファイザー	プレガバリン	リリカカプセル	末梢性神経障害性疼痛	2010年10月	
190	サノフィ	ドセタキセル	タキソテル点滴静注用	頭頸部癌、乳癌、非小細胞肺癌、胃癌、卵巣癌、食道癌、子宮体癌の用法用量の1回最高用量を75mg/m ² へ増大	2010年11月	
15	日本新薬	アザシチジン	ビダーザ注射用	骨髄異形成症候群	2011年1月	
96	ヤンセンファーマ	ガラントミン臭化水素酸塩	レミニール錠	軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制	2011年1月	
319	第一三共	メマンチン塩酸塩	メモリー錠	中等度及び高度アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制	2011年1月	
95	中外製薬	カペシタビン	ゼローダ錠	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	2011年2月	○
122	日本イーライリリー	ゲムシタビン塩酸塩	ジェムザール注射用	がん化学療法後に増悪した卵巣癌	2011年2月	○
137	塩野義製薬	シクロホスファミド経口剤・静注剤	エンドキサン錠、注射用エンドキサン	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、ヴェゲナ肉芽腫症、結節性多発動脈炎、Churg-Strauss症候群、大動脈炎症候群等）	2011年2月	○
138	塩野義製薬	シクロホスファミド経口剤・静注剤	エンドキサン錠、注射用エンドキサン	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性エリテマトーデス	2011年2月	○
140	塩野義製薬	シクロホスファミド静注剤	注射用エンドキサン	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、ヴェゲナ肉芽腫症、結節性多発動脈炎、Churg-Strauss症候群、大動脈炎症候群等）	2011年2月	○
212	日本化薬	ノギテカン塩酸塩	ハイカムチン注射用	がん化学療法後に増悪した卵巣癌	2011年2月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
357	エーザイ	ワルファリンカリウム	ワーファリン錠	小児における維持投与量(mg/kg/日)の目安を以下に示す。 12カ月未満:0.16mg/kg/日 1歳以上15歳未満:0.04~0.10mg/kg/日 (下線部追加)	2011年2月	○
77 a	大塚製薬	レボカルニチン塩化物	エルカルチン錠	カルニチン欠乏症	2011年3月	○
255	日本化薬	ビンブラスチン硫酸塩	エクザール注射用	下記疾患の自覚的並びに他覚的症状の緩解 ランゲルハンス細胞組織球症	2011年3月	○
238	アボットジャパン	パンクレリパーゼ	リパクレオン顆粒、リパクレオンカプセル	膵外分泌機能不全における膵消化酵素の補充	2011年4月	
341	ノバルティス ファーマ	リバスチグミン	イクセロンパッチ	軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制	2011年4月	
2	富士フイルムRIファーマ	3-ヨードベンジルグアニジン(123I)注射液	ミオMIBG-I 123注射液	腫瘍シンチグラフィによる下記疾患の診断 褐色細胞腫	2011年5月	○
16	グラクソ・スミスクライン	アザチオプリン	イムラン錠	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性エリテマトーデス	2011年5月	○
16	田辺三菱製薬	アザチオプリン	アザニン錠	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性エリテマトーデス	2011年5月	○
17	グラクソ・スミスクライン	アザチオプリン	イムラン錠	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、ヴェゲナ肉芽腫症、結節性多発動脈炎、Churg-Strauss症候群、大動脈炎症候群等)	2011年5月	○
17	田辺三菱製薬	アザチオプリン	アザニン錠	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、ヴェゲナ肉芽腫症、結節性多発動脈炎、Churg-Strauss症候群、大動脈炎症候群等)	2011年5月	○
60	科研製薬	エタンプトール塩酸塩	エプトール錠	<適応菌種> 本剤に感性のマイクロバクテリウム属 <適応症> マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス(MAC)症を含む非結核性抗酸菌症	2011年5月	○
60	サンド	エタンプトール塩酸塩	エサンプトール錠	<適応菌種> 本剤に感性のマイクロバクテリウム属 <適応症> マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス(MAC)症を含む非結核性抗酸菌症	2011年5月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
244	田辺三菱製薬	ビソプロロールフマル酸塩	メインテート錠	次の状態で、アンジオテンシン変換酵素阻害薬又はアンジオテンシンII受容体拮抗薬、利尿薬、ジギタリス製剤等の基礎治療を受けている患者 虚血性心疾患又は拡張型心筋症に基づく慢性心不全	2011年5月	○
282	エーザイ	ベラパミル塩酸塩	ワソラン静注、ワソラン錠	頻脈性不整脈(発作性上室性頻拍、心房細動・粗動)の小児用法・用量の追加	2011年5月	○
304	ファイザー	メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム	ソル・メドロール静注用	ネフローゼ症候群	2011年5月	○
342	サンド	リファンピシン	リファンピシンカプセル「サンド」	〈適応菌種〉 本剤に感性的マイコバクテリウム属 〈適応症〉 マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス(MAC)症を含む非結核性抗酸菌症	2011年5月	○
342	第一三共	リファンピシン	リファジンカプセル	〈適応菌種〉 本剤に感性的マイコバクテリウム属 〈適応症〉 マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス(MAC)症を含む非結核性抗酸菌症	2011年5月	○
343	武田薬品工業	リユープロレリン酢酸塩	リユープリン注射用	通常、4週に1回リユープロレリン酢酸塩として30 μ g/kgを皮下に投与する。なお、症状に応じて180 μ g/kgまで増量できる。 (下線部追加)	2011年5月	○
363	日本血液製剤機構	乾燥抗D(Rho)人免疫グロブリン	抗D人免疫グロブリン筋注用1000倍「日本血液製剤機構」	D(Rho)陰性で以前にD(Rho)因子で感作を受けていない女性に対し、以下の場合に投与することにより、D(Rho)因子による感作を抑制する。 ・流産後、人工妊娠中絶後、異所性妊娠後、妊娠中の検査・処置後(羊水穿刺、胎位外回転術等)又は腹部打撲後等のD(Rho)感作の可能性がある場合 ・妊娠28週前後	2011年5月	○
363	日本製薬	乾燥抗D(Rho)人免疫グロブリン	抗Dグロブリン筋注用1000倍「ニチヤク」	D(Rho)陰性で以前にD(Rho)因子で感作を受けていない女性に対し、以下の場合に投与することにより、D(Rho)因子による感作を抑制する。 ・流産後、人工妊娠中絶後、異所性妊娠後、妊娠中の検査・処置後(羊水穿刺、胎位外回転術等)又は腹部打撲後等のD(Rho)感作の可能性がある場合 ・妊娠28週前後	2011年5月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
69	ノボ ノルディスク ファーマ	エプタコグ アルファ(活性型) (遺伝子組換え)	注射用ノボセブン ノボセブンHI静注用	血小板に対する同種抗体を保有し、血小板輸血不応状態が過去又は現在みられるグラントマン血小板無力症患者の出血傾向の抑制	2011年6月	○
231	協和発酵キリン	バルプロ酸ナトリウム	デパケン錠、デパケンR錠、デパケン細粒、デパケンシロップ	片頭痛発作の発症抑制	2011年6月	○
76	中外製薬	エルロチニブ塩酸塩	タルセバ錠	治癒切除不能な腺癌	2011年7月	
89	ファイザー	ガバペンチン	ガバペン錠	通常、成人及び13歳以上の小児にはガバペンチンとして初日1日量600 mg、2日目1日量1200 mgをそれぞれ3回に分割経口投与する。3日目以降は、維持量として1日量1200 mg～1800 mgを3回に分割経口投与する。なお、症状により適宜増減するが、1日最高投与量は2400 mgまでとする。通常、3～12歳の幼児及び小児にはガバペンチンとして初日1日量10 mg/kg、2日目1日量20 mg/kgをそれぞれ3回に分割経口投与する。3日目以降は維持量として、3～4歳の幼児には1日量40 mg/kg、5～12歳の幼児及び小児には1日量25～35 mg/kgを3回に分割経口投与する。症状により適宜増減するが、1日最高投与量は50 mg/kgまでとする。なお、いずれの時期における投与量について、成人及び13歳以上の小児での投与量を超えないこととする。 (下線部追加)	2011年7月	
286	ノーベルファーマ	ホスフェニトインナトリウム水和物	ホストイン静注	・てんかん重積状態 ・脳外科手術又は意識障害(頭部外傷後等)のてんかん発作の発現抑制 ・フェニトインの経口投与しているてんかん患者における一時的な代替療法	2011年7月	
291	MSD	ポリノスタット	ゾリンザカプセル	皮膚T細胞リンパ腫	2011年7月	
11	日本メジフィジックス	ペンテト酸カルシウム三ナトリウム	ジトリペンタートカル静注	超ウラン元素(プルトニウム、アメリシウム、キュリウム)による体内汚染の軽減	2011年7月	
13	日本メジフィジックス	ペンテト酸亜鉛三ナトリウム	アエントリペンタート静注	超ウラン元素(プルトニウム、アメリシウム、キュリウム)による体内汚染の軽減	2011年7月	
266	アストラゼネカ	フルベストラント	フェンロデックス筋注用	閉経後乳癌	2011年9月	
278	中外製薬	ペバシズマブ	アバスチン点滴静注用	手術不能又は再発乳癌	2011年9月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
87	ノバルティス ファーマ	カナキヌマブ	イラリス皮下注用	以下のクリオピリン関連周期性症候群 ・家族性寒冷自己炎症症候群 ・マックル・ウェルズ症候群 ・新生児期発症多臓器系炎症性疾患	2011年9月	
264.2	ファイザー	フルコナゾール	ジフルカンカプセル、 ジフルカン静注液	小児の用法・用量の追加 小児用懸濁剤の剤形追加	2011年11月	○
20	グラクソ・スミスクライン	アトバコン	サムチレール内用懸濁液	ニューモシスチス肺炎、ニューモシスチス肺炎の発生抑制	2012年1月	
55	第一三共	インドシアニングリーン	ジアグノグリーン注射用	脳神経外科手術時における脳血管の造影(赤外線照射時の蛍光測定による)	2012年2月	○
201	中外製薬	ドルナーゼ アルファ	プルモザイル	嚢胞性線維症における肺機能の改善	2012年3月	
293 a	アクテリオンファーマ シューティカルズジャパン	ミグルスタット	ブレーザカプセル	ニーマン・ピック病C型	2012年3月	
315	塩野義製薬	メロニダゾール内服剤、経腔剤	フラジール内服錠 フラジール腔錠	〈適応菌種〉本剤に感性のガードネラ・バジナリス、バクテロイデス・フラジリス、 プレボテラ・ビビア、ペプトストレプトコッカス属、モビルンカス属 〈適応症〉細菌性陰症	2012年3月	○
132	藤本製薬	サリドマイド	サレドカプセル	らい性結節性紅斑	2012年5月	
246	ジェンザイム・ジャパン	ヒトチロトロピンアルファ(遺伝子組換え)	タイロゲン筋注用	分化型甲状腺癌で甲状腺全摘又は準全摘術を施行された遠隔転移を認めない患者における残存甲状腺組織の放射性ヨウ素によるアブレーションの補助	2012年5月	
318	サンノーバ	メナテレノン	ケイツー・シロップ	新生児・乳児ビタミンK欠乏性出血症の予防	2012年5月	○
33	ファイザー	アムロジピン ベシル酸塩	ノルバスク錠 ノルバスクOD錠	小児への投与 ・高血圧症 通常、6歳以上の小児には、アムロジピンとして2.5mgを1日1回経口投与する。なお、年齢、体重、症状により適宜増減する。	2012年6月	○
33	大日本住友製薬	アムロジピン ベシル酸塩	アムロジン錠、アムロジンOD錠	小児の場合 ・高血圧症 通常、6歳以上の小児には、アムロジピンとして2.5mgを1日1回経口投与する。なお、年齢、体重、症状により適宜増減する。	2012年6月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
64	MSD	マレイン酸エナラプリル	レニベース錠	<p>高血圧症： 通常、成人に対しエナラプリルマレイン酸塩として5～10mgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。但し、腎性・腎血管性高血圧症又は悪性高血圧の患者では2.5mgから投与を開始することが望ましい。<u>通常、生後1ヵ月以上の小児には、エナラプリルマレイン酸塩として0.08mg/kgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。</u> (下線部追加)</p>	2012年6月	○
331	アストラゼネカ	リシノプリル	ゼストリル錠	<p>高血圧症 通常、成人にはリシノプリル(無水物)として10～20mgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。ただし、重症高血圧症又は腎障害を伴う高血圧症の患者では5mgから投与を開始することが望ましい。<u>通常、6歳以上の小児には、リシノプリル(無水物)として、0.07mg/kgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。</u> (下線部追加)</p>	2012年6月	○
331	塩野義製薬	リシノプリル	ロンゲス錠	<p>高血圧症 通常、成人にはリシノプリル(無水物)として10～20mgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。ただし、重症高血圧症又は腎障害を伴う高血圧症の患者では5mgから投与を開始することが望ましい。<u>通常、6歳以上の小児には、リシノプリル(無水物)として、0.07mg/kgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。</u> (下線部追加)</p>	2012年6月	○
23	日本イーライリリー	アトモキセチン	ストラテラカプセル	<p>注意欠陥／多動性障害(AD/HD) 18歳以上の患者 通常、18歳以上の患者には、アトモキセチンとして1日40mgより開始し、その後1日80mgまで増量した後、1日80～120mgで維持する。 ただし、1日80mgまでの増量は1週間以上、その後の増量は2週間以上の間隔をあけて行うこととし、<u>いずれの投与量においても1日1回又は1日2回に分けて経口投与する。</u> なお、症状により適宜増減するが、1日量は120mgを超えないこと。 (下線部追加)</p>	2012年8月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
230	ノバルティス ファーマ	バルサルタン	ディオバン錠	高血圧症 通常、6歳以上の小児には、バルサルタンとして、 <u>重35kg未満の場合、20mgを、体重35kg以上の場合、40mgを1日1回経口投与する。</u> なお、年齢、体重、症状により適宜増減する。ただし、1日最高用量は、 <u>体重35kg未満の場合、40mgとする。</u> (下線部追加)	2012年8月	○
313	塩野義製薬	メロニダゾール内服剤	フラジール内服錠	2. 嫌気性菌感染症 ＜適応菌種＞ 本剤に感性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、ポルフィロモナス属、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＞ 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、骨盤内炎症性疾患、腹膜炎、腹腔内膿瘍、肝膿瘍、脳膿瘍 3. 感染性腸炎 ＜適応菌種＞ 本剤に感性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) 6. アメーバ赤痢 7. ランブル鞭毛虫感染症 (下線部追加)	2012年8月	○
104	ノーベルファーマ	カルムスチン脳内留置用製剤	ギリアデル	悪性神経膠腫	2012年9月	
156	Meiji Seikaファルマ	ステリペンチール	ディアコミット	クロバザム及びバルプロ酸ナトリウムで十分な効果が認められないDravet症候群患者における間代発作又は強直間代発作に対するクロバザム及びバルプロ酸ナトリウムとの併用療法	2012年9月	
195	ノバルティス ファーマ	トブラマイシン	トービー吸入液	嚢胞性線維症における緑膿菌による呼吸器感染に伴う症状改善 吸入用製剤の剤形追加	2012年9月	
9	グラクソ・スミスクライン	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注	眼瞼痙攣、片側顔面痙攣、痙性斜頸、上肢痙縮、下肢痙縮、2歳以上の小児脳性麻痺患者における下肢痙縮に伴う尖足、 <u>重度の原発性腋窩多汗症</u> (下線部追加)	2012年11月	
77	b 大塚製薬	レボカルニチン	エルカルチン内用液	液剤の剤形追加	2012年12月	
77	c 大塚製薬	レボカルニチン	エルカルチン静注	静注用製剤の剤形追加	2012年12月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
180	フェリング・ファーマ	デスモプレシン酢酸塩経口剤	ミニリンメルトOD錠	経口剤の剤形追加	2012年12月	
348 a	ゼリア新薬工業	経ロリン酸塩製剤	ホスリボン配合顆粒	原発性低リン血症性くる病	2012年12月	
159 a	メルクセローノ	セツキシマブ	アービタックス注射液	頭頸部癌 (局所進行頭頸部扁平上皮癌に対する放射線療法との併用)	2012年12月	
159 b	メルクセローノ	セツキシマブ	アービタックス注射液	頭頸部癌 (再発・転移性頭頸部扁平上皮癌に対する白金製剤を含む化学療法との併用)	2012年12月	
348 b	ゼリア新薬工業	経ロリン酸塩製剤	ホスリボン配合顆粒	ファンconi症候群	2012年12月	
348 c	ゼリア新薬工業	経ロリン酸塩製剤	ホスリボン配合顆粒	低リン血症	2012年12月	
273	アストラゼネカ	プロプラノロール塩酸塩	インデラル錠	片頭痛における頭痛発作の予防	2013年2月	○
5	ノーベルファーマ	アミノレプリン塩酸塩	アラベル内用剤	悪性神経腫の腫瘍摘出術中における腫瘍組織の可視化	2013年3月	
6	日本新薬	アカンプロサートカルシウム	レグテクト錠	アルコール依存症患者における断酒維持の補助	2013年3月	
349	エーザイ	ルフィナミド	イノベロン錠	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないレノックス・ガストー症候群(4歳以上)における強直発作及び脱力発作に対する抗てんかん薬との併用療法	2013年3月	
199	日本新薬	トラマドール塩酸塩	トラマールカプセル	<u>非オピオイド鎮痛剤で治療困難な下記疾患における鎮痛</u> 疼痛を伴う各種癌 <u>慢性疼痛</u> (下線部追加)	2013年6月	
352 a	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケブラ錠 イーケブラドライシロップ	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する抗てんかん薬との併用療法(4歳児以上の小児への適応追加)	錠 2013年5月 DS 2013年6月	
12	日本メジフィジックス	イオフルパン(123I)	ダットスキャン静注	以下の疾患の診断におけるドパミントランスポーターシンチグラフィ ・パーキンソン症候群	2013年9月	
171	ノーベルファーマ	タルク	ユニタルク	悪性胸水の再貯留抑制	2013年9月	
372	CSLベーリング	人免疫グロブリンG	ハイゼントラ皮下注	無ガンマグロブリン血症又は低ガンマグロブリン血症	2013年9月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
193	協和発酵キリン	トピラマート	トピナ錠	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する抗てんかん薬との併用療法(2-16歳の小児における部分発作に対する用法・用量の追加)	2013年11月	
176	日医工	デキサメタゾン	デカドロン錠	抗悪性腫瘍剤(シスプラチンなど)投与に伴う消化器症状(悪心、嘔吐) (4mg剤の剤形追加)	2014年2月	
94	日本ベーリンガー・インゲルハイム	カフェインクエン酸塩	レスピア静注・経口服液	早産・低出生体重児における原発性無呼吸(未熟児無呼吸発作)	2014年3月	
203	持田製薬	トレプロステニル	トレプロスト注射液	肺動脈性肺高血圧(WHO機能分類クラス II、III及びIV)	2014年3月	
205	パイオジェン・アイデック・ジャパン	ナタリズマブ	タイサブリ点滴静注	多発性硬化症の再発予防及び身体的障害の進行抑制	2014年3月	
374	サノフィ	4価髄膜炎菌ワクチン(ジフテリアトキソイド結合体)	メナクトラ筋注	髄膜炎菌(血清型A、C、Y及びW-135)による侵襲性髄膜炎菌感染症の予防	2014年7月	
142	マイラン製薬	システアミン酒石酸塩	ニシスタゴンカプセル	腎性シスチン症	2014年7月	
289	ファイザー	ポリコナゾール	ブイフェンド静注用、ブイフェンド錠	<p><小児用法・用量の追加> **小児(2歳以上12歳未満及び12歳以上で体重50kg未満) ポリコナゾール注射剤による治療を行った後、通常、ポリコナゾールとして1回9mg/kgを1日2回食間に経口投与する。なお、効果不十分の場合には1mg/kgずつ増量し、忍容性が不十分の場合には1mg/kgずつ減量する(最大投与量として350mgを用いた場合は50mgずつ減量する)。 ただし、1回350mg1日2回を上限とする。</p> <p>**小児(12歳以上で体重50kg以上) ポリコナゾール注射剤による治療を行った後、通常、ポリコナゾールとして1回200mgを1日2回食間に経口投与する。なお、効果不十分の場合には1回300mg1日2回まで増量できる。</p> <p><剤形の追加> ブイフェンドライシロップ2800mg</p>	2014年9月	
26	シャイアー	アナグレリド塩酸塩	アグリリンカプセル	本態性血小板血症	2014年9月	
157	ノーベルファーマ	ストレプトゾシン	ザノサー点滴静注用	膵・消化管神経内分泌腫瘍	2014年9月	
53	MSD	ペグインターフェロン α -2b	ペグイントロン	悪性黒色腫における術後補助療法	2015年5月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
292	ヤンセンファーマ	ボルテゾミブ	ベルケイド	マントル細胞リンパ腫	2015年6月	
50	バイエル薬品	イロプロスト	ベンテイビス吸入液	成人における肺動脈性肺高血圧症(NYHA機能分類Ⅲ又はⅣ)	2015年9月	
105	テバ・ファーマスーティカル(武田薬品工業が承認取得)	グラチラマー酢酸塩	コパキソン皮下注	多発性硬化症の再発予防	2015年9月	
51	マリノックロットジャパン(富士フィルムRIファーマが承認取得)	インジウム(111In)ペンテトレオチド	オクトレオスキャン	シンチグラフィによるソマトスタチン受容体を有する原発性及び転移性の神経内分泌腫瘍の診断	2015年9月	
352 b	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケブラ錠	6歳以上の特発性全般てんかん患者における強直間代発作に対する併用療法	2016年2月	
81	ノバルティス ファーマ(ノーベルファーマが承認取得)	オクスカルバゼピン	オクノベル錠 オクノベル懸濁液	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない小児の部分発作の併用療法	2016年7月	
70	ファイザー	エプレレノン	セララ錠	慢性心不全	2016年12月	

<第2回開発要請分(71件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
126	ジェンザイム・ジャパン	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	腎移植後の急性拒絶反応の治療	2011年4月	
285	アストラゼネカ	ホスカルネットナトリウム	点滴静注用ホスカビル注	造血幹細胞移植患者におけるサイトメガロウイルス血症及びサイトメガロウイルス感染症	2011年5月	
139	塩野義製薬	シクロホスファミド	エンドキサン錠	ネフローゼ症候群(副腎皮質ホルモン剤による適切な治療を行っても十分な効果がみられない場合に限る。)	2011年9月	○
250	日本血液製剤機構	ヒト免疫グロブリン	献血ヴェノグロブリンIH5%静注	全身型重症筋無力症(ステロイド剤又はステロイド剤以外の免疫抑制剤が十分に奏効しない場合に限る)	2011年9月	
295	中外製薬	ミコフェノール酸モフェチル	セルセプトカプセル	腎移植における拒絶反応の抑制に対する小児用法・用量の追加	2011年9月	○
196	中外製薬	トラスツズマブ(遺伝子組換え)	ハーセプチン注射用	HER2過剰発現が確認された乳癌における術前補助化学療法	2011年11月	○
197	中外製薬	トラスツズマブ(遺伝子組換え)	ハーセプチン注射用	HER2過剰発現が確認された転移性乳癌について、3週間1回投与の用法・用量の追加	2011年11月	○
82	ノバルティス ファーマ	オクトレオチド酢酸塩	サンドスタチンLAR筋注用	消化管神経内分泌腫瘍	2011年11月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
301	ノバルティス ファーマ	メチラポン	メトピロンカプセル	クッシング症候群	2011年11月	○
264.1	ファイザー	フルコナゾール	ジフルカン静注液、ジフルカンカプセル	造血幹細胞移植患者における深在性真菌症の予防	2011年11月	○
100	ブリストル・マイヤーズ	カルボプラチン	パラプラチン注射液	乳癌	2011年11月	○
107	中外製薬	グラニセトロン塩酸塩	カイトリル錠 カイトリル細粒 カイトリル注 カイトリル点滴静注 バッグ	放射線照射に伴う消化器症状(悪心、嘔吐)	2011年12月	○
161	サノフィ	セフォタキシムナトリウム	クラフォラン注射用	通常小児には、セフォタキシムとして1日50～100mg(力価)/kgを3～4回に分けて静脈内に注射する。 なお、難治性又は重症感染症には症状に応じて、1日量を成人では4g(力価)まで増量し、2～4回に分割投与する。また小児では150mg(力価)/kgまで増量し、3～4回に分割投与する。なお、小児の化膿性髄膜炎では300mg(力価)/kgまで増量できる。 (下線部追加)	2011年12月	○
34	アステラス製薬	アモキシシリン	サワシリン細粒	小児:アモキシシリン水和物として、通常1日20～40mg(力価)/kgを3～4回に分割経口投与する。 なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日量として最大90mg(力価)/kgを超えないこと。 (下線部追加)	2012年2月	○
34	協和発酵キリン	アモキシシリン	パセトシン細粒	小児:アモキシシリン水和物として、通常1日20～40mg(力価)/kgを3～4回に分割経口投与する。 なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日量として最大90mg(力価)/kgを超えないこと。 (下線部追加)	2012年2月	○
47	ノバルティス ファーマ	イマチニブメシル酸	グリベック錠	FIP1L1-PDGFR α 陽性の下記疾患 好酸球増多症候群、慢性好酸球性白血病	2012年2月	○
62	日本化薬	エトポシド	ラストットSカプセル	がん化学療法後に増悪した卵巣癌	2012年2月	○
62	ブリストル・マイヤーズ	エトポシド	ベプシドカプセル	がん化学療法後に増悪した卵巣癌	2012年2月	○
143	ブリストル・マイヤーズ	シスプラチン	ブリプラチン注	胆道癌	2012年2月	○
143	日本化薬	シスプラチン	ランダ注	胆道癌	2012年2月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
276	Meiji Seikaファルマ	ベンジルペニシリンカリウム	注射用ペニシリンGカリウム	<適応菌種>梅毒トレポネーマ <適応症>梅毒	2012年2月	○
46	塩野義製薬	イホスファミド	注射用イホマイド	悪性リンパ腫	2012年3月	○
218	Bristol・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	血管肉腫	2012年3月	○
219	Bristol・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	再発又は遠隔転移を有する食道癌	2012年3月	○
220	Bristol・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	再発又は遠隔転移を有する頭頸部癌	2012年3月	○
221	Bristol・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	進行又は再発の子宮頸癌	2012年3月	○
222	Bristol・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	卵巣癌の週1回投与の用法・用量の追加	2012年3月	○
43	Meiji Seikaファルマ	アンピシリンナトリウム	ピクシリン注射用	小児 アンピシリンとして、通常、小児には1日100～200mg(力価)/kgを3～4回に分けて日局生理食塩液又は日局ブドウ糖注射液に溶解し静脈内注射し、点滴静注による場合は、輸液に溶解して用いる。なお、症状・病態に応じて適宜増量とするが、投与量の上限は1日400mg(力価)/kgまでとする。 新生児 アンピシリンとして、通常、新生児には1日50～200mg(力価)/kgを2～4回に分けて日局生理食塩液又は日局ブドウ糖注射液に溶解し静脈内注射し、点滴静注による場合は、輸液に溶解して用いる。	2012年5月	○
112 b	サノフィ	クロピドグレル	プラビックス錠	経皮的冠動脈形成術(PCI)が適用される下記の虚血性心疾患 急性冠症候群(不安定狭心症、非ST上昇心筋梗塞、ST上昇心筋梗塞) (下線部追加)	2012年8月	
125	中外製薬	スルファメキサゾール・トリメプリム配合剤	バクトラミン錠、バクトラミン配合顆粒	ニューモシスチス肺炎の治療及び発症抑制	2012年8月	○
125	塩野義製薬	スルファメキサゾール・トリメプリム配合剤	バクタ配合錠、バクタ配合顆粒	ニューモシスチス肺炎の治療及び発症抑制	2012年8月	○
112 a	サノフィ	クロピドグレル	プラビックス錠	末梢動脈疾患における血栓・塞栓形成の抑制	2012年9月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
340	ファイザー	リネゾリド	ザイボックス錠、ザイボックス注射液	通常、成人及び12歳以上の小児にはリネゾリドとして1日1200 mgを2回に分け、1回600 mgを12時間ごとに経口投与する。通常、12歳未満の小児にはリネゾリドとして1回10 mg/kgを8時間ごとに経口投与する。 <u>なお、1回投与量として600 mgを超えないこと。</u> (下線部追加)	2012年11月	○
22	グラクソ・スミスクライン	アトパコン・塩酸プログアニル配合剤	マラロン配合錠	マラリアの治療及び予防	2012年12月	
237	ファイザー	パロモマイシン	アメパロモカプセル	腸管アメーバ症	2012年12月	
265	日本メジフィジックス	ヘキサシアノ鉄(Ⅱ)酸鉄(Ⅲ)水和物	ラディオガルダーゼカプセル	タリウム及びタリウム化合物による中毒の治療	2012年12月	
305	ファイザー	メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム	ソル・メドロール静注用	眩急性循環不全(出血性ショック、感染性ショック) 眩腎臓移植に伴う免疫反応の抑制 眩受傷後8時間以内の急性脊髄損傷患者(運動機能障害及び感覚機能障害を有する場合)における神経機能障害の改善 眩ネフローゼ症候群 眩多発性硬化症の急性増悪 (下線部追加)	2013年3月	○
376	化学及血清療法研究所	乾燥組織培養不活化A型肝炎ワクチン	エイムゲン	A型肝炎の予防 (16歳未満への適応拡大)	2013年3月	
19.1	テルモ	アセトアミノフェン	アセリオ静注	1. 軽度から中等度の疼痛、2. 中等度から重度の疼痛(オピオイドと併用)、3. 解熱。 ただし、疼痛または高熱に迅速に対応する必要がある場合、および/または他の投与経路が適切でない場合等、静脈内投与経路による投与が臨床上に適切な場合に限る。	2013年6月 (新生児の用法用量の追加については検討中)	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
229	アッヴィ	パリビズマブ(遺伝子組換え)	シナジス筋注用	下記の新生児、乳児および幼児におけるRSウイルス(Respiratory Syncytial Virus)感染による重篤な下気道疾患の発症抑制 RSウイルス感染流行初期において ・在胎期間28週以下の早産で、12か月齢以下の新生児および乳児 ・在胎期間29週～35週の早産で、6か月齢以下の新生児および乳児 ・過去6か月以内に気管支肺異形成症(BPD)の治療を受けた24か月齢以下の新生児、乳児および幼児 ・24か月齢以下の血行動態に異常のある先天性心疾患(CHD)の新生児、乳児および幼児 ・ <u>24か月齢以下の免疫不全を伴う新生児、乳児および幼児</u> ・ <u>24か月齢以下のダウン症候群の新生児、乳児および幼児</u> (下線部追加)	2013年8月	
124	MSD	ゲンタマイシン硫酸塩	ゲンタシン注	最大投与量の変更	2013年9月	
12.2	日本メジフィジックス	イオフルパン(123I)	ダツスキャン静注	以下の疾患の診断におけるドパミントランスポーターシンチグラフィ ・レビー小体型認知症	2010年9月	
277	中外製薬	ペバシズマブ	アバステン点滴静注用	卵巣癌	2013年11月	
114	アルフレッサ ファーマ	クロミプラミン	アナフラニール錠	ナルコレプシーに伴う情動脱力発作	2013年11月	○
148	協和発酵キリン	シナカルセット塩酸塩	レグパラ錠	下記疾患における高カルシウム血症 ・副甲状腺癌 ・副甲状腺摘出術不能又は術後再発の原発性副甲状腺機能亢進症	2014年2月	
239	塩野義製薬	バンコマイシン	塩酸バンコマイシン点滴静注用	<適応菌種>メチシリン耐性コアグラゼ陰性ブドウ球菌、ペニシリン耐性腸球菌 <適応症>グラム陽性球菌による血流感染(中心静脈カテーテル感染を含む)、好中球減少時の発熱、ペニシリンアレルギーの代替薬	2014年5月	○
329	グラクソ・スミスクライン	ラモトリギン	ラミクタール錠	成人における部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する単剤療法、成人における強直間代発作に対する単剤療法 小児における定型欠伸に対する単剤療法	成人:2014年8月 小児:2015年9月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
308	大日本住友製薬	メトホルミン塩酸塩	メトグルコ錠	<効能・効果>2型糖尿病の小児適応の追加 <用法・用量>10歳以上の小児には1日500mgより開始し、維持量は通常1日500m～1500mg、1日最高投与量は2,000mgまでとする	2014年8月	
228	グラクソ・スミスクライン	バラシクロビル	バルトレックス錠、 バルトレックス顆粒	単純疱疹、造血幹細胞移植における単純ヘルペスウイルス感染症(単純疱疹)の発症抑制、帯状疱疹、生殖器ヘルペスの再発抑制の小児適応	2014年11月	
314.2	ガルデルマ	メロニダゾール	ロゼックスゲル	がん性皮膚潰瘍部位の殺菌・臭気の軽減	2014年12月	
251	富山化学工業	ピペラシリンナトリウム	ペントシリン注射用、 ペントシリン静注用	最大4gを6時間ごとに1日4回投与の用法・用量変更	2015年3月	
78	ヤクルト本社	オキサリプラチン	エルプラット点滴静注液	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	2015年3月	○
186	塩野義製薬	デュロキセチン	サインバルタカプセル	線維筋痛症に伴う疼痛	2015年5月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
8	グラクソ・スミスクライン	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注	斜視	2015年6月	
168	大鵬薬品工業	タゾバクタムナトリウム・ピペラシリンナトリウム配合剤	ゾシン静注用	発熱性好中球減少症	2015年6月	
250.2	サノフィ	ヒドロキシクロロキン	プラケニル錠	皮膚エリテマトーデス、全身性エリテマトーデス	2015年7月	
353	第一三共	レボフロキサシン	クラビット錠、クラビット細粒	多剤耐性結核	2015年8月	
57	田辺三菱製薬	インフリキシマブ	レミケード	ペーチェット病の特殊型(腸管型、神経型、血管型)	2015年8月	
151	バイエル薬品	シプロフロキサシン	シプロキサン注	小児に対するβラクタム系薬無効の尿路感染症(複雑性膀胱炎、腎盂腎炎)及び嚢胞性線維症	2015年9月	
152	バイエル薬品	シプロフロキサシン	シプロキサン注	最大投与量の変更	2015年9月	
328 a	ノバルティス ファーマ	ラパチニブ	タイケルブ錠	乳癌に対するホルモン剤併用療法(トラスツズマブ併用療法は開発方針について検討中)	2015年11月	
213	日本化薬	ノギテカン	ハイカムチン	進行・再発子宮頸癌	2015年11月	
56	田辺三菱製薬	インフリキシマブ	レミケード	大量ガンマグロブリン治療に抵抗を示す重症川崎病	2015年12月	
336	全薬工業	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン注	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	2016年2月	
332	ヤンセン ファーマ	リスベリドン	リスパダール錠、OD錠、細粒、内用液	自閉症障害における易刺激性	2016年2月	
243	サノフィ	ビガバトリン	サブリル散分包	点頭てんかん	2016年3月	
260	アストラゼネカ(ゼリア新薬工業が承認取得)	ブデソニド	ゼンタコートカプセル	経口剤の剤形追加、回腸又は上行結腸に病変を有する軽度から中等度の活動期クローン病	2016年9月	
283 b	シンバイオ製薬	ベンダムスチン	トリアキシン静注用	慢性リンパ性白血病	2016年8月	
75	大原薬品工業	クリサントスパーゼ	アーウィナーゼ筋注用	急性白血病(慢性白血病の急性転化例を含む)、悪性リンパ腫 ただし、L-アスパラギナーゼ製剤に過敏症を示した場合に限る。	2016年12月	
262	アステラス製薬	クエチアピンフマル酸塩	ビプレッソ徐放錠	双極性障害におけるうつ症状の改善	2017年7月	
355	ファイザー	ロラゼパム	ロラピタ静注 2mg	静注剤の剤形追加、てんかん重積状態	2018年9月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
------	-----	-----	-----	------	-----------	------

<第3回開発要請分(5件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
274.1	アストラゼネカ	プロプラノロール塩酸塩	インデラル錠	期外収縮(上室性、心室性)、発作性頻拍の予防、頻拍性心房細動(徐脈効果)、洞性頻脈、新鮮心房細動、発作性心房細動の予防に使用する場合 成人 通常、成人にはプロプラノロール塩酸塩として1日30mgより投与をはじめ、効果が不十分な場合は60mg、90mgと漸増し、1日3回に分割経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。 小児 通常、小児にはプロプラノロール塩酸塩として1日0.5~2mg/kgを、低用量から開始し、1日3~4回に分割経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。効果不十分な場合には1日4mg/kgまで増量することができるが、1日投与量として90mgを超えないこと。 (下線部追加)	2012年5月	○
362	協和発酵キリン	アルテプラゼ(遺伝子組換え)	アクチバシン注	虚血性脳血管障害急性期に伴う機能障害の改善(発症後4.5時間以内) (下線部変更)	2012年12月	○
362	田辺三菱製薬	アルテプラゼ(遺伝子組換え)	グルトバ注	虚血性脳血管障害急性期に伴う機能障害の改善(発症後4.5時間以内) (下線部変更)	2012年12月	○
268	アッヴィ	フルボキサミンマレイン酸塩	ルボックス錠	小児における強迫性障害	2017年7月	
268	Meiji Seikaファルマ	フルボキサミンマレイン酸塩	デプロメール錠	小児における強迫性障害	2017年7月	

<第4回開発要請分(0件)>

a-1. 承認申請済みのもの（3件）

＜第1回開発要請分(2件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
200	日本臓器製薬	トラマドール塩酸塩	ツートラム錠50mg、 ツートラム錠100mg、 ツートラム錠150mg	経口徐放剤の剤形追加 慢性疼痛の効能追加	
182	エーザイ	デニロイキン ジフチトクス(遺伝子組換え)(JAN) denileukin diftitox (INN)	レミトロ点滴静注用300μg	再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫 再発又は難治性の皮膚T細胞性リンパ腫	

＜第2回開発要請分(1件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
80	塩野義製薬	オキシコドン塩酸塩	オキシコンチンTR錠、オキノーム散	中等度から高度の慢性疼痛における鎮痛	

＜第3回開発要請分(0件)＞

＜第4回開発要請分(0件)＞

a-2. 治験計画届提出済みのもの(2件)

<第1回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	要請内容	特記事項
173	サノフィ	チフス菌Vi多糖体抗原ワクチン	Typhim Vi	腸チフスの感染予防	承認申請準備中

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	特記事項
※	協和キリン株式会社 日本セルヴィエ株式会社	ペグアスパラガーゼ	販売名未定	急性リンパ性白血病	

※本品目は、未承認薬検討会議以前のスキームにおいて医療上の必要性が高いとされた品目であるが、第34回検討会議の議論を踏まえ開発要請をおこなったもの。

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

g. その他(1件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	治験計画届提出予定 (予定月)	個別事情
1	BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社	Amifampridine (INN)	販売名未定	Lambert-Eaton筋無力症候群に よる筋力低下の改善		開発計画の検討中

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの(6件)

＜第1回開発要請分(3件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請取り下げ時期	個別事情
189	ヤンセンファーマ	ドキシソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤	ドキシル	多発性骨髄腫	第19回 (平成26年4月22日)	開発企業は国内第I相治験を実施したが、その結果及び他の薬剤の開発状況等を踏まえ、要望の取り下げが了承された。
293 b	アクテリオンファーマ シューティカルズジャパン	ミグルスタット	Zavesca	ゴーシェ病 I 型	第23回 (平成27年4月22日)	要望者から、当該疾患領域の治療薬について、昨今の開発状況等を踏まえ、要望を取り下げるの申出があり、要望の取り下げが了承された。
176	セルジーン	デキサメタゾン	レナデックス錠 4mg	抗悪性腫瘍剤(シスプラチンなど)投与に伴う消化器症状(悪心、嘔吐)	第29回 (平成28年11月16日)	要望者から、他企業より同一有効成分含有医薬品が開発されたことを踏まえ、要望を取り下げるの申出があり、要望の取り下げが了承された。

＜第2回開発要請分(3件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請取り下げ時期	個別事情
178	ヤンセンファーマ	デシタビン	DACOGEN	骨髄異形成症候群	第12回 (平成24年7月30日)	開発企業は国内第I/II相治験を実施したが、その結果及び他の薬剤の開発状況等を踏まえ、要望の取り下げが了承された。
283 c	シンバイオ製薬	ベンダムスチン	トレアキシン静注用	多発性骨髄腫	第19回 (平成26年4月22日)	開発企業は国内第II相治験を実施したが、その結果及び他の薬剤の開発状況等を踏まえ、要望の取り下げが了承された。
35	大鵬薬品工業	パクリタキセル注射剤(アルブミン懸濁型)	アブラキサン点滴静注用	乳癌に対する4週間1サイクル投与(3週間隔週投与、1週間休薬)の用法・用量の追加	第32回 (平成29年8月23日)	開発企業は国内第II相治験を実施したが、その結果を踏まえ、要望者から要望の取り下げるの届出があり、要望の取り下げが了承された。

＜第3回開発要請分(0件)＞

＜第4回開発要請分(0件)＞

資料 4-3

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅱ回要望)(令和2年8月20日現在)

1. 企業から提出された開発工程表に基づく情報

(単位:件)

	第1回開発要請分 (2012年4月)	第2回開発要請分 (2013年1月)	第3回開発要請分 (2013年7月)	第4回開発要請分 (2014年11月)	第5回開発要請分 (2017年3月)	計
承認済み	64	11	5	3	0	83
承認申請済み	0	0	0	0	0	0
治験計画届提出済み	0	0	0	0	2	2
公知申請予定	5	2	0	0	0	7
治験計画届提出予定	0	0	0	0	0	0
その他	0	1	0	0	0	1
合計	69	14	5	3	2	93

開発要請取り下げ	5	0	0	0	0	5
----------	---	---	---	---	---	---

2. 開発工程表の詳細な分類

(単位:件)

a. 承認済みのもの、承認申請済みのもの、治験計画届提出済みのもの

	第1回開発要請分 (2012年4月)	第2回開発要請分 (2013年1月)	第3回開発要請分 (2013年7月)	第4回開発要請分 (2014年11月)	第5回開発要請分 (2017年3月)	計
承認済み	64	11	5	3	0	83
承認申請済み	0	0	0	0	0	0
治験計画届提出済み	0	0	0	0	2	2

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの

第1回開発要請分 (2012年4月)	第2回開発要請分 (2013年1月)	第3回開発要請分 (2013年7月)	第4回開発要請分 (2014年11月)	第5回開発要請分 (2017年3月)	計
0	0	0	0	0	0

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの

第1回開発要請分 (2012年4月)	第2回開発要請分 (2013年1月)	第3回開発要請分 (2013年7月)	第4回開発要請分 (2014年11月)	第5回開発要請分 (2017年3月)	計
0	0	0	0	0	0

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの

第1回開発要請分 (2012年4月)	第2回開発要請分 (2013年1月)	第3回開発要請分 (2013年7月)	第4回開発要請分 (2014年11月)	第5回開発要請分 (2017年3月)	計
0	0	0	0	0	0

e. 開発要請後半年以降に公知申請を予定するもの。

第1回開発要請分 (2012年4月)	第2回開発要請分 (2013年1月)	第3回開発要請分 (2013年7月)	第4回開発要請分 (2014年11月)	第5回開発要請分 (2017年3月)	計
5	2	0	0	0	7

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの

第1回開発要請分 (2012年4月)	第2回開発要請分 (2013年1月)	第3回開発要請分 (2013年7月)	第4回開発要請分 (2014年11月)	第5回開発要請分 (2017年3月)	計
0	0	0	0	0	0

g. その他

第1回開発要請分 (2012年4月)	第2回開発要請分 (2013年1月)	第3回開発要請分 (2013年7月)	第4回開発要請分 (2014年11月)	第5回開発要請分 (2017年3月)	計
0	1	0	0	0	1

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの

第1回開発要請分 (2012年4月)	第2回開発要請分 (2013年1月)	第3回開発要請分 (2013年7月)	第4回開発要請分 (2014年11月)	第5回開発要請分 (2017年3月)	計
5	0	0	0	0	5

3. 各医薬品の開発工程表の概要

a-0. 承認済みのもの（83件）

＜第1回開発要請分（64件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
II-109	ファイザー	スニチニブリンゴ酸塩	スーテントカプセル	膵神経内分泌腫瘍	2012年8月	
II-10	協和発酵キリン	L-アスパラギナーゼ	ロイナーゼ注用	急性白血病（慢性白血病の急性転化例を含む） 悪性リンパ腫 （筋肉内投与）通常、1日1回体表面積1m ² あたり 10000K.U.を週3回、または1日1回体表面積1m ² あたり 25000K.U.を週1回、筋肉内に注入する。なお、患者 の状態により適宜減する。 （下線部追加）	2013年2月	○
II-77	日本イーライリリー	ゲムシタビン塩酸塩	ジェムザール注射用	再発・難治性悪性リンパ腫	2013年2月	○
II-150	ブリistol・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	再発又は難治性の胚細胞腫瘍（精巣腫瘍、卵巣腫瘍、性腺外腫瘍）	2013年2月	○
II-37	ヤクルト本社	イリノテカン塩酸塩水和物	カンプト点滴静注	小児悪性固形腫瘍	2013年3月	○
II-37	第一三共	イリノテカン塩酸塩水和物	トポテシン点滴静注	小児悪性固形腫瘍	2013年3月	○
II-58	ノバルティスファーマ （グラクソ・スミスクラインより承継）	オファツムマブ（遺伝子組換え）	アーゼラ点滴静注液	再発又は難治性のCD20陽性の慢性リンパ性白血病 （未治療の慢性リンパ性白血病に対しては医療上の 必要性の再検討について、WG検討中。）	2013年3月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-96	ノバルティスファーマ	シクロスポリン	ネオーラルカプセル、 ネオーラル内用液	ベーチェット病(眼症状のある場合)、及びその他の非感染性ぶどう膜炎(既存治療で効果不十分であり、視力低下のおそれのある活動性の中間部又は後部の非感染性ぶどう膜炎に限る) (下線部追加)	2013年3月	○
II-98	塩野義製薬	シクロホスファミド水和物	注射用エンドキサン	褐色細胞腫	2013年3月	○
II-116	協和発酵キリン	ダカルバジン	ダカルバジン注用	褐色細胞腫	2013年3月	○
II-176	ブリistol・マイヤーズ	ヒドロキシカルバミド	ハイドレアカプセル	本態性血小板血症	2013年3月	○
II-177	ブリistol・マイヤーズ	ヒドロキシカルバミド	ハイドレアカプセル	真性多血症	2013年3月	○
II-186	日本化薬	ピンクリスチン硫酸塩	オンコビン注射用	褐色細胞腫	2013年3月	○
II-273	東亜薬品工業	硫酸マグネシウム	静注用マグネゾール、 マグセント注	重症妊娠高血圧症候群における子癇の予防及び治療	2013年3月	○
II-51	ノボ ノルディスク ファーマ	エプタコグ アルファ(活性型)(遺伝子組換え)	ノボセブンHI静注用	<効能・効果> 血液凝固第Ⅷ因子又は第Ⅸ因子に対するインヒビターを保有する先天性血友病患者の出血抑制 <用法・用量> 軽度から中等度の出血に対して、270 μg/kgを単回投与する。	2013年5月	○
II-21	サノフィ	アミオダロン塩酸塩	アンカロン注	電氣的除細動抵抗性の心室細動あるいは無脈性心室頻拍による心停止	2013年5月	
II-210	中外製薬	ベバシズマブ	アバスチン	悪性神経膠腫	2013年6月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-262	全薬工業	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン注	ウエゲナ肉芽腫症、顕微鏡的多発血管炎	2013年6月	○
II-263	全薬工業	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン注	免疫抑制状態下のCD20陽性のB細胞性リンパ増殖性疾患(成人)	2013年6月	○
II-264	全薬工業	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン注	免疫抑制状態下のCD20陽性のB細胞性リンパ増殖性疾患(小児)	2013年6月	○
II-141	中外製薬	トラズツマブ(遺伝子組み換え)	ハーセプチン注射用	HER2過剰発現が確認された乳癌に対する術後補助化学療法としてA法(1週間間隔投与)の用法・用量の追加	2013年6月	○
II-148	日本化薬	ノギテカン塩酸塩	ハイカムチン注射用	小児悪性固形腫瘍	2013年6月	○
II-195	塩野義製薬	プレドニゾロン	プレドニン錠	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2013年9月	○
II-172	CSL ベーリング	人血液凝固第XIII因子	フィブロガミンP静注用	後天性血液凝固第XIII因子欠乏症による出血傾向	2013年9月	○
II-253	ゲルベ・ジャパン	ヨード化ケン油脂肪酸エチルエステル	リピオドール	シアノアクリレート剤を用いた出血性胃静脈瘤の治療	2013年9月	○
II-242	ヤンセンファーマ	メチルフェニデート塩酸塩	コンサータ錠	成人期における注意欠陥/多動性障害(AD/HD)	2013年12月	
II-36	ヤクルト本社	イリノテカン塩酸塩水和物	カンプト点滴静注	膵癌	2013年12月	
II-36	第一三共	イリノテカン塩酸塩水和物	トポテシン点滴静注	膵癌	2013年12月	
II-55	ヤクルト本社	オキサリプラチン	エルプラット点滴静注	膵癌	2013年12月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-194	協和発酵キリン	フルオロウラシル	5-FU注	膀胱癌	2013年12月	
II-281	ファイザー	レボホリナートカルシウム	アイソボリン	膀胱癌に対するフルオロウラシルの抗腫瘍効果の増強	2013年12月	
II-196	武田薬品工業	ブレンツキシマブ・ベドチン	アドセトリス点滴静注用	CD30陽性のホジキンリンパ腫	2014年1月	
II-196	武田バイオ開発センター (武田薬品工業が承認取得)	ブレンツキシマブ・ベドチン	アドセトリス点滴静注用	CD30陽性のホジキンリンパ腫	2014年1月	
II-197	武田薬品工業	ブレンツキシマブ・ベドチン	アドセトリス点滴静注用	CD30陽性の未分化大細胞リンパ腫	2014年1月	
II-197	武田バイオ開発センター (武田薬品工業が承認取得)	ブレンツキシマブ・ベドチン	アドセトリス点滴静注用	CD30陽性の未分化大細胞リンパ腫	2014年1月	
II-44	久光製薬	エストラジオール	エストラーナテープ	性腺機能低下症、性腺摘出、または原発性卵巣不全による低エストロゲン症の治療 (低用量製剤の追加についても承認済)	2014年2月	○
II-279	バイエル薬品	レボノルゲストレル	ミレーナ	過多月経	2014年6月	○
II-277	ノバルティスファーマ	レボドパ/カルビドパ/エンタカポン (配合剤)	スタレボ配合錠L	パーキンソン病(レボドパ・カルビドパ投与において症状の日内変動(wearing-off)が認められる場合)	2014年7月	
II-62	サノフィ	カバジタキセル	ジェブタナ点滴静注	前立腺癌	2014年7月	
II-78	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	心移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(小児)	2014年9月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-79	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	肺移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(小児)	2014年9月	
II-80	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	肝臓移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(小児)	2014年9月	
II-81	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	小腸移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(小児)	2014年9月	
II-82	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	心移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	
II-83	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	肺移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	
II-84	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	肝臓移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	
II-85	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	膵臓移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	
II-86	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	小腸移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-124	協和発酵キリン	ダルベポエチン アルファ(遺伝子組換え)	ネスプ注射液	骨髄異形成症候群に伴う貧血	2014年12月	
II-276	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケプラ錠	成人における部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する単独療法	2015年2月	
II-268	全薬工業	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン注	CD20陽性の低悪性度又は濾胞性のB細胞性非ホジキンリンパ腫に関する維持療法の用法・用量の追加(下記) 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375mg/m ² 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。	2015年5月	
II-32	ブリistol・マイヤーズ	イピリムマブ	ヤーボイ点滴静注液	悪性黒色腫	2015年7月	
II-220	アクテリオンファーマシューティカルズジャパン	ボセンタン水和物	トラクリア錠	強皮症に伴う皮膚潰瘍の予防	2015年8月	
II-30	エア・ウォーター	一酸化窒素	アイノフロー吸入用	肺高血圧を伴う低酸素性呼吸不全の改善(小児)	2015年8月	
II-31	エア・ウォーター	一酸化窒素	アイノフロー吸入用	肺高血圧を伴う低酸素性呼吸不全の改善(成人)	2015年8月	
II-219	アクテリオンファーマシューティカルズジャパン	ボセンタン水和物	トラクリア錠	小児の肺動脈性肺高血圧症(WHO機能分類クラス3及び4に限る)	2015年9月	
II-189	サノフィ	プリマキンリン酸塩	プリマキン錠「サノフィ」	三日熱マラリア及び卵形マラリア(成人)	2016年3月	
II-190	サノフィ	プリマキンリン酸塩	プリマキン錠「サノフィ」	三日熱マラリア及び卵形マラリア(小児)	2016年3月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-254	ユーシービージャパン	ラコサミド	ビムパット	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する抗てんかん薬との併用療法	2016年7月	
II-283	ヤンセンファーマ	レミフェンタニル塩酸塩	アルチバ静注用	全身麻酔の維持における鎮痛(小児)	2016年8月	
II-25	大塚製薬	アリピプラゾール	エビリファイ錠	小児期の自閉スペクトラム症に伴う易刺激性	2016年9月	
II-200	CSL ベーリング	乾燥濃縮人プロトロンビン複合体	ケイセントラ静注用	ビタミンK拮抗薬投与中の患者における、急性重篤出血時、又は重大な出血が予想される緊急を要する手術・処置の施行時の出血傾向の抑制	2017年3月	
II-20	ブリistol・マイヤーズ スクイブ	アバタセプト	オレンシア点滴静注用	多関節に活動性を有する若年性特発性関節炎(既存治療で効果不十分な場合に限る)	2018年2月	
II-266	全薬工業	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン点滴静注 100mg リツキサン点滴静注 500mg	CD20陽性のB細胞性慢性リンパ性白血病	2019年3月	

<第2回開発要請分(11件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-107	MeijiSeikaファルマ	ストレプトマイシン	ストレプトマイシン	<適応菌種> 本剤に感性のマイコバクテリウム属 <適応症> マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス(MAC)症を含む非結核性抗酸菌症	2014年2月	○
II-73	ファイザー	クリンダマイシン	ダラシンS注射液	顎骨周辺の蜂巣炎、顎炎	2014年2月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-163	ノバルティスファーマ	パミドロン酸二ナトリウム	アレディア点滴静注	1. 悪性腫瘍による高カルシウム血症 2. 乳癌の溶骨性骨転移(化学療法、内分泌療法、あるいは放射線療法と併用すること) 3. <u>骨形成不全症</u> (下線部の追加)	2014年5月	○
II-88	ファイザー	メチルプレドニゾロンコハク酸エステルナトリウム	ソル・メドロール	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、ヴェゲナ肉芽腫症、結節性多発動脈炎、Churg-Strauss症候群、大動脈炎症候群等)、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、及び難治性リウマチ性疾患	2014年8月	○
II-203	アストラゼネカ	プロプラノロール塩酸塩	インデラル	<効能・効果> 右心室流出路狭窄による低酸素発作の発症抑制 <当該効能・効果に関連する使用上の注意> ファロー四徴症等を原疾患とする右心室流出路狭窄による低酸素発作を起こす患者に投与すること。	2014年11月	○
II-278	バイエル薬品	レボノルゲストレル	ミレーナ	月経困難症	2014年11月	○
II-178	ファイザー	ヒドロコルチゾンコハク酸エステルナトリウム	①ソル・コーテフ注射用 ②ソル・コーテフ静注用	高用量の新用量 ②に気管支喘息の新効能 ②のパラベンフリーの製剤	2015年5月	○
II-179	ファイザー	ヒドロコルチゾンコハク酸エステルナトリウム	①ソル・コーテフ注射用 ②ソル・コーテフ静注用	小児の新用量 ②に気管支喘息の新効能 ②のパラベンフリーの製剤	2015年5月	○
II-231	中外製薬	ミコフェノール酸 モフェチル	セルセプトカプセル	ループス腎炎	2016年5月	○
II-168	田辺三菱	バルガンシクロビル塩酸塩	バリキサ錠	サイトメガロウイルス感染症のリスクのある小児(固形臓器)移植後のサイトメガロウイルス感染予防	2018年8月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-69	武田テバ薬品株式会社	カンデサルタン シレキセチル	プロプレス錠	小児高血圧症	2019年5月	○

<第3回開発要請分(5件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-290	MSD	組換え沈降B型肝炎ワクチン(酵母由来)	ヘプタバックス-Ⅱ	<p>【効能・効果】 B型肝炎ウイルス母子感染の予防(抗HBs人免疫グロブリンとの併用)(既承認効能・効果)</p> <p>【用法・用量】 通常、0.25mLを1回、生後12時間以内を目安に皮下に注射する。更に、0.25mLずつを初回注射の1か月後及び6か月後の2回、同様の用法で注射する。 (※新生児への投与に関する用法・用量の追加)</p>	2014年3月	○
II-290	化学及血清療法研究所	組換え沈降B型肝炎ワクチン(酵母由来)	ビームゲン	<p>【効能・効果】 B型肝炎ウイルス母子感染の予防(抗HBs人免疫グロブリンとの併用)(既承認効能・効果)</p> <p>【用法・用量】 通常、0.25mLを1回、生後12時間以内を目安に皮下に注射する。更に、0.25mLずつを初回注射の1か月後及び6か月後の2回、同様の用法で注射する。 (※新生児への投与に関する用法・用量の追加)</p>	2014年3月	○
II-87	日本製薬	抗HBs人免疫グロブリン	乾燥HBグロブリン筋注用「ニチヤク」	<p>用法・用量の変更 初回注射量は0.5～1.0mLを筋肉内に注射する。初回注射の時期は生後5日以内とする。なお、生後12時間以内が望ましい。また、追加注射には、体重1kg当たり0.16～0.24mLを投与する。 (下線部追加)</p>	2014年3月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-87	日本血液製剤機構	抗HBs人免疫グロブリン	ヘブスブリン筋注用 抗HBs人免疫グロブリン筋注「日赤」	用法・用量の変更 初回注射量は0.5～1.0mLを筋肉内に注射する。初回注射の時期は生後5日以内とする。なお、 <u>生後12時間以内が望ましい。</u> また、追加注射には、体重1kg当たり0.16～0.24mLを投与する。 (下線部追加)	2014年3月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-87	化学及血清療法研究所	抗HBs人免疫グロブリン	ヘパトセーラ	用法・用量の変更 初回注射量は0.5～1.0mLを筋肉内に注射する。初回注射の時期は生後5日以内とする。なお、 <u>生後12時間以内が望ましい</u> 。また、追加注射には、体重1kg当たり0.16～0.24mLを投与する。 (下線部追加)	2014年3月	○

<第4回開発要請分(3件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み(承認月)	公知申請
II-270	アストラゼネカ	リドカイン塩酸塩	キシロカイン注ポリアンプ	上肢手術における局所(区域)静脈内麻酔	2015年12月	○
II-22	日医工	アミトリプチリン塩酸塩	トリプタノール錠	末梢神経障害性疼痛	2016年2月	○
II-110	サノフィ	スピラマイシン	スピラマイシン錠150万単位「サノフィ」	先天性トキソプラズマ症の発症抑制	2018年7月	

<第5回開発要請分(0件)>

a-1. 承認申請済みのもの (0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

a-2. 治験計画届提出済みのもの(2件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(2件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	要請内容	特記事項
II-215	ファイザー	ベンジルペニシリンベンザチン	現在検討中	注射剤の剤形追加 神経梅毒を除いた、第1期、第2期、早期潜伏性梅毒、後期潜伏性梅毒、感染期間不明な後期梅毒の治療(成人)	承認申請準備中
II-216	ファイザー	ベンジルペニシリンベンザチン	現在検討中	注射剤の剤形追加 神経梅毒を除いた、第1期、第2期、早期潜伏性梅毒、後期潜伏性梅毒、感染期間不明な後期梅毒の治療(小児)	承認申請準備中

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの(7件)

<第1回開発要請分(5件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
II-17	第一三共	アドレナリン	ボスミン注	・0.01%注射液の剤型追加 ・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	2020年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-45	サンド	エタンブトール塩酸塩	エサンブトール錠	肺結核及びその他の結核症の小児の用法・用量の追加	2020年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-45	科研製薬	エタンブトール塩酸塩	エブトール錠	肺結核及びその他の結核症(小児に関する要望)	2020年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-272	第一三共	リファンピシン	リファジンカプセル	肺結核及びその他の結核症の小児の用法・用量の追加	2020年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-272	サンド	リファンピシン	リファンピシンカプセル「サンド」	肺結核及びその他の結核症の小児の用法・用量の追加	2020年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第2回開発要請分(2件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
II-72	ファイザー	クリンダマイシン	ダラシン	トキソプラズマ脳症を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発防止	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-223	ファイザー	ホリナートカルシウム	ロイコボリン	トキソプラズマ脳症を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発防止	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第3回開発要請分(0件)＞

＜第4回開発要請分(0件)＞

＜第5回開発要請分(0件)＞

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

g. その他(1件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	治験計画届提出予定 (予定月)	個別事情
II-183	グラクソ・スミスクライ ン	ピリメタミン	Daraprim	トキソプラズマ脳症を含む重症ト キソプラズマ症の治療および再 発予防	—	平成29年8月、海外で治験届を提出

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの(5件)

<第1回開発要請分(5件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請取り下げ時期	個別事情
II-274	グラクソ・スミスクライン	レチガビン	未定	成人における部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する併用療法	第21回 (平成26年10月10日)	開発企業が第I相治験に着手したが、海外の副作用の発生状況等により試験が中止されたこと、海外で厳しい使用制限がかけられたこと等を踏まえ、要望者より、開発要望が取り下げられた
II-91	フレゼニウスカービジャパン	魚油由来ω3系静注用脂肪製剤	オメガベン	腸管不全(静脈栄養)関連肝障害と栄養状態の改善	第26回 (平成28年2月3日)	海外において腸管不全の適応に対する承認はなく、ガイドラインの記載もないため、第II回要望における検討会議の検討対象外であったことから、要望者より、開発要望が取り下げられた
II-67	KMバイオロジクス株式会社	乾燥濃縮人アンチトロンビンⅢ	アンスロビンP	後天性アンチトロンビン欠乏症における血栓塞栓性合併症(Gestosis Index 6以上の妊娠高血圧症候群に限る)の治療	第36回 (平成30年10月17日)	新たな科学的知見が蓄積されたことや、当該疾患に対する考え方や治療戦略の変化を踏まえ、要望者より開発要望が取り下げられた
II-67	CSL ベーリング	乾燥濃縮人アンチトロンビンⅢ	アンスロビンP	後天性アンチトロンビン欠乏症における血栓塞栓性合併症(Gestosis Index 6以上の妊娠高血圧症候群に限る)の治療	第36回 (平成30年10月17日)	新たな科学的知見が蓄積されたことや、当該疾患に対する考え方や治療戦略の変化を踏まえ、要望者より開発要望が取り下げられた
II-127	ニプロESファーマ株式会社	チオペンタールナトリウム	ラボナール注射用	頭蓋内圧亢進症	第37回 (平成31年2月7日)	要望者において、当該疾患に対する考え方や治療戦略の変化を踏まえた検討が行われた結果、要望者より開発要望が取り下げられた

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

資料 4-4

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅲ回要望)(令和2年8月20日現在)

1. 企業から提出された開発工程表に基づく情報

(単位:件)

	第1～10回開発要請分 (2014～2016年度)	第11回開発要請分 (2017年8月)	第12回開発要請分 (2018年3月)	第13回開発要請分 (2018年8月)	計
承認済み	25	3	1	0	29
承認申請済み	3	0	0	0	3
治験計画届提出済み	2	0	2	0	4
公知申請予定	5	0	0	0	5
治験計画届提出予定	0	0	0	0	0
その他	2	0	0	1	3
合計	37	3	3	1	44

開発要請取り下げ	7	0	0	0	7
----------	---	---	---	---	---

開発要請時期:2014年8月(第1回)、2014年11月(第2回)、2015年5月(第3回)、2015年8月(第4回)、2015年11月(第5回)、2016年2月(第6回)、2016年6月(第7回)、2016年8月(第8回)、2016年11月(第9回)、2017年3月(第10回)、2017年8月(第11回)、2018年3月(第12回)、2018年8月(第13回)

2. 開発工程表の詳細な分類

(単位:件)

a. 承認済みのもの、承認申請済みのもの、治験計画届提出済みのもの

	第1～10回開発要請分 (2014～2016年度)	第11回開発要請分 (2017年8月)	第12回開発要請分 (2018年3月)	第13回開発要請分 (2018年8月)	計
承認済み	25	3	1	0	29
承認申請済み	3	0	0	0	3
治験計画届提出済み	2	0	2	0	4

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの

第1～10回開発要請分 (2014～2016年度)	第11回開発要請分 (2017年8月)	第12回開発要請分 (2018年3月)	第13回開発要請分 (2018年8月)	計
0	0	0	0	0

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの

第1～10回開発要請分 (2014～2016年度)	第11回開発要請分 (2017年8月)	第12回開発要請分 (2018年3月)	第13回開発要請分 (2018年8月)	計
0	0	0	0	0

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの

第1～10回開発要請分 (2014～2016年度)	第11回開発要請分 (2017年8月)	第12回開発要請分 (2018年3月)	第13回開発要請分 (2018年8月)	計
0	0	0	0	0

e. 開発要請後半年以降に公知申請を予定するもの

第1～10回開発要請分 (2014～2016年度)	第11回開発要請分 (2017年8月)	第12回開発要請分 (2018年3月)	第13回開発要請分 (2018年8月)	計
5	0	0	0	5

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの

第1～10回開発要請分 (2014～2016年度)	第11回開発要請分 (2017年8月)	第12回開発要請分 (2018年3月)	第13回開発要請分 (2018年8月)	計
0	0	0	0	0

g. その他

第1～10回開発要請分 (2014～2016年度)	第11回開発要請分 (2017年8月)	第12回開発要請分 (2018年3月)	第13回開発要請分 (2018年8月)	計
2	0	0	1	3

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの

第1～10回開発要請分 (2014～2016年度)	第11回開発要請分 (2017年8月)	第12回開発要請分 (2018年3月)	第13回開発要請分 (2018年8月)	計
7	0	0	0	7

3. 各医薬品の開発工程表の概要

a-0. 承認済みのもの(29件)

<第1回開発要請分(2件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-①-13	ノバルティス ファーマ	アルテメテル/ルメファントリン	リアメット配合錠	マラリア(成人)	2016年12月	
Ⅲ-①-14	ノバルティス ファーマ	アルテメテル/ルメファントリン	リアメット配合錠	マラリア(小児)	2016年12月	

<第2回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-①-44	ブリistol・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	胃癌に対する1週間間隔投与の用法・用量の追加	2015年9月	○

<第3回開発要請分(7件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-①-34	高田製薬	コルヒチン	コルヒチン錠「タカタ」	家族性地中海熱	2016年9月	○
Ⅲ-①-54	田辺三菱製薬	バルガンシクロビル塩酸塩	バリキサ錠	サイトメガロウイルス感染症のリスクのある臓器移植後のサイトメガロウイルス感染予防・発症抑制(成人)	2016年8月	○
Ⅲ-①-21	中外製薬	オセルタミビルリン酸塩	タミフルドライシロップ	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症(新生児、乳児)	2017年3月	○
Ⅲ-①-69	EAファーマ	ポリエチレングリコール	モビコール配合内用剤	慢性便秘症	2018年9月	○
Ⅲ-①-18	グラクソ・スミスクライン	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注用	既存治療で効果不十分又は既存治療が適さない神経因性膀胱による尿失禁	2019年12月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-①-19	グラクソ・スミスクライン	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注用	既存治療で効果不十分又は既存治療が適さない過活動膀胱における尿意切迫感、頻尿及び切迫性尿失禁	2019年12月	
Ⅲ-①-41	大塚製薬	トルバプタン	サムスカ錠	抗利尿ホルモン不適合分泌症候群(SIADH)における低ナトリウム血症の改善	2020年6月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
------	-----	-----	-----	------	------	------

<第4回開発要請分(2件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請												
Ⅲ-①-26	中外製薬	カペシタビン	ゼローダ錠	直腸癌における補助化学療法	2016年8月	○												
Ⅲ-①-61	大塚製薬	ブスルファン	ブスルフェクス点滴静注用	<p>【用法・用量】他の抗悪性腫瘍薬との併用において、成人にはA法又はB法、小児にはC法を使用する。なお、患者の状態により適宜減量する。</p> <p>成人</p> <p>A法：ブスルファンとして1回 0.8mg/kgを2時間かけて点滴静注する。本剤は6時間毎に1日4回、4日間投与する。</p> <p>B法：ブスルファンとして1回 3.2 mg/kgを3時間かけて点滴静注する。本剤は1日1回、4日間投与する。</p> <p>C法：ブスルファンとして以下の体重別の投与量を2時間かけて点滴静注する。本剤は6時間毎に1日4回、4日間投与する。</p> <table border="0"> <tr> <td>実体重</td> <td>本剤投与量 [mg/kg]</td> </tr> <tr> <td>9kg未満</td> <td>1.0</td> </tr> <tr> <td>9kg以上16kg未満</td> <td>1.2</td> </tr> <tr> <td>16kg以上23kg以下</td> <td>1.1</td> </tr> <tr> <td>23kg超34kg以下</td> <td>0.95</td> </tr> <tr> <td>34kg超</td> <td>0.8</td> </tr> </table>	実体重	本剤投与量 [mg/kg]	9kg未満	1.0	9kg以上16kg未満	1.2	16kg以上23kg以下	1.1	23kg超34kg以下	0.95	34kg超	0.8	2018年9月	○
実体重	本剤投与量 [mg/kg]																	
9kg未満	1.0																	
9kg以上16kg未満	1.2																	
16kg以上23kg以下	1.1																	
23kg超34kg以下	0.95																	
34kg超	0.8																	

<第6回開発要請分(7件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-13	CSL ベーリング	乾燥濃縮人 C1-インアクチベーター	ベリナートP静注用500	侵襲を伴う処置による遺伝性血管性浮腫の急性発作の発症抑制	2017年3月	○
Ⅲ-①-74	全薬工業	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン注	慢性特発性血小板減少性紫斑病	2017年6月	○

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-24	第一三共	アセチルコリン塩化物	オビソート注射用	冠攣縮性狭心症が疑われる患者に対し、診断を確定するために施行する冠攣縮薬物誘発負荷試験時の冠動脈内投与	2017年8月	○
Ⅲ-①-22.1 Ⅲ-①-22.2	日本イーライリリー	オランザピン	ジプレキサ錠、ジプレキサ細粒、ジプレキサザイデイス錠	抗悪性腫瘍剤投与に伴う消化器症状(悪心、嘔吐)	2017年12月	○
Ⅲ-③-25	共和薬品工業株式会社	ドブタミン塩酸塩	ドブトレックス注射液 ドブトレックスキット点滴静注用	当該薬剤を投与することにより、心臓の交感神経を刺激し、心筋収縮力を高め、潜在的な循環動態異常を顕在化させる	2018年9月	○
Ⅲ-③-10	アスペンジャパン	アザチオプリン	イムラン錠	自己免疫性肝炎	2019年2月	○
Ⅲ-③-10	田辺三菱製薬	アザチオプリン	アザニン錠	自己免疫性肝炎	2019年2月	○

＜第7回開発要請分(3件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-1.1 Ⅲ-③-1.2	ヤンセンファーマ	ボルテゾミブ	ベルケイド注射用	原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫	2018年3月	○
Ⅲ-③-11 Ⅲ-③-26	第一三共	インドシアニングリーン	ジアグノグリーン注射用	血管及び組織の血流評価	2018年7月	○
Ⅲ-①-80	あすか製薬	レボチロキシナトリウム	チラーヂンS静注液200 μ g	粘液水腫性昏睡、重症甲状腺機能低下症	2020年1月	

＜第8回開発要請分(1件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-④-4	ギリアド・サイエンシズ	ソホスブビル	ソバルディ錠	次のいずれかのC型慢性肝炎又はC型代償性肝硬変におけるウイルス血症の改善 1. セログループ2(ジェノタイプ2)の患者 2. セログループ1(ジェノタイプ1)又はセログループ2(ジェノタイプ2)のいずれにも該当しない患者 (下線部が今回追加部分)	2017年3月	

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
------	-----	-----	-----	------	------	------

<第9回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-④-19	日本メジフィックス	フルデオキシグルコース(18F)	FDGスキャン注	大型血管炎の診断における炎症部位の可視化	2018年2月	○

<第10回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-54 Ⅲ-④-22	MSD株式会社	テモゾロミド	テモダールカプセル テモダール点滴静注用	再発・難治性ユーイング肉腫	2019年2月	○

<第11回開発要請分(3件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-7	株式会社ヤクルト本社	オキサリプラチン	エルプラット点滴静注液50mg・同100mg・同200mg エルプラット点滴静注液50mg・同100mg・同200mg	小腸癌	2018年9月	○
Ⅲ-③-8	協和発酵キリン株式会社	フルオロウラシル	5-FU注250mg、5-FU注1000mg	小腸癌	2018年9月	○
Ⅲ-④-1	ファイザー株式会社	レボホリナートカルシウム	アイソボリン点滴静注用25 mg アイソボリン点滴静注用100 mg	小腸癌	2018年9月	○

<第12回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-12	ファイザー株式会社	メトレキサート	リウマトレックスカプセル2mg	局所療法で効果不十分な尋常性乾癬、関節症性乾癬、膿疱性乾癬、乾癬性紅皮症	2019年3月	○

<第13回開発要請分(0件)>

a-1. 承認申請済みのもの(3件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
Ⅲ-①-76.1 Ⅲ-①-76.2	全薬工業	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン注	未治療のCD20陽性B細胞性非ホジキンリンパ腫治療に用いる場合の希釈調製濃度を海外の希釈調製濃度と統一し(用法・用量の変更)、90分間点滴静注に関する用法・用量に関連する使用上の注意を追加。	

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(1件)>

Ⅲ-④-3	シャイアー・ジャパン	ミダゾラム	ブコラム口腔用液 2.5mg/5mg/7.5mg/10mg	(効能・効果) てんかん重積状態 (用法・用量) ミダゾラムとして、生後3ヵ月以上1歳未満には2.5mg(生後6ヵ月以下は医療機関内での投与に限定)、1歳以上5歳未満には5mg、5歳以上10歳未満には7.5mg、10歳以上18歳未満には10mgを口腔内(歯茎と頬の間)に緩徐に注入する。なお、必要に応じて、1回投与量を半量に分割して口腔内の左右に注入することもできる。	-
-------	------------	-------	----------------------------------	---	---

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
------	-----	-----	-----	------	------

Ⅲ-①-72 Ⅲ-①-72.2 Ⅲ-①-72.3	帝人ファーマ	ランレオチド酢酸塩	ソマチユリン皮下注	甲状腺刺激ホルモン産生下垂体腫瘍	
--------------------------------	--------	-----------	-----------	------------------	--

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

<第13回開発要請分(0件)>

a-2. 治験計画届提出済みのもの(4件)

<第1回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅲ-①-11	シャイアー・ジャパン	テデュグルチド(遺伝子組換え)	未定	短腸症候群	合併により開発企業名が変更

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(0件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
------	-----	-----	-----	------	------

<第7回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅲ-④-21	シャイアー・ジャパン	recombinant human parathyroid hormone	未定	副甲状腺機能低下症	

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(2件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅲ-②-6.7	全薬工業株式会社	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン点滴静注 100mg リツキサン点滴静注 500mg	腎移植における抗体関連型拒絶反応の治療	
Ⅲ-②-8.9	全薬工業株式会社	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン点滴静注 100mg リツキサン点滴静注 500mg	抗ドナー抗体陽性腎移植における術前脱感作	

<第13回開発要請分(0件)>

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(0件)>

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

<第13回開発要請分(0件)>

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(0件)>

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

<第13回開発要請分(0件)>

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(0件)>

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

<第13回開発要請分(0件)>

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの(5件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(3件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
III-①-42	丸石製薬	ニトロプルシドナトリウム水和物	ニトロプロ持続静注液	うっ血性心不全の治療(小児)	2020年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
III-①-43	丸石製薬	ニトロプルシドナトリウム水和物	ニトロプロ持続静注液	高血圧性緊急症の治療(小児)	2020年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
III-①-60	大塚製薬	ブスルファン	ブスルフェクス点滴静注用	小児の用法用量に関して1日1回投与の追加	2020年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
III-②-2	日本新薬	三酸化ヒ素	トリセノックス注	未治療の急性前骨髄球性白血病	2020年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
------	-----	-----	-----	------	-----------------	------	---------

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
Ⅲ-④-20	中外製薬株式会社	ペバシズマブ(遺伝子組換え)	アバステン点滴静注用	卵巣癌(1回10mg/kg(体重)を2週間間隔で投与する用法用量の追加)	2020年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

<第13回開発要請分(0件)>

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの(0件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(0件)>

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

<第13回開発要請分(0件)>

g. その他(3件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅲ-③-23	日本歯科薬品	メピバカイン塩酸塩	スキャンドネストカートリッジ	歯科領域における伝達麻酔	使用実態調査結果提出

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅲ-①-78	全薬工業	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン注	既存治療で効果不十分なループス腎炎	追加使用実態調査実施中

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

<第13回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅲ-③-19	サノフィ株式会社	フルダラビンリン酸エステル	フルダラ静注用50 mg	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	使用実態調査実施中

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの(7件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(5件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請取り下げ時期	個別事情
Ⅲ-①-3	アツヴィ	cisatracurium besylate	Nimbex	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。(成人)	第25回 (平成27年10月14日)	開発要請先企業の開発権利等の状況に鑑み、要請の取り下げが了承された。
Ⅲ-①-4	アツヴィ	cisatracurium besylate	Nimbex	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。(小児)	第25回 (平成27年10月14日)	開発要請先企業の開発権利等の状況に鑑み、要請の取り下げが了承された。
Ⅲ-①-3	グラクソ・スミスクライン	cisatracurium besylate	Nimbex	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。(成人)	第27回 (平成28年5月18日)	国内の医療現場における類似薬の使用状況等を踏まえ、要望者より、開発要望が取り下げられた。
Ⅲ-①-4	グラクソ・スミスクライン	cisatracurium besylate	Nimbex	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。(小児)	第27回 (平成28年5月18日)	国内の医療現場における類似薬の使用状況等を踏まえ、要望者より、開発要望が取り下げられた。
Ⅲ-①-12	デンツプライシロナ	アーティカイン塩酸塩・アドレナリン酒石酸水素塩	未定	歯科領域における浸潤麻酔又は伝達麻酔	第32回 (平成29年8月23日)	本邦における当該製品の他社における開発状況等を踏まえ、要望者より、開発要望が取り下げられた。

<第4回開発要請分(0件)>

＜第5回開発要請分(1件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請取り下げ時期	個別事情
Ⅲ-②-10	セルジーン	レナリドミド水和物	レブラミドカプセル	再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫	第39回 (令和元年8月26日)	当該疾患に関する現在の治療環境等を考慮して改めて検討を行った結果、要望者より、開発要望が取り下げられた。

＜第6回開発要請分(1件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請取り下げ時期	個別事情
Ⅲ-②-3.1 Ⅲ-②-3.2	ムンディファーマ	Cytarabine liposomal	DepoCyt	悪性リンパ腫に伴う髄膜播種	第29回 (平成28年11月16日)	開発要請先企業の開発権利等の状況に鑑み、要請の取り下げが了承された。

＜第7回開発要請分(0件)＞

＜第8回開発要請分(0件)＞

＜第9回開発要請分(0件)＞

＜第10回開発要請分(0件)＞

＜第11回開発要請分(0件)＞

＜第12回開発要請分(0件)＞

＜第13回開発要請分(0件)＞

資料 4-5

企業から提出された開発工程表の概要等(第IV回要望)(令和2年8月20日現在)

(単位:件)

	第1～5回開発要請分 (2016～2017年度)	第6～8回開発要請分 (2018年度分)	第9～11回開発要請分 (2019年度分)	第12回開発要請分 (2020年6月)	計
承認済み	5	2	0	0	7
承認申請済み	0	1	0	0	1
治験計画届提出済み	2	1	0	0	3
公知申請予定	3	5	6	1	15
その他	0	0	4	0	4
合計	10	9	10	1	30
開発要請取り下げ	0	0	0	0	0

a-0. 承認済みのもの（7件）

＜第1回開発要請分(2件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
IV-18	MSD株式会社	リバビリン	レベトールカプセル	ソホスビルとの併用による次のいずれかのC型慢性肝炎又はC型代償性肝硬変におけるウイルス血症の改善 (1)セログループ2(ジェノタイプ2)の患者 (2)セログループ1(ジェノタイプ1)又はセログループ2(ジェノタイプ2)のいずれにも該当しない患者 (下線部が今回追加部分)	2017年3月	
IV-18	中外製薬株式会社	リバビリン	コベガス錠	ソホスビルとの併用による以下のいずれかのC型慢性肝炎又はC型代償性肝硬変におけるウイルス血症の改善 (1)セログループ2(ジェノタイプ2)の患者 (2)セログループ1(ジェノタイプ1)又はセログループ2(ジェノタイプ2)のいずれにも該当しない患者 (下線部が今回追加部分)	2017年3月	

＜第2回開発要請分(0件)＞

＜第3回開発要請分(2件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
IVS-2 IVS-7	大正製薬株式会社	タウリン	タウリン散98%「大正」	ミトコンドリア脳筋症・乳酸アシドーシス・脳卒中様発作(MELAS)症候群における脳卒中様発作の抑制	2019年2月	
IV-19	日本新薬株式会社	Defibrotide	デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群 (肝中心静脈閉塞症)	2019年6月	

<第4回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
IV-1	クリニジェン株式会社	ホスカルネットナトリウム水和物	点滴静注用ホスカビル注 24mg/mL	造血幹細胞移植後ヒトヘルペスウイルス 6 脳炎	2019年3月	○

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
IV-46	全薬工業株式会社	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン点滴静注100mg、同500mg	後天性血栓性血小板減少性紫斑病	2020年2月	○

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
IV-66	大塚製薬株式会社	ブスルファン	ブスルフェクス点滴静注用60mg	悪性リンパ腫における自家造血幹細胞移植の前治療	2020年3月	○

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

a-1. 承認申請済みのもの(1件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(0件)>

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
IVS-15	ノバルティスファーマ株式会社	オクトレオチド酢酸塩	サンドスタチン皮下注用50 μg, 同100μg	ジアゾキンド不応性先天性高インスリン血症に伴う低血糖症状の改善	○

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

a-2. 治験計画届提出済みのもの(3件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
IV-27	藤本製薬	ケノデオキシコール酸	未定	脳髄黄色腫症	

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
IV-12	マルホ株式会社	メロニダゾール	ロゼックスゲル0.75%	酒さの炎症性皮疹(丘疹・膿疱)及び紅斑	

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(0件)>

<第7回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
IV-29	ファイザー株式会社	抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリン	未定	効能・効果: 中等症以上の再生不良性貧血 用法・用量: 通常、1日1回体重1 kgあたり抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリン抗体として40 mgを緩徐に点滴静注する。投与期間は4日間とする。	

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの(1件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(0件)>

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(0件)>

<第11回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
IV-59	一般社団法人日本血液製剤機構	乾燥人フィブリノゲン	フィブリノゲンHT静注用1g「JB」	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	2021年9月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

<第12回開発要請分(0件)>

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの(14件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(2件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
IV-25	中外製薬株式会社	カペシタビン	ゼローダ錠	腓神経内分泌腫瘍	2020年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
IV-26	MSD株式会社	テモゾロミド	テモダールカプセル	腓神経内分泌腫瘍	2020年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
IVS-8	中外製薬株式会社	ベバシズマブ(遺伝子組換え)	アバスチン点滴静注用 100mg/4mL アバスチン点滴静注用 400mg/16mL	脳放射線壊死に起因する脳浮腫	2021年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第6回開発要請分(5件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
IV-48	サノフィ株式会社	フルダラビンリン酸エステル	フルダラ静注用50 n	再発・難治性急性骨髄性白血病(成人)	未定	WGで検討中	使用実態調査実施中
IV-50	中外製薬株式会社	レノグラスチム(遺伝子組換え)	ノイトロジン注50 μ g, 同注100 μ g, 同注250 μ g	再発・難治性急性骨髄性白血病(小児)	未定	WGで検討中	使用実態調査実施中
IV-50	協和キリン株式会社	フィルグラスチム(遺伝子組換え)	グラン注射液75、同150、同M300 グランシリンジ75、同150、同M300	再発・難治性急性骨髄性白血病(小児)	未定	WGで検討中	使用実態調査実施中
IV-53	中外製薬株式会社	レノグラスチム(遺伝子組換え)	ノイトロジン注50 μ g, 同注100 μ g, 同注250 μ g	再発・難治性急性骨髄性白血病(成人)	未定	WGで検討中	使用実態調査実施中
IV-53	協和キリン株式会社	フィルグラスチム(遺伝子組換え)	グラン注射液75、同150、同M300 グランシリンジ75、同150、同M300	再発・難治性急性骨髄性白血病(成人)	未定	WGで検討中	使用実態調査実施中

＜第7回開発要請分(0件)＞

＜第8回開発要請分(0件)＞

＜第9回開発要請分(3件)＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 (予定月)	個別事情	WGの検討状況
IV-30	協和キリン株式会社	マイトマイシンC	マイトマイシン注射液 2 mg マイトマイシン注射液 10 mg	【効能・効果】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。 【用法・用量】線維柱帯切除術(濾過手術)、緑内障治療用インプラントを用いたチューブシャント手術施行時に、各患者に注射用粉末2 mg 1本を蒸留水で上限を0.5 mg/mL(0.05%)とする濃度に希釈し、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用いる。	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
IV-68	日本イーライリリー株式会社	ゲムシタピン塩酸塩	ジェムザール注射液200mg、同注射	悪性軟部腫瘍	2021年2月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
IV-67	サノフィ株式会社	ドセタキセル水和物	タキソテール点滴静注80mg タキソテール点滴静注20mg ワンタキソテール点滴静注 20mg/1mL ワンタキソテール点滴静注	悪性軟部腫瘍	2020年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第10回開発要請分(1件)＞

IV-51 IV-52	中外製薬株式会社	ミコフェノール酸 モフェチル	セルセプトカプセル 250 セルセプト懸濁用 散31.8%	造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制	2020年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
----------------	----------	-------------------	--	-----------------------	----------	--------	--------------

＜第11回開発要請分(1件)＞

IV-71	富士製薬工業株式会社	トレチノイン	ベサノイドカプセル 10mg	急性前骨髄球性白血病	2021年1月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
-------	------------	--------	-------------------	------------	---------	--------	--------------

＜第12回開発要請分(1件)＞

IV-57	太陽ファルマ株式会社	グラニセトロン塩酸塩	カイトリル注1mg カイトリル注3mg カイトリル点滴静注バッグ3mg/50mL カイトリル点滴静注バッグ3mg/100mL	術後の悪心、嘔吐	2021年2月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
-------	------------	------------	---	----------	---------	--------	--------------

g. その他(4件)

<第1回開発要請分(0件)>

<第2回開発要請分(0件)>

<第3回開発要請分(0件)>

<第4回開発要請分(0件)>

<第5回開発要請分(0件)>

<第6回開発要請分(0件)>

<第7回開発要請分(0件)>

<第8回開発要請分(0件)>

<第9回開発要請分(0件)>

<第10回開発要請分(4件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
IV-44	ファイザー株式会社	ソマトロピン(遺伝子組換え)	ジェトロピンゴークイック注用 12mg, 同5.3mg, ジェトロピンTC 注用12mg, 同 5.3mg	プラダーウィリー症候群における体組成改善(成人)	治験準備中
IV-45	ファイザー株式会社	ソマトロピン(遺伝子組換え)	ジェトロピンゴークイック注用 12mg, 同5.3mg, ジェトロピンTC 注用12mg, 同 5.3mg	プラダーウィリー症候群における体組成改善(小児)	治験準備中
IV-60	ファイザー株式会社	ダニ媒介脳炎ウイルスワクチン(一般名未定)	未定	ダニ媒介脳炎の予防(成人)	治験準備中
IV-61	ファイザー株式会社	ダニ媒介脳炎ウイルスワクチン(一般名未定)	未定	ダニ媒介脳炎の予防(小児)	治験準備中

<第11回開発要請分(0件)>

<第12回開発要請分(0件)>

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議での検討結果を受けて
開発企業の募集を行った医薬品のリスト(令和2年8月20日時点)

- 下表の医薬品については、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で医療上の必要性が高いという評価を得て、開発企業の募集を行った医薬品のリストです。
- 開発企業の募集又は開発要請の取扱いについては、「開発要請先企業の指定の考え方について」(参考資料4-2)に基づいて決定しています。

<第 I 回要望募集>

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	フェニル酪酸ナトリウム	尿素サイクル異常症	シミックホールディングス(株)(承認後、オーファンバシフィック(株)へ承継)	承認済
2	デクスラゾキサソ	アントラサイクリン系薬剤静脈内投与による血管外漏出	キッセイ薬品工業(株)	承認済
3	ベタイン	ホモシスチン尿症	(株)レクメド	承認済
4	メトニダゾール	静注剤の剤形追加、嫌気性菌感染症、アメーバ赤痢	ファイザー(株)	承認済
5	ホメピゾール	エチレングリコール中毒、及びメタノール中毒の治療	武田薬品工業(株)	承認済
6	ニチシノン	チロシン血症 I 型	アステラス製薬(株)	承認済
7	メチレンブルー	薬剤性のメトヘモグロビン血症	第一三共(株)	承認済
8	コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	注射剤の剤形追加 <適応菌種> 多剤耐性緑膿菌(MDRP)、多剤耐性アシネトバクター属、その他の多剤耐性グラム陰性菌 <適応症> 多剤耐性グラム陰性菌による各種感染症	グラクソ・スミスクライン(株)	承認済
9	プロゲステロン	経腔剤の剤形追加、体外受精・胚移植(IVF-ET)の際の黄体補充	富士製薬工業(株)	承認済
10	亜セレン酸ナトリウム	セレン欠乏症により生じる重篤な視力障害、神経障害、心筋障害、毛髪変化の改善	藤本製薬(株)	承認済
11	ハイドロモルフォン塩酸塩	癌性疼痛の軽減	第一三共(株) (承認は第一三共プロファーマ(株))	承認済
12	カルグルミック酸	N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症	(株)ポーラファルマ	承認済
13	プロゲステロン	経口剤の剤形追加、子宮非摘出閉経女性におけるホルモン補充療法(HRT)の補助	富士製薬工業(株)	承認申請準備中
14	モルヒネ塩酸塩水和物	中等度から高度の疼痛をともなう各種癌における鎮痛及び難治性慢性疼痛に対する鎮痛における体内植え込み型薬剤投与ポンプを用いた脊髄くも膜下腔内持続投与	武田薬品工業(株) 日本メドトロニック(株) ※	未公表
15	アルデスロイキン	悪性黒色腫	あり(企業名未公表)	未公表
16	安息香酸ナトリウム・フェニル酢酸ナトリウム配合剤	尿素サイクル異常症患者における急性発作時の血中アンモニア濃度の低下	武田薬品工業(株)	未公表
17	リロナセプト	12歳以上のクリオピリン関連周期熱症候群(cryopyrin-associated periodic syndrome、CAPS)の中の、家族性寒冷蕁麻疹症(familial cold autoinflammatory syndrome、FCAS)およびMuckle-Wells 症候群(MWS)における炎症症状の軽減	あり(企業名未公表)	未公表
18	コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	吸入用製剤の剤形追加、腭嚢胞線維症の気道感染症	あり(企業名未公表)	未公表
19	ナフシリン	ペニシリナーゼ産生ブドウ球菌による感染症	あり(企業名未公表)	未公表

※令和2年2月12日開催の第40回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議にて、日本メドトロニック社にて医療機器開発として進めることについて了承が得られ、日本メドトロニック社により申請済。

<第Ⅱ回要望募集>

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	ヒスタミン二塩酸塩	アレルギー皮膚テスト実施時の陽性コントロールとして使用する(成人)	日本たばこ産業(株) 鳥居薬品(株)	承認済
2	ヒスタミン二塩酸塩	アレルギー皮膚テスト実施時の陽性コントロールとして使用する(小児)	日本たばこ産業(株) 鳥居薬品(株)	承認済
3	メサコリン塩化物	気管支喘息の診断(成人)	(株)三和化学研究所	承認済
4	メサコリン塩化物	気管支喘息の診断(小児)	参天製薬(株)	承認済
5	メチロシン	褐色細胞腫	小野薬品工業(株)	承認済
6	カルグルミック酸	イソ吉草酸血症、メチルマロン酸血症、プロピオン酸血症における高アンモニア血症の改善	(株)ポーラファルマ	承認済
7	スルファジアジン	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	ノバルティスファーマ(株)	開発計画検討中
8	ジメチルスルホキシド	間質性膀胱炎	杏林製薬(株)	承認申請中
9	ペガデマラーゼ	アデノシン・デアミナーゼ(ADA)欠損症に対する酵素補充療法	帝人ファーマ(株)	承認済
10	イブプロフェン リジン塩	早産児動脈管開存症	千寿製薬(株)	承認済
11	3-ヨードベンジルグアニジン ^(131I)	神経芽腫	富士フィルム富山化学株式会社	開発計画検討中
12	3-ヨードベンジルグアニジン ^(131I)	褐色細胞腫	富士フィルム富山化学株式会社	承認申請準備中
13	3-ヨードベンジルグアニジン ^(131I)	甲状腺髄様癌	富士フィルム富山化学株式会社	開発計画検討中
14 15	チオテパ	下記疾患の自家造血幹細胞移植における前治療 悪性リンパ腫(ブスルファンとの併用) 下記疾患の自家造血幹細胞移植における前治療 小児固形癌(メルファランとの併用)	大日本住友製薬(株)	承認済 承認済

<第Ⅲ回要望募集>

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	ヒト合成セクレチン	ガストリノーマ診断のためのガストリン分泌刺激	あり(企業名未公表) あり(企業名未公表)	未公表 未公表
2	ヒト合成セクレチン	膵外分泌機能検査における膵液分泌刺激	あり(企業名未公表) あり(企業名未公表)	未公表 未公表
3	アナキンラ	クリオピリン関連周期性症候群	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ.) (国内代理人:株式会社IDEC)	治験準備中
4	イベルメクチン	アタマジラミ症(小児)	科研製薬株式会社	治験準備中

<第IV回要望募集>

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	Carbidopa/levodopa, 1:4(徐放性製剤)	パーキンソン病の治療	大原薬品工業(株)	開発準備中
2	ヘリウム酸素混合ガス	気道狭窄に伴う呼吸不全の改善	エア・ウォーター(株)	治験実施中
3	ミダゾラム	麻酔前投薬	なし	
4	β -グルクロニダーゼ	ムコ多糖症Ⅶ型に見られる諸症状の改善	アミカス・セラピューティクス株式会社	治験実施中
5	コール酸	先天性胆汁酸代謝異常症	株式会社レクメド	治験実施中
6	アナキンラ	成人スチル病(成人スティル病)	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ.) (国内代理人:株式会社IDEC)	治験準備中
7	アナキンラ	全身型若年性特発性関節炎	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ.) (国内代理人:株式会社IDEC)	治験準備中
8	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	なし	

※開発に向けた検討依頼品目について

○ 下表の医薬品については、開発企業の募集と併せて、開発に向けた検討依頼先となる企業に対して、その検討を依頼した医薬品のリストです。

<第IV回要望募集>

No.	医薬品名	対象疾病	検討依頼先企業	開発状況
1	Carbidopa/levodopa, 1:4(徐放性製剤)	パーキンソン病の治療	第一三共(株)	検討中
2	Carbidopa/levodopa, 1:4(徐放性製剤)	パーキンソン病の治療	MSD(株)	検討中
3	ミダゾラム	麻酔前投薬	丸石製薬株式会社	検討中
4	ミダゾラム	麻酔前投薬	アルフレッサファーマ株式会社	検討中
5	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	丸石製薬株式会社	公知申請予定
6	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	富士製薬工業株式会社	検討中
7	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	サンド株式会社	検討中

(薬機法における特定用途医薬品に関する記述 (第77条の2第3項))

- 一 その用途が厚生労働大臣が疾病の特性その他を勘案して定める区分に属する疾病の診断、治療又は予防であつて、当該用途に係る医薬品、医療機器又は再生医療等製品に対する需要が著しく充足されていないと認められる物であること。
- 二 申請に係る医薬品、医療機器又は再生医療等製品につき、製造販売の承認が与えられるとしたならば、その用途に関し、特に優れた使用価値を有することとなる物であること。

省令 (施行規則) において特定用途医薬品の要件を以下のように規定。

イ 既承認医薬品のうち

- 用法・用量の変更により小児の疾病の診断、治療又は予防に用いるもの
- 効能・効果、用法・用量を変更して、薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防に用いるもの

ロ 既承認の医薬品と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が同一性を有すると認められる医薬品のうち、その剤形を当該既承認の医薬品と異ならせることにより、小児の疾病の診断、治療又は予防に用いるもの

(規則第251条の3第3項第1号)

イ 既に法第14条又は第19条の2の承認を受けている医薬品 (既承認医薬品) のうち

- (1) その用法又は用量を変更して次条1号イの用途に用いることとなるものであること
- (2) その効能、効果、用法又は用量を変更して次条第1号ロの用途に用いることとなること

ロ 既承認の医薬品と有効成分、分量、用法、用量、効能、効果等が同一性を有すると認められる医薬品の内、その剤形を当該既承認の医薬品と異ならせることにより、次条第1号イの用途に用いることとなるものであること

(規則第251条の4)

法77条の2第3項の区分は次の各号に掲げる申請の対象品目に応じてそれぞれ当該各号に掲げるものとする。

- 一 医薬品又は再生医療等製品 次のイ又はロのいずれかに該当するもの
 - イ 小児の疾病の診断、治療又は予防
 - ロ 薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防

特定用途医薬品に指定されることによるメリット

○優先審査の対象

(薬機法第14条第8項)

厚生労働大臣は、第一項の承認の申請に係る医薬品が、希少疾病用医薬品、先駆的医薬品又は特定用途医薬品その他の医療上特にその必要性が高いと認められるものであるときは、当該医薬品についての第二項第三号の規定による審査又は前項の規定による調査を、他の医薬品の審査又は調査に優先して行うことができる。

○研究開発税制と助成の対象

(薬機法第77条の3)

国は、希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器及び希少疾病用再生医療等製品並びにその用途に係る対象者の数が本邦において厚生労働省令で定める人数に達しない特定用途医薬品、特定用途医療機器及び特定用途再生医療等製品の試験研究を促進するのに必要な資金の確保に努めるものとする。

(薬機法第77条の4)

国は、租税特別措置法(昭和三十二年法律第二十六号)で定めるところにより、希少疾病用医薬品、希少疾病用医療機器及び希少疾病用再生医療等製品並びにその用途に係る対象者の数が本邦において厚生労働省令で定める人数に達しない特定用途医薬品、特定用途医療機器及び特定用途再生医療等製品の試験研究を促進するため必要な措置を講ずるものとする。

○再審査期間の付与

(「医療用医薬品の再審査期間について」(令和2年8月31日付け薬生発0831第11号厚生労働省医薬・生活衛生局長通知)再審査期間)

1 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律(昭和35年法律第145号。以下「法」という。)第14条の4第1号に規定する新医薬品の調査期間は次のとおりとし、当該調査期間経過後3月以内に再審査を受けなければならないこと。

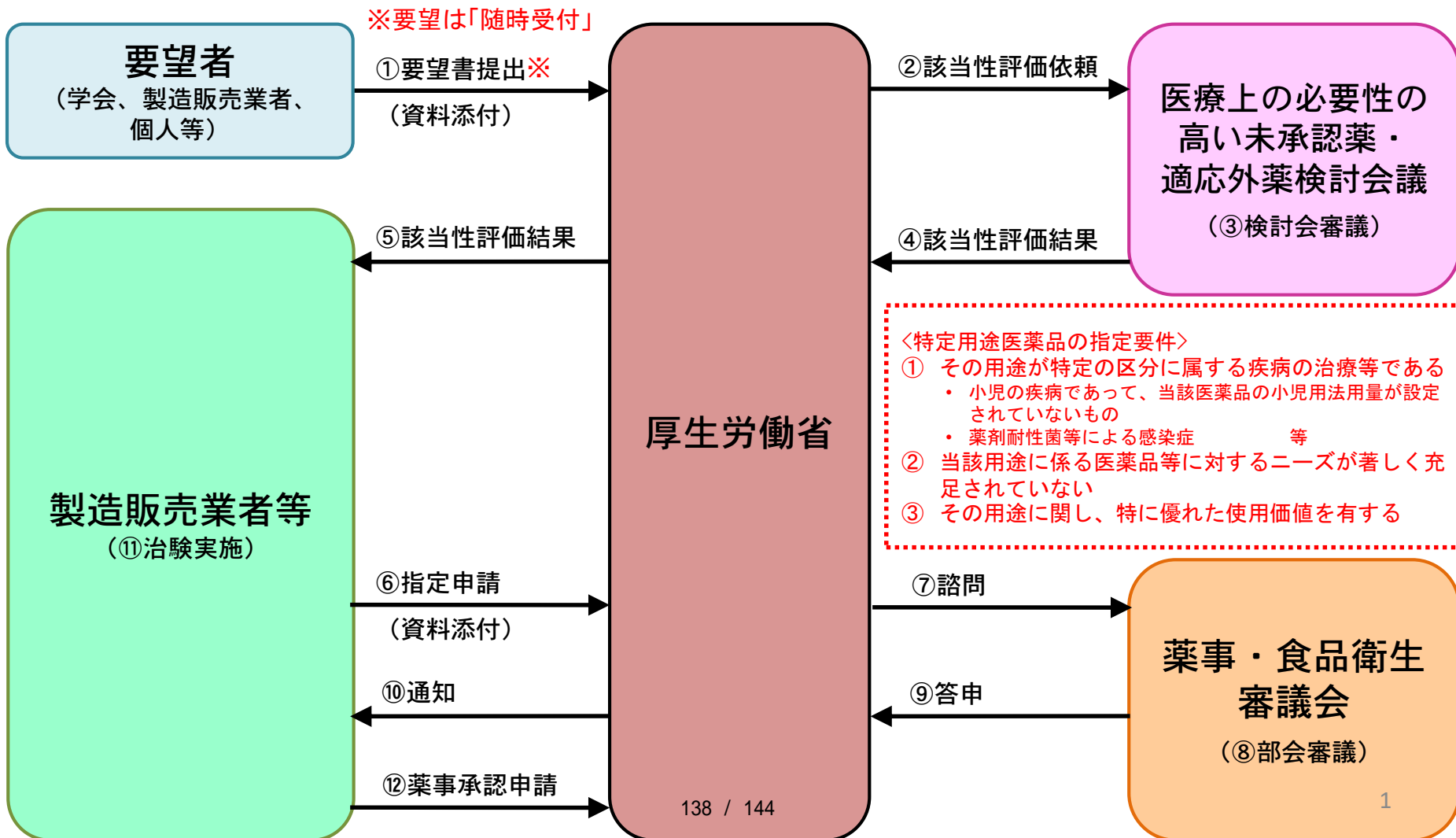
(1) (略)

(2) 以下に該当する新医薬品 6年未満で別に定める期間

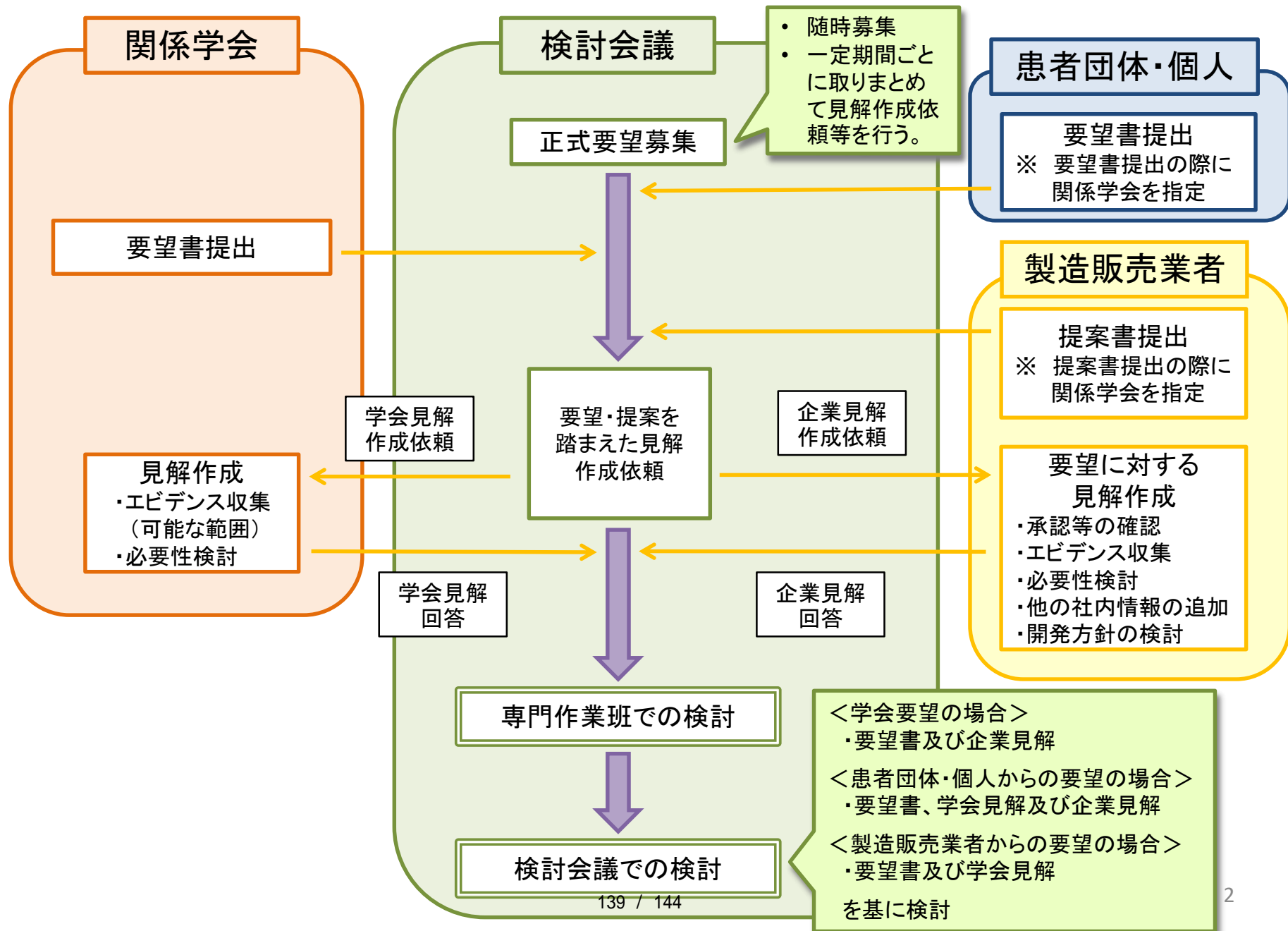
(ア) 特定用途医薬品

(イ) (略)

- 小児の用法・用量が設定されていない医薬品など、医療上のニーズが著しく充足されていない医薬品等について、「**特定用途医薬品**」等として指定する。指定を受けた場合は優先審査等の対象となる。
- 特定用途医薬品等については、現行の希少疾病用医薬品等と同様、試験研究を促進するための必要な資金の確保及び税制上の措置を講じる（その特定の用途に係る患者数が少ないものに限る）。



特定用途医薬品の該当性評価の検討会議における進め方



「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」開催要綱（改訂案）

厚生労働省医政局研究開発振興課
医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

1. 目的

- 国内では承認されていない医薬品や適応（以下「未承認薬・適応外薬」という。）について、
- ① 欧米での承認実績や論文等で公表された優れた試験成績等のエビデンスに基づいて医療上の必要性を評価するとともに、
 - ② 公知申請への該当性及び承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認すること、
 - ③ また、これまでに得られている治験薬のエビデンスに基づき、既存の治療薬がない及び対象とする疾患の重篤性の観点から、人道的見地から実施される治験への該当性について確認すること、
 - ④ 特定の用途における医療上のニーズが著しく充足されていないこと及びその用途の使用価値を評価すること
- 等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発を促進するとともに、新薬の開発を阻害することなく、新たな革新的な新薬による治療機会の改善に資することを目的とする。

2. 検討事項

(1) 医療上の必要性

- ・生命に重大な影響がある疾患である等、適応疾患が重篤であること
- ・当該疾患に係る既存の療法が国内にない等、医療上の有用性があること

のいずれにも該当するか否かを検討する。

(2) 公知申請への該当性及び追加実施が必要な試験

医療上の必要性が高いと評価された未承認薬・適応外薬について、公知申請への該当性及び承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認する。

(3) 人道的見地から実施される治験への制度該当性の確認

新たに開始の要望がある人道的見地から実施される治験について、その制度該当性基準である生命に重大な影響がある重篤な疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない未承認又は適応外の治療薬であることへの該当性を確認する。

(4) 特定用途医薬品への該当性

開発が要望又は提案された特定用途医薬品の候補となる医薬品について、特定用途医薬品の指定基準への該当性を評価する。

(5) その他

製薬企業が開発を行う医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬について、定期的に関係進捗状況を確認する。

その他、必要な事項の検討を行う。

3. 構成員

- 検討会議は、薬物療法に関する医学的・薬学的な学識経験を有する者で構成し、各疾患領域に対応する。
- 検討会議は、構成員のうち1人を座長として選出する。

4. 運営

- 検討会議は、年4回を目途に開催するが、必要に応じて随時開催することができる。
- 検討会議は、知的財産権等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成・公表する。
- 検討会議は、検討事項について具体的な調査を行うため、各疾患領域に係る専門家からなる専

門作業班会議を開催することができる。

5. 庶務

- 検討会議の庶務は医薬・生活衛生局医薬品審査管理課が行い、医政局研究開発振興課及び保険局医療課がこれに協力する。

特定用途医薬品への該当性の基準について（案）

（こちらの基準は、医療上の必要性の評価の基準等の記載に倣って作成）

特定用途医薬品に係る開発の要望があった場合には、要望された医薬品を下記のとおり分類する。

1. 小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの

(1) 対象とする用途に関して開発を行う必要があること

- ア 用法又は用量の変更
- イ 剤形の追加
- ウ ー
- エ 該当しない

(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

- ア 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの（既存の治療法、予防法又は診断法が医薬品を用いるもののみの場合であって、治療法、予防法又は診断法に用いる医薬品として対象とする小児に対する用法及び用量が設定された医薬品がない場合を含む）
- イ 小児にとっての有効性、安全性若しくは肉体的・精神的な患者又は介護者負担の観点から、既存の治療法等より医療上の有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの
- ウ ー
- エ 該当しない

(3) 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

- ア 以下の①及び②の両方を満たすものであること
 - ① 適応疾患が重篤である、又は重篤な疾患に対して支持的に用いるもの
 - ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
- イ ー

- ウ ー
- エ 該当しない

2. 薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの

2-1. 薬剤耐性を有する病原体を対象とした薬剤の場合

(1) 対象となる用途に用いるために開発を行う必要があるもの

- ア 効能又は効果の変更
- イ 用法又は用量の変更
- ウ ー
- エ 該当しない

(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

- ア 以下の①及び②の両方を満たすものであること
 - ① 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する（又は有することとなる可能性がある）病原体を対象とするものであること
 - ② 当該主として用いられている薬剤以外に対象とする病原体による疾患に対して承認された医薬品がないこと
- イ ー
- ウ ー
- エ 該当しない

(3) 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

- ア 以下の①及び②の両方を満たすものであること
 - ① 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと
 - ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
- イ ー
- ウ ー
- エ 該当しない

2-2. 薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤の場合

(1) 対象となる用途に用いるために開発を行う必要があるもの

- ア 用法及び用量の変更
- イ 効能又は効果の変更
- ウ ー
- エ 該当しない

(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

- ア 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあること
- イ 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと
- ウ ー
- エ 該当しない

(3) 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

- ア 以下の①及び②の両方を満たすものであること
 - ① 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと
 - ② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの
- イ ー
- ウ ー
- エ 該当しない

※1 ア、イ、ウのうち複数に該当すると考えられる場合、最も適切と判断されるものに当てはめることとする。

※2 特定用途医薬品への該当性の評価結果は、要望された医薬品の製造販売業者へ通知される。