

「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】

本邦における適応外薬

チオテパ（要望番号；Ⅳ-39） 1

サリドマイド（要望番号；Ⅳ-69） 2

要望番号	IV-39	要望者名	日本リンパ網内系学会
要望された医薬品	一般名	チオテパ	
	会社名	大日本住友製薬株式会社	
要望内容	効能・効果	中枢神経系リンパ腫（原発性およびその他のリンパ腫の中枢神経系浸潤を含む）	
	用法・用量	40 mg/m ² 、1 時間点滴静注	
「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		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ア 〔特記事項〕 中枢神経系リンパ腫（原発性及びその他のリンパ腫の中枢神経系浸潤を含む）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。	
		(2) 医療上の有用性についての該当性 ウ 〔特記事項〕 要望内容について欧米等 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、中枢神経系原発リンパ腫（以下、「PCNSL」）に対する大量メトトレキサート、高用量シタラビン、リツキシマブ（遺伝子組換え）及びチオテパの併用投与（以下、「MATRix レジメン」）は、欧米等において標準的治療の一つに位置付けられていることから、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。 ただし、以下の点等を考慮すると、医療上の有用性が期待できると判断する範囲については、PCNSL に対するチオテパ 30 mg/m² 投与を含む MATRix レジメンに限定することが適切と判断した。 PCNSL 以外の中枢神経系リンパ腫に対する MATRix レジメンについては、欧米等の一部の診療ガイドラインにおいて記載が	

	認められているものの、臨床研究において実施されることが望ましい旨の記載にとどまっていること。 • 海外診療ガイドラインにおいて引用されている PCNSL に対する MATRix レジメンに関する公表論文では、チオテパの投与量は 30 mg/m² と記載されていること。 • MATRix レジメン以外のチオテパを含む併用レジメンについては、海外診療ガイドラインにおいて推奨されている旨の記載が確認されなかったこと。
備 考	

要望番号	IV-69	要 望 者 名	日本骨髄腫学会
要望された医薬品	一 般 名	サリドマイド	
	会 社 名	藤本製薬株式会社	
要 望 内 容	効 能 ・ 効 果	未治療多発性骨髄腫	
	用 法 ・ 用 量	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サイクルは患者の状態に合わせて4～6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200 mgを超えないこと。	
「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		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒ ア 〔特記事項〕 多発性骨髄腫（以下、「MM」）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。 (2) 医療上の有用性についての該当性 ☒ ウ 〔特記事項〕 欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績から、サリドマイドと他の抗悪性腫瘍剤との併用投与は、欧米等において未治療のMMに対する標準的治療の一つに位置付けられている。また、当該併用投与に関する国内臨床試験成績等が報告されており、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、当該併用投与については「ウ」に該当すると判断した。 一方、サリドマイドの単独投与については、欧米等において、未治療のMMに対する治療法として承認及び診療ガイドラインでの記載のいずれも確認されなかったこと等から、「エ」に該当すると判断した。 以上より、医療上の有用性が期待できると判断する範囲は、未治療のMMに対するサリドマイドと他の抗悪性腫瘍剤との併用投与に限定することが適切と判断した。	

備	考	
---	---	--