第 63 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７年５月９日(金)
オンライン会議
（厚生労働省）

議　　事

１．ドラッグ・ロス解消に向けた取組について

２．要望の医療上の必要性に係る検討状況等について

３．開発要請を行った要望に係る検討状況等について

４．要望品目の医療上の必要性について

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

ドラッグ・ロス解消に向けた取組について

資料 2-1　　ドラッグ・ロス解消に向けた取組について
資料 2-2　　令和６年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」について
資料 2-3-1　医療上の必要性に関する専門作業班（WG）の評価　代謝・その他 WG
資料 2-3-2　医療上の必要性に関する専門作業班（WG）の評価　循環器 WG
資料 2-3-3　医療上の必要性に関する専門作業班（WG）の評価　抗菌・抗炎症 WG
資料 2-3-4　医療上の必要性に関する専門作業班（WG）の評価　抗がん WG
資料 2-4　　公募品目の開発に向けた取組について

専門作業班（ＷＧ）の検討状況の概要等

資料 3-1　　要望の医療上の必要性に係る検討状況等について
資料 3-2　　開発要請を行った要望に係る検討状況等について

医療上の必要性に関する専門作業班（WG）の評価

資料 4-1　　小児 WG
資料 4-2　　抗菌・抗炎症 WG
資料 4-3　　抗がん WG

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　　特定用途医薬品への該当性の基準について
参考資料７　　執行部に所属している学会について

以上

検討会議における検討の進め方

資料1

・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（第Ⅰ回 2009.6.18～8.17、第Ⅱ回 2011.8.2～9.30、第Ⅲ回（第一期 2013.8.1～12.27、第二期 2013.12.28～2014.6.1、第三期 2014.6.2～2014.12.31、第四期 2015.1.1～2015.6.30））
・現在は、随時募集で要望を募集している（第Ⅳ回 2015.7.1～）。

○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医薬品。

○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） されている医薬品。

○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であるが、一定の要件を満たしている医薬品。

医療上の必要性の評価基準

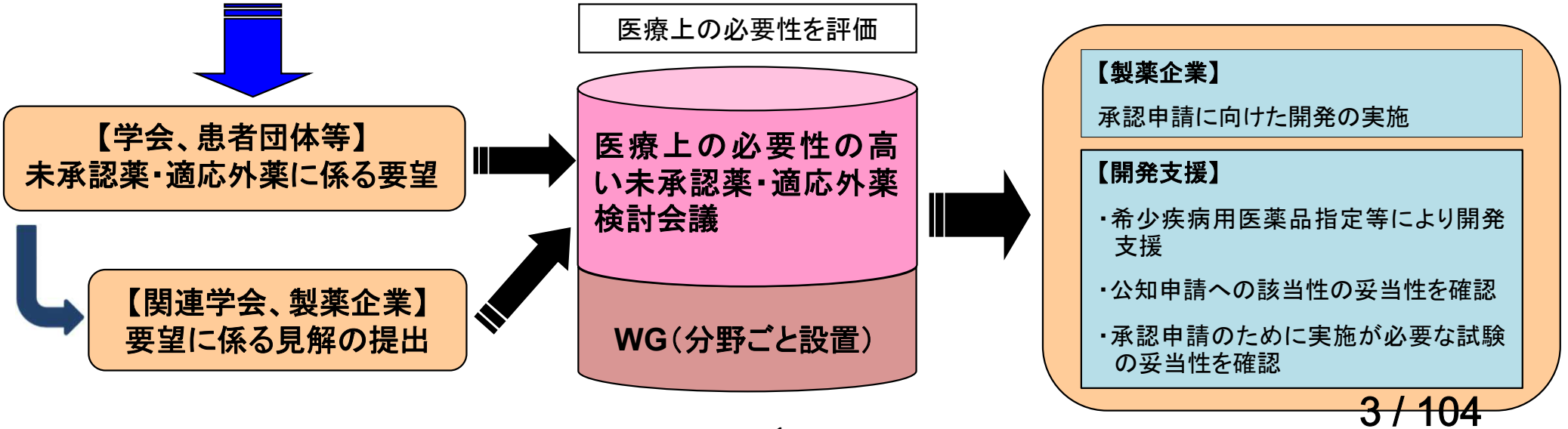
次の（1）及び（2）の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

（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（致死的な疾患）
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

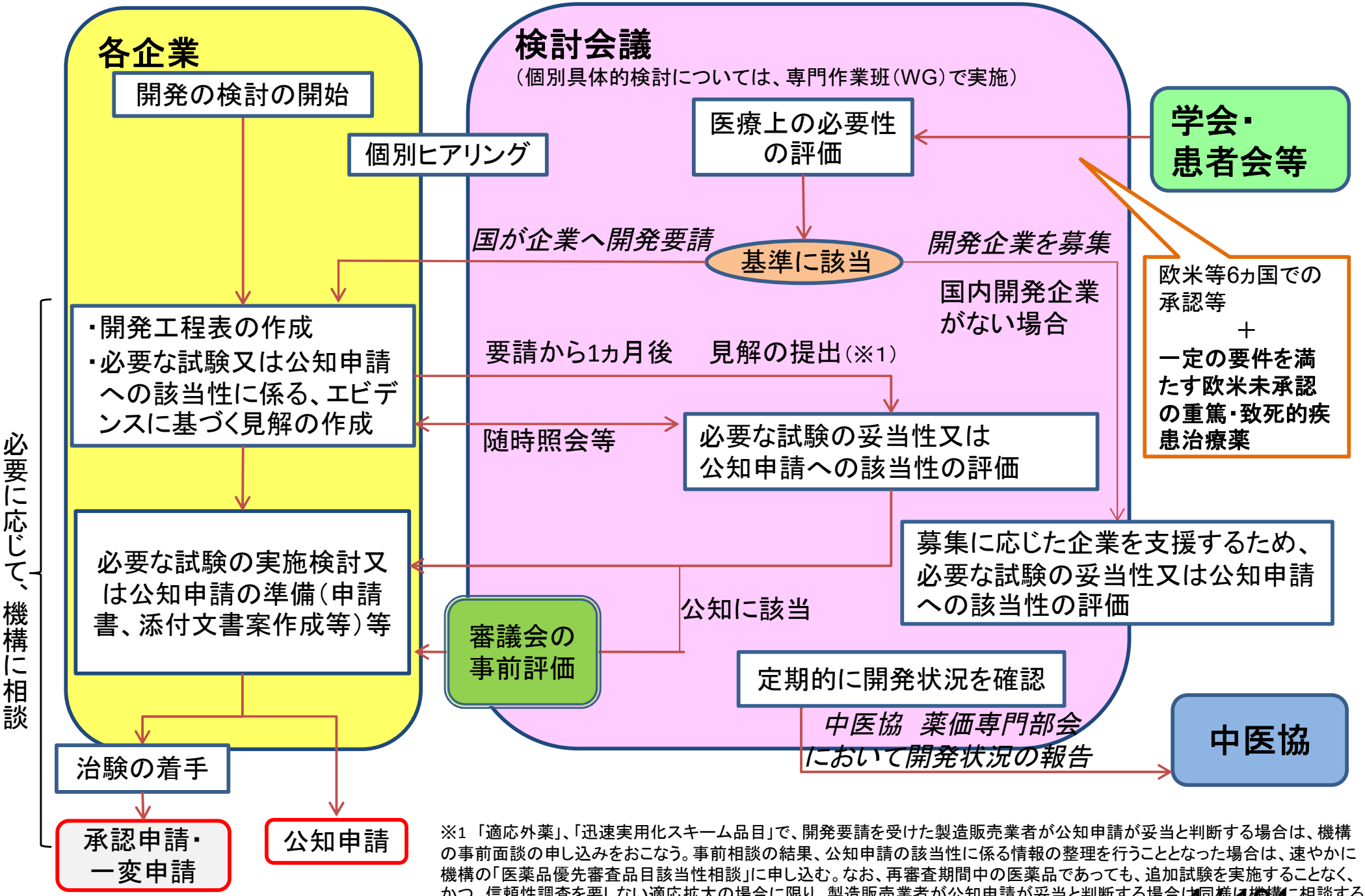
（2）医療上の有用性が次のいずれかの場合

＜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



検討会議における検討の進め方



※1 「適応外薬」、「迅速実用化スキーム品目」で、開発要請を受けた製造販売業者が公知申請が妥当と判断する場合は、機構の事前面談の申し込みをおこなう。事前相談の結果、公知申請の該当性に係る情報の整理を行うこととなった場合は、速やかに機構の「医薬品優先審査品目該当性相談」に申し込む。なお、再審査期間中の医薬品であっても、追加試験を実施することなく、かつ、信頼性調査を要しない適応拡大の場合に限り、製造販売業者が公知申請が妥当と判断する場合は同様に機構に相談する。

ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

資料２－１

- 2023年3月時点において、欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は**143品目**。
- 未承認薬143品目中、**国内開発未着手の医薬品は86品目（60.1%）**あり、そもそも**承認申請がなされない（＝企業が開発しない）**という**ドラッグラグ・ロスが発生している**と指摘されている。
- 国内開発状況が未着手の86品目について傾向を分析したところ、**ベンチャー発の医薬品や、オーファン、小児の割合が比較的大きい**ことが分かった。

日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数） 開発中	**未着手**
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	**143**	57	**86**（品目）

内訳

日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	**希少疾病用医薬品（オーファン）**	**小児用医薬品**
56%	**47**%	**37**%
（48品目）	（40品目）	（32品目）

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

※出典：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計
※１：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計
※２：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計
※３：欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計
※４：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までに受けた品目をオーファンとして集計
※５：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

ドラッグロス解消に向けた取組について

欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品のうち、**国内開発未着手の医薬品86品目について、学会等からの要望を待つことなく、国が能動的に、未承認薬・適応外薬検討会議における医療上の必要性の評価のために必要な情報の整理を行う**ことで、未承認薬・適応外薬検討会議における評価、開発要請等の加速化を図る。

学会・患者会等からの未承認薬・適応外薬の要望

従来のルート

国内開発未着手の医薬品について、国が情報を整理

新規ルート

※令和６年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」において、医薬品のデータ整理、関連学会へニーズ調査、市場性調査、開発の優先順位付け等を実施

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議　（医療上の必要性を判断）

企業に対して開発要請

開発企業を公募

【市場性がない場合】

開発企業の公募を行いつつ、アカデミア主導での開発を支援し、薬事承認申請に活用可能なデータを取得

※上記により企業による開発着手を後押し
※実施に当たってはAMEDによる開発支援、PMDAの薬事戦略相談等も活用

企業による治験の実施等

薬事承認申請

ひと、くらし、みらいのために
厚生労働省
Ministry of Health, Labour and Welfare

Press Release

令和７年３月 31 日
【照会先】
医政局研究開発政策課治験推進室
室長　　飯村　康夫（内線 4161）
室長補佐　酒井　義瑛（内線 4165）
（代表電話）03(5253)1111
（直通電話）03(3595)2430

報道関係者　各位

令和６年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」研究班の整理結果を公表します

この度、令和６年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」（研究代表者：国立がん研究センター中央病院先端医療科 佐藤 潤 医員）における、欧米では承認されているが国内では承認されていない医薬品のうち国内開発未着手の医薬品（以下「ドラッグ・ロス品目」という。）の情報の整理結果が別添のとおり取りまとめられましたので公表します。

厚生労働省では、この整理結果を踏まえ、ドラッグ・ロスの更なる解消に向けて、「開発の必要性が特に高い医薬品」（グループＡ品目：14 品目）について、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議を開催する予定です。同会議において、医療上の必要性が高いと評価された品目については、国内企業への開発要請等を行い、現在生じているドラッグ・ロスの解消に取り組んでまいります。

また、「開発の必要性が高い医薬品」（グループＢ品目：41 品目）については、「未承認薬等迅速解消促進調査事業」において、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における評価に必要な情報の整理を行い、準備ができたものから順次、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を評価することとしています。

【特別研究班による分類結果】

グループＡ「開発の必要性が特に高い医薬品」	：14 品目
グループＢ「開発の必要性が高い医薬品」	：41 品目
グループＣ「開発の必要性が低い医薬品」	：11 品目
グループＤ「開発の必要性がない医薬品」	：12 品目
その他「既にドラッグ・ロスが解消されている医薬品」	：　8 品目

○　令和６年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」におけるドラッグ・ロス品目の情報の整理結果は下記の通り。

グループＡ「開発の必要性が特に高い医薬品」：14 品目

（国内で類薬が承認されていない、標準的治療法がない疾患に対する医薬品、又は類薬が承認されている場合は類薬の中でも臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品など、可及的速やかに開発を行うべき医薬品）

品目番号	販売名	成分名（一般名）	効能・効果	備考
1	OXLUMO（オクスルモ）	ルマシランナトリウム	原発性高シュウ酸尿症Ⅰ型	類薬（Nedosiran）が開発中であり、本品目の至急の開発は不要という評価
2	DETECTNET（ディテクトネット）	銅(64Cu)ドータテート	神経内分泌腫瘍の診断における陽電子放射断層撮影（PET）	類薬（NETSPOT）が開発中であり、本品目の至急の開発は不要という評価
3	DOJOLVI（ドジョルビ）	トリヘプタノイン	長鎖脂肪酸酸化障害	既に国内で開発を行っている企業あり
4	ARTESUNATE（アルテスネイト）	アルテスネイト	成人および小児の重症マラリアの治療	
5	AYVAKIT（アイバキット）	アバプリチニブ	成人の切除不能または転移性の消化管間質腫瘍（GIST）で、血小板由来増殖因子受容体α（PDGFRA）エクソン 18 に特定の変異（D842V）を有する症例	
6	AKLIEF（アクリーフ）	トリファロテン	顔や体幹の尋常性ざ瘡	
7	GA-68-DOTATOC（ガリウム-68　ドタトック）	ガリウム(68Ga)エドトレオチド	陽電子放射断層撮影(PET)によるソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍造影	類薬（NETSPOT）が開発中であり、本品目の至急の開発は不要という評価
8	XENLETA	レファムリン酢酸	細菌性の市中肺炎（CABP）の治療	

	（ゼンレタ）	塩		
9	PRETOMANID （プレトマニド）	プレトマニド	多剤耐性結核	既に医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望募集において、要望提出あり
10	ZULRESSO （ズルレッソ）	ブレキサノロン	産後うつ病（PPD）	学会からの医療ニーズに関する回答提出が遅れたため、「未承認薬等迅速解消促進調査事業」において情報を整理
11	NUZYRA （ヌジラ）	オマダサイクリントシル酸塩	細菌性肺炎、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症	
12	OMEGAVEN （オメガヴェン）	精製魚油	非経口栄養関連胆汁うっ滞	既に医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望募集において、要望提出あり
13	NETSPOT （ネットスポット）	ガリウム(^{68}Ga)ドータテート	陽電子放射断層撮影(PET)によるソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍造影	既に国内で開発を行っている企業あり
14	ANTHIM （アンシム）	オビルトキサキシマブ	吸入炭疽の治療	

グループB「開発の必要性が高い医薬品」：41 品目

（臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品ではないが選択肢として有用性が期待できる医薬品など、開発を行うべき医薬品）

品目番号	販売名	成分名（一般名）	効能・効果
15	EBANGA	アンスビマブ	ザイールエボラウイルスによる感染
16	MARGENZA	マルゲツキシマブ	HER2 乳がん
17	DANYELZA	ナキシタマブ	神経芽細胞腫
18	INMAZEB	アトルティビマブ、マフティビマブ、オデシビマブ	ザイールエボラウイルスによる感染
19	OLINVYK	オリセリジン	急性疼痛
20	LAMPIT	ニフルチモックス	シャーガス病
21	XEGLYZE	アバメタピル	アタマジラミの局所治療
22	CERIANNA	フルオロエストラジオール(^{18}F)	PET イメージング診断薬
23	QINLOCK	リプレチニブ	進行性消化管間質腫瘍
24	BARHEMSYS	アミスルプリド	悪心・嘔吐
25	UBRELVY	ウブロゲパント	片頭痛
26	CAPLYTA	ルマテペロントシル酸塩	統合失調症
27	EXEM FOAM KIT		超音波造影剤
28	TRIKAFTA	エレキサカフトール、テザカフトール、イバカフトール	嚢胞性線維症
29	FLUORODOPA	フルオロドパ(^{18}F)	PET イメージング診断薬(dopa)
30	VYLEESI	ブレメラノチド酢酸塩	性的欲求低下障害（HSDD）
31	SUNOSI	ソルリアムフェトル	閉塞性睡眠時無呼吸症候群（OSA）
32	EGATEN	トリクラベンダゾール	肝蛭症
33	ASPARLAS	カラスパルガーゼペゴル	急性リンパ性白血病(ALL)
34	SEYSARA	サレサイクリン塩酸塩	尋常性ざ瘡

35	XERAVA	エラバサイクリン二塩酸塩	腹腔内感染（症）
36	ANNOVERA	セゲステロン酢酸エステル、エチニルエストラジオール	避妊薬
37	YUPELRI	レベフェナシン	閉塞性肺疾患(COPD)
38	ORILISSA	エラゴリクスナトリウム	子宮内膜症への痛み
39	ZEMDRI	プラゾマイシン硫酸塩	尿路感染症
40	LUCEMYRA	ロフェキシジン塩酸塩	オピオイド離脱症状緩和薬
41	LAMZEDE	ベルマナーゼアルファ	α-マンノシドーシス
42	SYMDEKO	テザカフトール、アイバカフトール	嚢胞性線維症
43	GIAPREZA	アンジオテンシン II	敗血症患者への血管収縮剤
44	MACRILEN	マシモレリン酢酸塩	成人成長ホルモン欠乏症の診断
45	SOLOSEC	セクニダゾール	細菌性膣炎
46	BENZNIDAZOLE	ベンズニダゾール	シャーガス病
47	VOSEVI	ソホスブビル、ベルパタスビル、ボキシラプレビル	HCV, 代償性肝硬変
48	BEVYXXA	ベトリキサバン	静脈血栓塞栓症
49	AUSTEDO	デューテトラベナジン	ハンチントン病、遅発性ジスキネジア
50	XERMELO	テロトリスタットエチプレート	カルチノイド症候群下痢
51	EMFLAZA	デフラザコート	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
52	TRULANCE	プレカナチド	慢性特発性便秘、IBS
53	EXONDYS 51	エテプリルセン	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
54	XIIDRA	リフィテグラスト	ドライアイ
55	NUPLAZID	ピマバンセリン酒石酸塩	パーキンソン病

グループＣ「開発の必要性が低い医薬品」：11 品目

（国内に同程度又はより高い有用性を有する類薬が存在する医薬品など、開発の必要性は低い医薬品）

品目番号	販売名	成分名（一般名）	効能・効果
56	IDEFIRIX	イムリフィダーゼ	腎臓移植に伴う脱感作
57	HEPCLUDEX	ブレビルチド酢酸塩	代償性肝疾患
58	RUKOBIA	ホステムサビルトロメタミン	HIV-1 感染症
59	VYONDYS 53	ゴロジルセン	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
60	WAYLIVRA	ボラネソルセンナトリウム	家族性高カイロミクロン血症症候群(FCS)
61	AEMCOLO	リファマイシン	旅行者下痢
62	MOXIDECTIN	モキシデクチン	オンコセルカ症の駆虫薬
63	TROGARZO	イバリズマブ	HIV-1 感染症
64	TOOKAD	パデリポルフィン	前立腺がん
65	VABOMERE	メロペネム、バボルバクタム	尿路感染症
66	BAXDELA	デラフロキサシンメグルミン	急性細菌性皮膚感染症(ABSSSI)

グループＤ「開発の必要性がない医薬品」：12 品目

（国内に患者が存在しない又は国内に複数の類薬が存在する医薬品など、国内への導入は不要な医薬品）

品目番号	販売名	成分名（一般名）	効能・効果
67	OXBRYTA	ボキセロートル	鎌状赤血球症
68	ADAKVEO	クリザンリズマブ	鎌状赤血球症による血管閉塞軽減
69	ZYNQUISTA	ソタグリフロジン	1 型糖尿病
70	JEUVEAU	プラボツリヌス毒素 A-xvfs	眉間のしわ
71	LUMOXITI	モキセツモマブ パスドトクス	有毛細胞白血病（HCL）
72	DELSTRIGO	ドラビリン､ラミブジン､テノホビルジソプロキシル	HIV-1 感染症
73	KRINTAFEL	タフェノキンコハク酸塩	マラリア
74	SEGLUROMET	エルツグリフロジン、シタグリプチン、ハイドロクロライド	２型糖尿病
75	STEGLUJAN	エルツグリフロジン、シタグリプチン	２型糖尿病
76	DUZALLO	レシヌラド、アロプリノール	高尿酸血症
77	ACCRUFER	マルトール第二鉄	鉄欠乏症
78	ZEPATIER	エルバスビル、グラゾプレビル	HCV

その他「既にドラッグ・ロスが解消されている医薬品」：８品目

（令和６年度厚生労働科学特別研究事業の調査以前に、ドラッグ・ロスが解消されていることが判明した医薬品）

品目番号	販売名	成分名（一般名）	効能・効果	備考
79	IMCIVREE	セトメラノチド酢酸塩	POMC による肥満症	令和６年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
80	WINLEVI	クラスコテロン	尋常性ざ瘡	令和６年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
81	TRODELVY	サシツズマブ ゴビテカン	トリプルネガティブ乳がん	令和６年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
82	QTERNMET XR	ダパグリフロジン、サキサグリプチン、メトホルミン	2 型糖尿病	令和６年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前に、海外で承認が取り消されている
83	TPOXX	テコビリマット	天然痘	令和６年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
84	EPIDIOLEX	カンナビジオール	レノックス・ガトー症候群，Dravet 症候群	令和６年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
85	ZINBRYTA	ダクリズマブ	多発性硬化症	令和６年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前に、海外で承認が取り消されている
86	EPISALVAN	カバノキ皮質	皮膚創傷治療	令和６年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前に、海外で承認が取り消されている

資料２－２

厚生労働科学特別研究班
「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」

Drug Loss: A Survey of the Actual Conditions and the Construction of Solutions

国立がん研究センター中央病院
先端医療科　医員　佐藤　潤

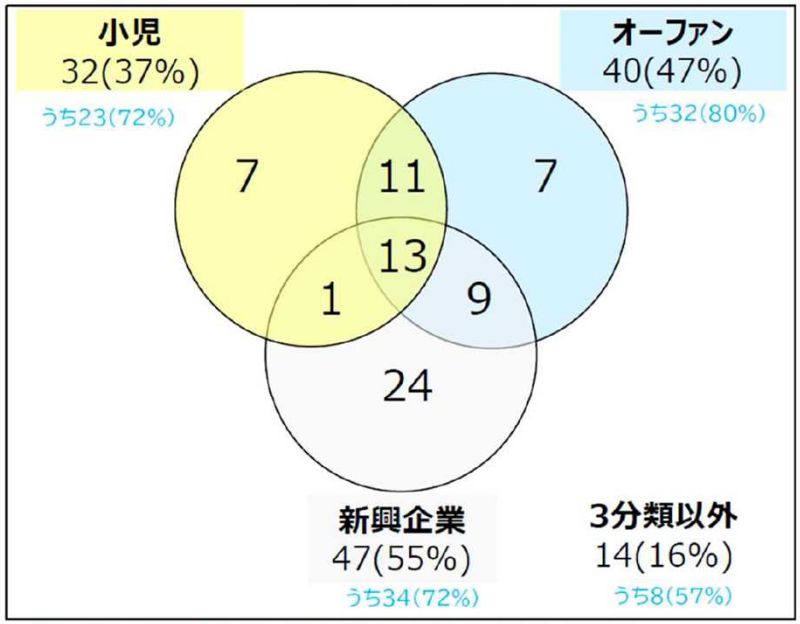
概要

1. 研究班の事業内容
2. 事業結果概要
3. 今後の予定

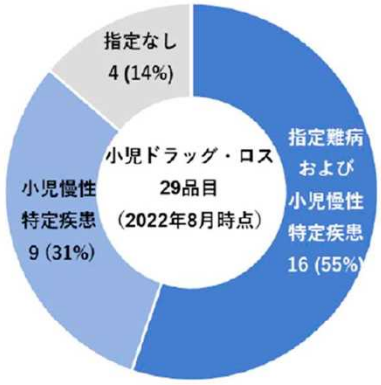
「未承認薬（ドラッグ･ロス）」の現状（医学界全体）

- 2016年以降の承認品目のうち、海外承認ありかつ国内開発のない医薬品が**86品目**存在している。（製薬協による調査）

2023年3月末時 国内状況			
未承認	**143**	開発なし	**86**
		開発中	57
承認 (2021-2023.3)	33		



*青字:日本で当該疾患での当該作用機序薬がない品目数 -新規性-
(Evaluateに記載された作用機序で、FDAのPIから疾患領域を推定)

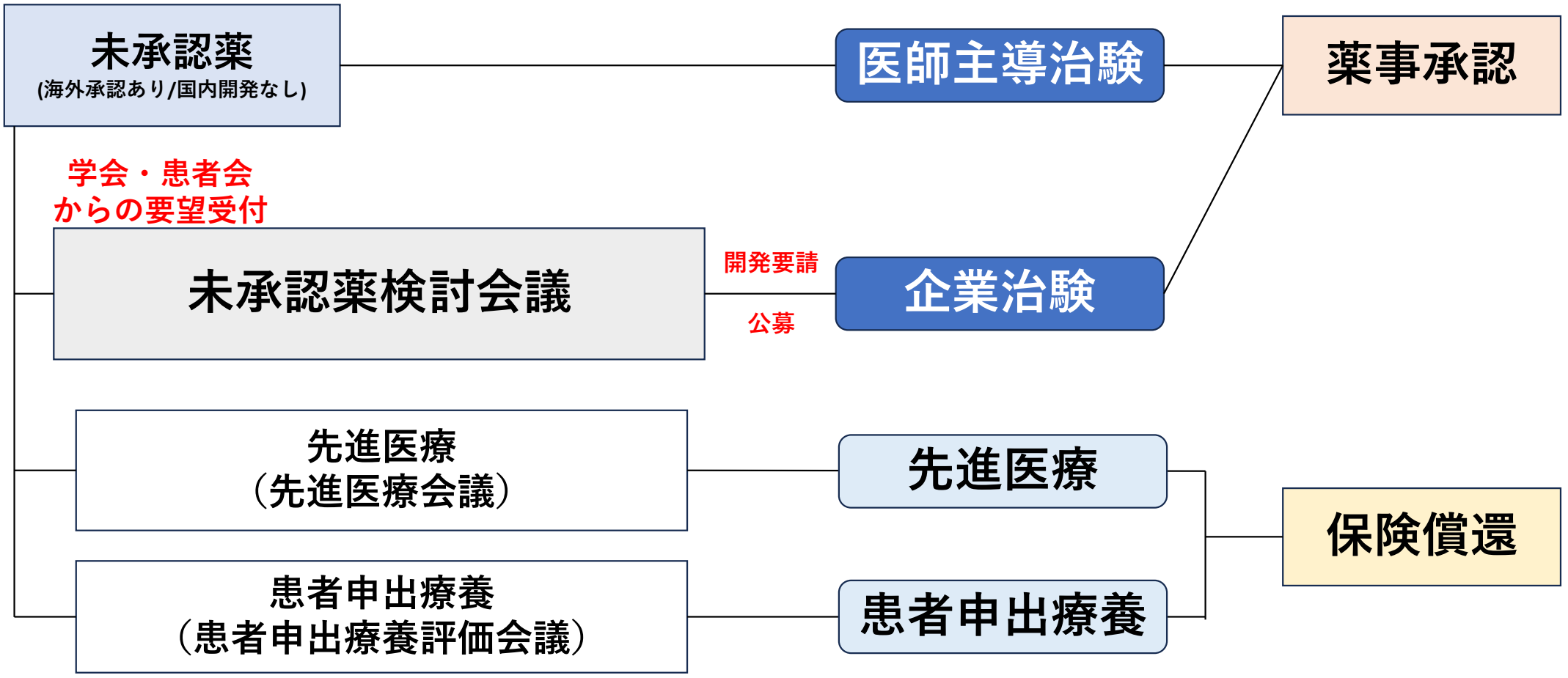


出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成
注1：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計
注2：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計
注3：欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計
注4：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までに受けた品目をオーファンとして集計
注5：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

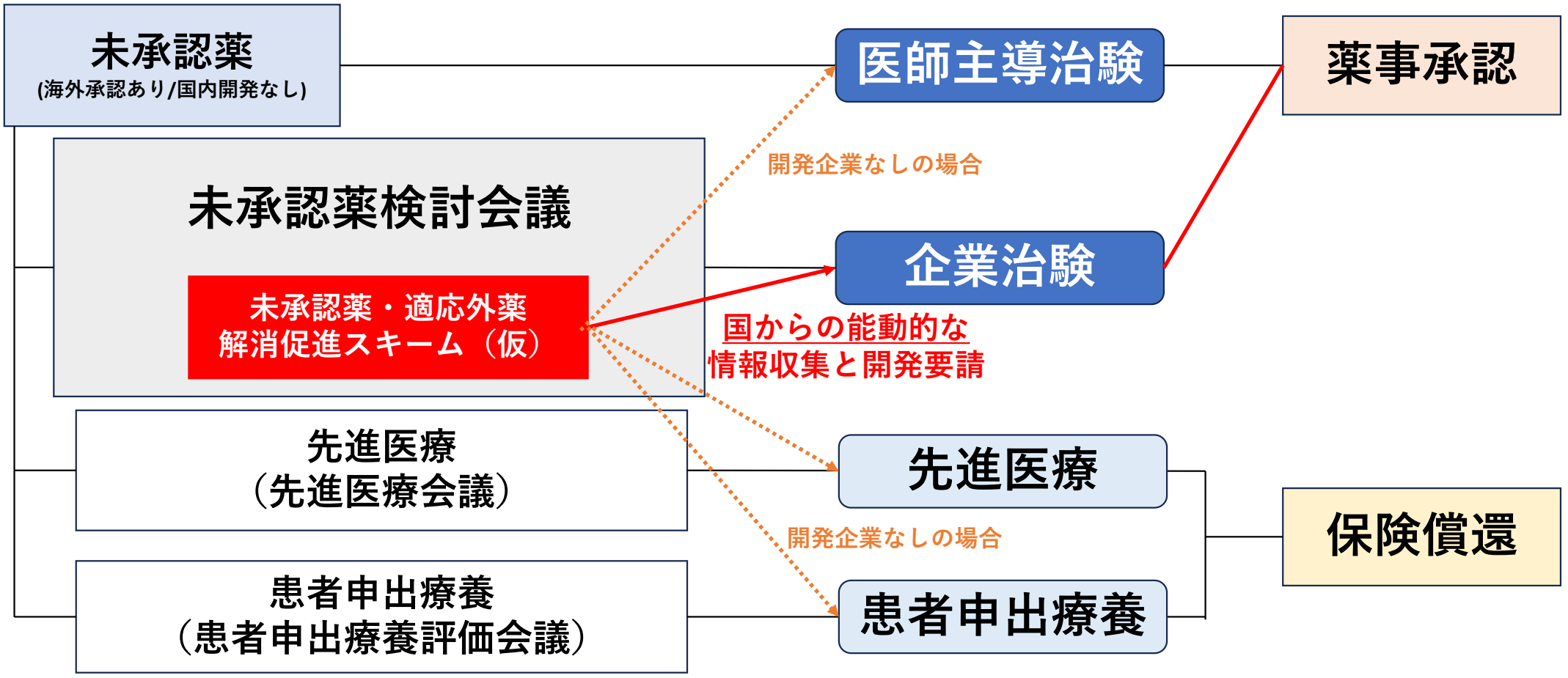
注：　2010年-2021年にFDA承認されたNMEのうち、Orphan Drug指定を受けた215品目が調査対象。うち2022年8月末時点で110品目が国内未承認である。
出典：「ドラッグ・ラグ：小児適応を持つ日本未承認薬の特徴その1 ―希少疾患―」政策研ニュースNo.69 2023年7月 より改変
出所：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）、厚生労働省「指定難病：指定難病病名一覧表（令和3年11月1日版）」、小児慢性特定疾病情報センター「小児慢性特定疾病の対象疾病リスト（令和4年4月1日版）」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

2023年11月17日
2023年度 医薬品評価委員会総会シンポジウム　『Breakthrough to ドラッグラグ・ロス』～安全・安心・ウェルビーイングな医療・社会の実現を目指して～
医薬産業政策研究所　講演資料抜粋

「未承認薬（ドラッグ・ロス）」への対応（現状）

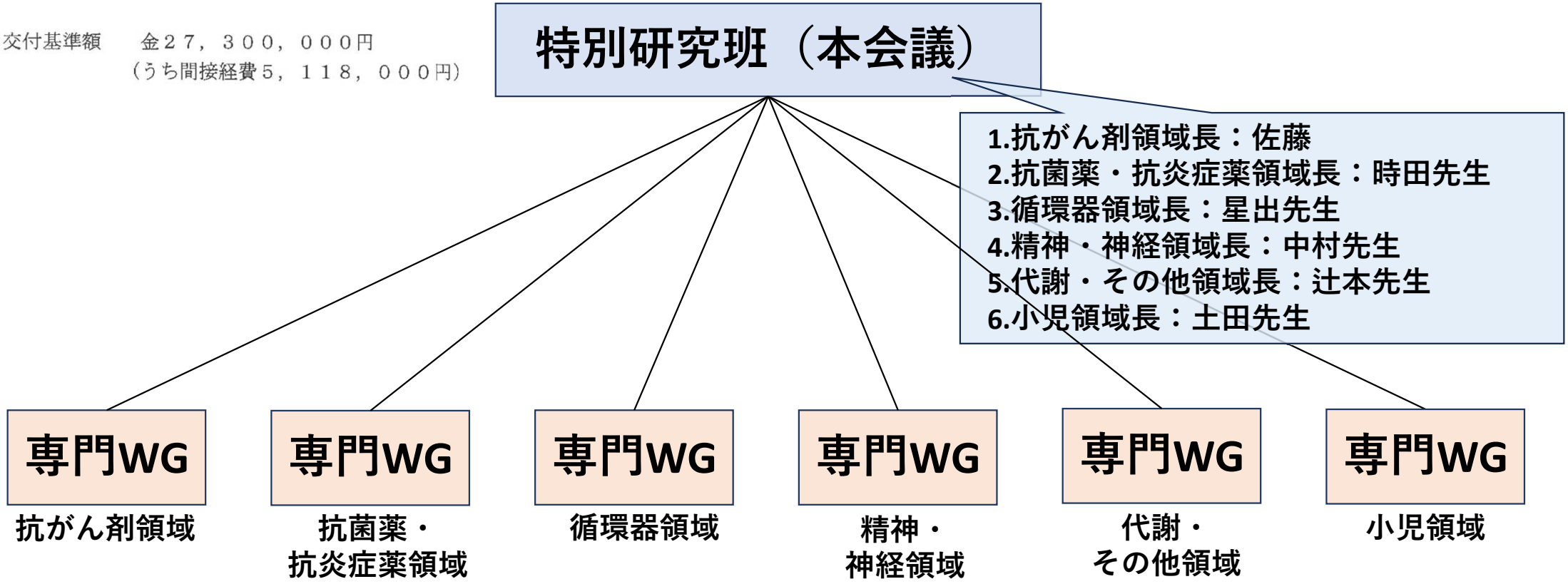


「未承認薬（ドラッグ・ロス）」への対応（対応案）



研究班の構成

交付基準額　　金２７，３００，０００円
（うち間接経費５，１１８，０００円）



研究班編成（分担研究者）

分担研究者（敬称略）

代謝 / 消化器領域

- 国家公務員共済組合連合会　虎の門病院分院　糖尿病内分泌科　**辻本　哲郎**

精神 / 神経系領域

- 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター　臨床研究・教育研修部門　**中村　治雅**

感染症領域

- 国立国際医療研究センター　臨床研究センター　臨床研究推進部　**時田　大輔**

小児領域

- 国立病院機構本部　総合研究センター 治験研究部　**土田　尚**

循環器 / 呼吸器領域

- 自治医科大学附属病院　臨床研究センター　企画開発部　**星出　聡**

抗悪性腫瘍 / 産婦人科 / 皮膚科 / 眼科 / アレルギー領域

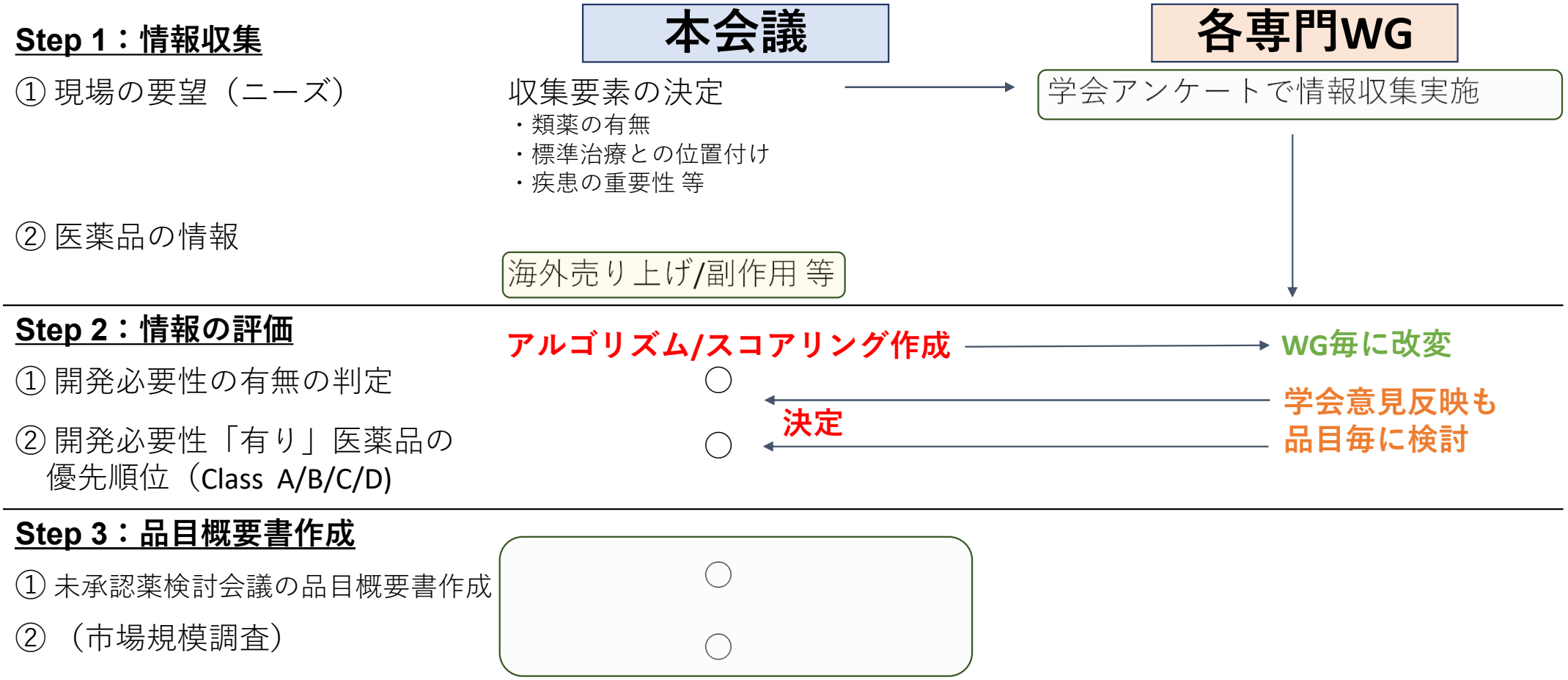
- 独立行政法人　国立がん研究センター中央病院　先端医療科　**佐藤　潤**

研究班編成（研究協力者）

研究協力者（敬称略）

- 神経科薬 [精神]：西野 良（京都大学）
- 神経科薬 [神経内科]：佐久嶋 研（北海道大学）、橋詰 淳（名古屋大学）
- 感染症：森野 英里子（NCGM）
- 抗がん剤 [固形腫瘍]：西田 俊朗（大阪病院）、下井 辰徳（NCC）
- 抗がん剤 [血液]：伊豆津 宏二（NCC）、永井 純正（京都大学）
- 抗がん剤 [緩和ケア]：石木 寛人（NCC）
- 抗がん剤 [核医学]：稲木 杏吏（NCCE）
- 産婦人科：齊藤 和毅（東京医科歯科大学）、永瀬 智（山形大学）
- 皮膚科：種瀬 啓士（東邦大学医療センター大森病院）

本特別研究班のタスク概要



事業内容

- **情報収集**
  - **学会アンケート**
    - 各品目の関連学会の担当部会/理事会にアンケート実施：**日本医学会/医学会連合**の関連学会に依頼
  - **医薬品情報収集**
    - 開発要請企業（企業見解の代行の意を含む）
    - コンサルタント企業（中立意見の聴取）

- **情報の評価**
  - **評価系（アルゴリズム/スコアリング）の作成**
    - 開発必要性 有/無の決定
    - 優先度のクラス分け：A/B/C/Dなど
  - **品目/領域毎に評価系を適応→スコアリングを実施**
    - 優先度（A/B/C/D）の統合
    - 高優先の品目から品目概要書を作成

A	開発の必要性が特に高い
B	開発の必要性が高い
C	開発の必要性が低い
D	開発は不要

- **品目概要書作成**
  - 要望書の原案作成→担当領域チームが確定

概要

1. 研究班の事業内容
2. 事業結果概要
3. 今後の予定

情報収集：学会アンケート/医薬品情報収集

86品目中8品目が開発中又は開発予定と判明し、78品目をドラッグ・ロス品目として検討を行った。

1. **学会アンケートの実施**
   - 収集事項の作成
     - **医薬品開発の必要性**（臨床現場のニーズ）
     - **有効性及び安全性**（類薬との比較／有用性を期待する根拠／改善するアウトカムの臨床的意義）
     - **対象となる疾患**（疾患の重篤性／疾患の頻度／バイオマーカー）
   - 78品目について学会アンケートを実施
   - 回答結果
     - 61品目は回答が揃った
     - 16品目は回答が揃っていないものの少なくとも1学会からは回答があった
     - 1品目は1学会からも回答がなかった

2. **医薬品情報収集**
   - 国内開発権を持つ企業に開発意思を確認
   - 開発の必要性について確認を行った
   - 市場予見性の情報収集：患者数、薬価など

情報の評価：開発優先度の決定

グループA（14品目）		グループB（41品目）		グループC（11品目）		グループD（12品目）		アンケート回答なし（1品目）	
4	OXLUMO	1	EBANGA	7	IDEFIRIX ※ ※	22	OXBRYTA	7	IDEFIRIX ※※
6	DETECTNET	2	MARGENZA	10	HEPCLUDEX	23	ADAKVEO		
13	DOJOLVI	3	DANYELZA	12	RUKOBIA	33	ZYNQUISTA		
14	ARTESUNATE	5	INMAZEB	21	VYONDYS 53	37	JEUVEAU		
18	AYVAKIT	8	OLINVYK	32	WAYLIVRA	42	LUMOXITI		
27	AKLIEF	9	LAMPIT	39	AEMCOLO	43	DELSTRIGO		
28	GA-68-DOTATOC	11	XEGLYZE	51	MOXIDECTIN	49	KRINTAFEL		
29	XENLETA	15	CERIANNA	54	TROGARZO	58	SEGLUROMET		
30	PRETOMANID	16	QINLOCK	60	TOOKAD	59	STEGLUJAN		
35	ZULRESSO ※	17	BARHEMSYS	62	VABOMERE	64	DUZALLO		
40	NUZYRA	19	UBRELVY	67	BAXDELA	77	ACCRUFER		
47	OMEGAVEN	20	CAPLYTA			78	ZEPATIER		
74	NETSPOT	24	EXEM FOAM KIT						
76	ANTHIM	25	TRIKAFTA						
		26	FLUORODOPA						
		31	VYLEESI						
		34	SUNOSI						
		36	EGATEN						
		38	ASPARLAS						
		41	SEYSARA						
		44	XERAVA						
		45	ANNOVERA						
		46	YUPELRI						
		48	ORILISSA						
		50	ZEMDRI						
		52	LUCEMYRA						
		53	LAMZEDE						
		55	SYMDEKO						
		56	GIAPREZA						
		57	MACRILEN						
		61	SOLOSEC						
		63	BENZNIDAZOLE						
		65	VOSEVI						
		66	BEVYXXA						
		68	AUSTEDO						
		69	XERMELO						
		70	EMFLAZA						
		71	TRULANCE						
		72	EXONDYS 51						
		73	XIIDRA						
		75	NUPLAZID						

※研究班でグループA決定後の回答のため、今年度の品目概要書作成はなし
※※期限までに学会回答なし

品目概要書の作成（要望度「A」）

未承認薬検討会議で検討する品目の選定

- 要望度「A」と評価したが未承認薬検討会議では**検討不要**と判断した品目
  - 13_**DOJOLVI（長鎖脂肪酸酸化障害）**：企業開発着手済みのため、ロス解消品目
  - 30_**PRETOMANID（多剤耐性結核）**：既に未承認薬検討会議に開発要望書が提出済み
  - 35_**ZULRESSO（産後うつ病 ）**：学会アンケートが期限内に提出されず要望書作成が間に合わず
  - 47_**OMEGAVEN（非経口栄養関連胆汁うっ滞）**：既に未承認薬検討会議に開発要望書が提出済み
  - 74_ **NETSPOT （神経内分泌腫瘍）**：特別研究班の始動後に企業開発中であることが判明

⇒30_**PRETOMANID**及び47_**OMEGAVEN**については**通常の未承認薬検討会議の議題**として本日審議予定

- 未承認薬検討会議で検討はするも**即時の開発要請は不要**と判断した品目
  - 4_**OXLUMO（原発性高シュウ酸尿症1型）**：類薬（Nedosiran）開発中のため
  - 6_**DETECTNET（神経内分泌腫瘍）**：類薬（NET SPOT）開発中のため
  - 28_**GA-68-DOTATOC（神経内分泌腫瘍）**：類薬（NET SPOT）開発中のため

品目概要書の作成（要望度「A」）

未承認薬検討会議で検討する品目の選定

- 未承認薬検討会議の評価及び開発要請が妥当と判断した品目
  - 14_**ARTESUNATE（マラリア）**
  - 18_**AYVAKIT（胃腸間質腫瘍）**
  - 27_**AKLIEF（尋常性ざ瘡）**
  - 29_**XENLETA（細菌性肺炎）**
  - 40_**NUZYRA（細菌性肺炎 (CABP)、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症 (ABSSSI)）**
  - 76_**ANTHIM（抗炭疽菌症）**

プレスリリースに関連した定義づけ

分類の定義

- グループＡ「開発の必要性が特に高い医薬品」
- グループＢ「開発の必要性が高い医薬品」
- グループＣ「開発の必要性が低い医薬品」
- グループＤ「開発の必要性がない医薬品」

分類の考え方

- **グループＡ**「国内で類薬が承認されていない、標準的治療法がない疾患に対する医薬品、又は類薬が承認されている場合は類薬の中でも臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品など、可及的速やかに開発を行うべき医薬品」
- **グループＢ**「臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品ではないが選択肢として有用性が期待できる医薬品など、開発を行うべき医薬品」
- **グループＣ**「国内に同程度又はより高い有用性を有する類薬が存在する医薬品など、開発の必要性は低い医薬品」
- **グループＤ**「国内に患者が存在しない又は国内に複数の類薬が存在する医薬品など、国内への導入は不要な医薬品」

品目概要書（要望書+評価書）

要望書+評価書作成

- 14_ARTESUNATE（マラリア）
- 18_AYVAKIT（胃腸間質腫瘍）
- 27_AKLIEF（尋常性ざ瘡）
- 29_XENLETA（細菌性肺炎）
- 40_NUZYRA（細菌性肺炎 (CABP)、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症 (ABSSSI)）
- 76_ANTHIM（抗炭疽菌症）

（以下3品目は開発要請かけない）

- 4_OXLUMO（原発性高シュウ酸尿症1型）
- 6_DETECTNET（神経内分泌腫瘍）
- 28_GA-68-DOTATOC（神経内分泌腫瘍）

資料 2-3-1

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

＜代謝・その他 WG＞

目　次

＜代謝分野＞
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】
lumasiran sodium（OXLUMO）（要望番号；R6-1）‥‥‥ 1

＜その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）＞
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】
Trifarotene（AKLIEF）（要望番号；R6-2）‥‥‥ 3

<table>
<tr><td>要望番号</td><td>R6-1</td><td>要 望 者 名</td><td></td></tr>
<tr><td colspan="2" rowspan="2">要望された医薬品</td><td>一　般　名</td><td>lumasiran sodium（販売名：OXLUMO）</td></tr>
<tr><td>会　社　名</td><td>Alnylam Japan 株式会社</td></tr>
<tr><td colspan="2" rowspan="2">要 望 内 容</td><td>効能・効果</td><td>原発性高シュウ酸尿症 I 型</td></tr>
<tr><td>用法・用量</td><td>通常 、初回用量（1 か月毎に 1 回、3 回投与）に続き、維持用量（最後の初回用量の 1 か月後から開始）を体重に基づいて以下の用量を皮下投与する。
<table>
<tr><th>体重</th><th>初回用量</th><th>維持用量</th></tr>
<tr><td>10kg 未満</td><td>6 mg/kg、1 か月毎に 1 回、3 回投与</td><td>1 回 3 mg/kg、1 か月毎に 1 回</td></tr>
<tr><td>10kg 以上 20kg 未満</td><td>6 mg/kg、1 か月毎に 1 回、3 回投与</td><td>1 回 6 mg/kg、3 か月毎に 1 回</td></tr>
<tr><td>20kg 以上</td><td>3 mg/kg、1 か月毎に 1 回、3 回投与</td><td>1 回 3 mg/kg、3 か月毎に 1 回</td></tr>
</table></td></tr>
<tr><td colspan="2">「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価</td><td colspan="2">（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ア　生命に重大な影響がある疾患
〔特記事項〕
原発性高シュウ酸尿症（PH）は、グリオキシル酸代謝の常染色体潜性障害群であり、代謝最終産物である内因性シュウ酸の過剰産生を引き起こし、余剰のシュウ酸は腎尿細管でカルシウムと結合して結晶を形成し、腎結石、腎石灰化症、またはその両方を引き起こす傾向がある。PH では、尿細管内および間質内のシュウ酸カルシウム沈着、慢性尿細管間質性炎症、結石による腎臓閉塞が組み合わさり、70%以上の患者が腎不全に至る。また、骨、心臓、血管、神経、眼を含むさまざまな組織にシュウ酸が蓄積し、生命を脅かす多臓器疾患を引き起こす。[1)]

1）Groothoff JW, Metry E, Deesker L, et al., Clinical practice recommendations for primary hyperoxaluria: an expert consensus statement from ERKNet and OxalEurope. Nat Rev Nephrol. 2023 Mar;19(3):194-211. doi: 10.1038/s41581-022-00661-1. Epub 2023 Jan 5. PMID:36604599.

（2）医療上の有用性についての該当性　ア　既存の療法が国内にない</td></tr>
</table>

	〔特記事項〕 根治的な治療としては、欠損したアラニン：グリオキシル酸アミノトランスフェラーゼ（alanine:glyoxylate aminotransferase: AGT）酵素を補う肝移植や、重篤な腎不全に対する腎移植が必要となる。根本的な治療として、国内において、侵襲性が低く効果的な治療法はない。国内では、治療法として対症療法にはシュウ酸結石を抑えるための多量の水分摂取や、マグネシウムおよびサイアザイドの投与が検討される。PH の軽症例では、ビタミン B6 の内服が効果を示すことがある。腎不全には血液透析や腹膜透析が行われるが、内因性のシュウ酸産生以上の効率的な透析は難しい。 lumasiran は、米国、欧州を含む国々で承認されており、無作為化二重盲検比較試験と長期延長試験を含む複数の臨床試験報告により有効性、安全性が示されており [2), 3,) 4), 5)]、生命予後の延長が期待できる。また、欧州でのコンセンサスガイドラインには、RNAi 療法（lumasiran など）の登場により、治療のパラダイムシフトが起こったと記載されている。[1)] なお類薬として、グリオキシル酸をシュウ酸にする直接の酵素である LDH を阻害し、原理的にはⅠ型、Ⅱ型、Ⅲ型に効果があると考えられる nedosiran（販売名：RIVFLOZA、ノボノルディスク社）が米国で承認され、現在国内でも治験が実施されている。[6), 7)] 2) Garrelfs SF, Frishberg Y, Hulton SA, et al., Lumasiran, an RNAi Therapeutic for Primary Hyperoxaluria Type 1. N Engl J Med. 2021 Apr 1;384(13):1216-1226. doi: 10.1056/NEJMoa2021712. PMID: 33789010 3) Michael M, Groothoff JW, Shasha-Lavsky H, et al., Lumasiran for Advanced Primary Hyperoxaluria Type 1: Phase 3 ILLUMINATE-C Trial. Am J Kidney Dis. 2023 Feb;81(2):145-155.e1. doi: 10.1053/j.ajkd.2022.05.012. PMID: 35843439 4) Hayes W, Sas DJ, Magen D, et al., Efficacy and safety of lumasiran for infants and young children with primary hyperoxaluria type 1: 12-month analysis of the phase 3 ILLUMINATE-B trial. Pediatr Nephrol. 2023 Apr;38(4):1075-1086. doi: 10.1007/s00467-022-05684-1. PMID: 35913563 5) Sas DJ, Magen D, Hayes W, et al., Phase 3 trial of lumasiran for primary hyperoxaluria type 1: A new RNAi therapeutic in infants and young children. Genet Med. 2022 Mar;24(3):654-662. doi: 10.1016/j.gim.2021.10.024. PMID: 34906487 6) clinicaltrials.gov. : https://clinicaltrials.gov/study/NCT04042402. [accessed 2025 Mar 17] 7) clinicaltrials.gov. : https://clinicaltrials.gov/study/NCT05001269. [accessed 2025 Mar 17]
備　　考	

要望番号	R6-2	要 望 者 名	
要望された医薬品		一　般　名	trifarotene（販売名：AKLIEF）
		会　社　名	Galderma（ガルデルマ株式会社）
要 望 内 容		効能・効果	尋常性ざ瘡
		用法・用量	1 日 1 回、夜間に、清潔で乾燥した皮膚に、顔および/または体の患部に本剤を薄く塗布する。
「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		（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ウ　日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 〔特記事項〕 体幹部の尋常性ざ瘡は多くのヒトが経験する慢性炎症疾患であるが、併存する掻痒感・疼痛により睡眠障害や活動性の低下をきたすだけでなく、出血、排膿を繰り返すことによって瘢痕や色素沈着等が後遺症として残るため、外見が著しく損なわれる。さらに重症例では、瘢痕部にケロイドを来し病変部が広範囲に拡大するため、心身に重大な悪影響を及ぼし得る[1),2)]。 1) 林伸和,川島眞,渡辺晋一,ほか.【原著】本邦における尋常性痤瘡のアンケートによる疫学的調査成績.日本皮膚科学会雑誌 2001.111 巻 9 号 p.1347-1355, doi:10.14924/dermatol.111.1347. 2) Zaenglein AL, Pathy AL, Schlosser BJ et al. Guidelines of care for the management of acne vulgaris. Journal of the American Academy of Dermatology, 17 Feb 2016, 74(5):945-73.e33 https://doi.org/10.1016/j.jaad.2015.12.037 PMID: 26897386 （2）医療上の有用性についての該当性　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 〔特記事項〕 米国の尋常性ざ瘡のガイドラインでは尋常性ざ瘡の治療薬であり、レチノイド系外用薬の一つとして記載されている。当該ガイドラインの尋常性ざ瘡の治療と本邦での治療において大きな違いはなく、内服/外用抗菌薬、レチノイド系の Adapalene 外用薬、	

	ステロイド外用などが使われる。しかし、レチノイド系の Adapalene 外用薬は体幹への適応はない一方、trifarotene は国外で顔のみならず体幹への適応も有し、国内においても有用性が期待できる。さらに、抗菌薬とは違い、耐性菌を生み出すリスクもない。また、承認薬であるベピオゲルは過酸化ベンゾイル、スタデルム軟膏は非ステロイド系の抗炎症剤であり、いずれも毛包の炎症を緩和することを主目的とした薬剤であることから、レチノイド受容体作動薬の作用機序を通じて閉塞した毛孔を開大させる作用機序を有する trifarotene とは薬理作用が全く異なり、類薬には該当しない。体幹部の尋常性ざ瘡は病変が真皮の深くにまで及ぶことが多いため、これらの薬剤の薬理作用のみでは十分な改善が得られない症例も多く、臨床現場では依然として治療環境の改善が望まれている。既存の薬剤とは異なる作用機序を有する trifarotene により、臨床症状・QOL が大いに改善することで高い医療上の有用性があると判断している。
備　　考	

資料 2-3-2

「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

＜診断用薬分野＞
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】
Copper Cu 64 dotatate（DETECTENT）（要望番号；R6-3）‥‥‥　1
GA-68-DOTATOC（GA-68-DOTATOC）（要望番号；R6-4）‥‥‥　3

要望番号	R6-3	要 望 者 名	
要望された医薬品		一　般　名	Copper Cu 64 dotatate（販売名：DETECTENT）
		会　社　名	Curium Pharma
要 望 内 容		効能・効果	神経内分泌腫瘍の診断における陽電子放射断層撮影（PET）
		用法・用量	陽電子放射断層撮影（PET）において、本剤放射能量 148 MBq（4 mCi）を約 1 分間かけて静脈内注射により投与する。
「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			（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患） 〔特記事項〕 神経内分泌腫瘍は希少がんであり、不明な点が多く、現状根治治療は手術に限られている。 米国の調査では、2000 年から 2016 年の間に神経内分泌腫瘍と診断された患者 94,399 人を追跡調査し、その 40.9%が研究期間中に死亡した [1]。診断後 1 年以内の死亡のほとんどは神経内分泌腫瘍によるもの（73%）であった。このように、神経内分泌腫瘍は生命に重大な影響のある疾患である。 1) Sonbol MB, Saad AM, Gonzalez-Velez M, et al. Causes of Death After Neuroendocrine Tumors Diagnosis: A US Population-Based Analysis. Pancreas. 2021 Jan 1;50(1):47-53. doi: 10.1097/MPA.0000000000001723. PMID: 33370022. （2）医療上の有用性についての該当性　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 〔特記事項〕 本邦では、神経内分泌腫瘍の診断にはインジウム（111In）を用いた SPECT（Single Photon Emission Computed Tomography）で実施されるが、海外では診断精度において PET（Positron Emission Tomography）検査が優位とされ主流となっている。海外の研究で 111In-DTPAOC (Octreoscan) SPECT と 68Ga-DOTATOC PET（Positron Emission Tomography）の神経内分泌腫瘍に対する診断比較が行われた。それに基づくと、68Ga-DOTATOC PET は、臨床管理の指針として優れていると結論付けられている [2]。さらに、

	64Cu の物理的半減期は 12.7 時間であり、24 時間以上の有効期間と少なくとも 3 時間のスキャンウィンドウにより、64Cu-DOTATATE は臨床現場で使いやすく好ましいと述べている [3]。以上のことより、DETECTNET は神経内分泌腫瘍において、国内の既存の画像診断より優れていると考える。 2) Buchmann I, Henze M, Engelbrecht S, et al. Comparison of 68Ga-DOTATOC PET and 111In-DTPAOC (Octreoscan) SPECT in patients with neuroendocrine tumours. Eur J Nucl Med Mol Imaging. 2007 Oct;34(10):1617-26. doi: 10.1007/s00259-007-0450-1. PMID: 17520251. 3) Johnbeck CB, Knigge U, Loft A, et al. Head-to-Head Comparison of 64Cu-DOTATATE and 68Ga-DOTATOC PET/CT: A Prospective Study of 59 Patients with Neuroendocrine Tumors. J Nucl Med. 2017 Mar;58(3):451-457. doi: 10.2967/jnumed.116.180430. PMID: 27660147.
備　　考	

要望番号	R6-4	要 望 者 名	
要望された医薬品		一　般　名	GA-68-DOTATOC（販売名：GA-68-DOTATOC）
		会　社　名	University of Iowa Health Care　PET Imaging Center
要 望 内 容		効能・効果	陽電子放射断層撮影（PET）によるソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍造影
		用法・用量	成人： 148 MBq（4 mCi）を静脈内投与する 小児：1.59 MBq/kg（0.043 mCi/kg）、総量として 11.1 MBq（0.3 mCi）から 111 MBq（3 mCi）を静脈内投与する
「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		（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患） 〔特記事項〕 神経内分泌腫瘍は希少がんであり、不明な点が多く、現状根治治療は手術に限られている。 米国での調査では、2000 年から 2016 年の間に N 神経内分泌腫瘍と診断された患者 94,399 名を追跡調査し、その 40.9%が研究期間中に死亡した [1]。診断後 1 年以内の死亡のほとんどは神経内分泌腫瘍によるもの（73%）であった。このように、神経内分泌腫瘍は生命に重大な影響のある疾患である。 1) Sonbol MB, Saad AM, Gonzalez-Velez M, et al. Causes of Death After Neuroendocrine Tumors Diagnosis: A US Population-Based Analysis. Pancreas. 2021 Jan 1;50(1):47-53. doi: 10.1097/MPA.0000000000001723. PMID: 33370022. （2）医療上の有用性についての該当性　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 〔特記事項〕 本邦では、神経内分泌腫瘍の診断にはインジウム（111In）を用いた SPECT（Single Photon Emission Computed Tomography）で実施されるが、海外では診断精度において PET（Positron Emission Tomography）検査が優位とされ主流となっている。本診断薬と既存薬（111In）の診断精度を比較した研究では、肺および骨における病変の検出で本剤の優位性が示されていた [2]。 2) Buchmann I, Henze M, Engelbrecht S, et al. Comparison of 68Ga-DOTATOC PET and 111In-DTPAOC (Octreoscan) SPECT in patients with neuroendocrine tumours. Eur J Nucl Med Mol Imaging. 2007 Oct;34(10):1617-26. doi: 10.1007/s00259-007-0450-1. PMID: 17520251 .	
備　　考			

資料 2-3-3

「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

＜抗菌薬分野＞
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】
Artesunate（ARTESUNATE）（要望番号；R6-5）…… 1
Lefamulin acetate（XENLETA）（要望番号；R6-6）…… 2
Omadacycline tosylate（NUZYRA）（要望番号；R6-7）…… 3
Obiltoxaximab（ANTHIM）（要望番号；R6-8）…… 5

要望番号	R6-5	要 望 者 名	
要望された医薬品		一　般　名	artesunate（販売名：ARTESUNATE）
		会　社　名	Amivas LLC 社（米） Amivas Ireland Ltd（英、独、仏）
要 望 内 容		効能・効果	成人および小児の重症マラリアの治療
		用法・用量	体重 1kg あたり 2.4 mg を 0 時間、12 時間、24 時間に静脈内投与し、その後は患者が経口抗マラリア療法を耐えられるようになるまで 1 日 1 回投与する。
「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		（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患） 〔特記事項〕 重症化したマラリアでは、昏睡状態、代謝性アシドーシス、貧血、急性腎不全などの症状が確認され、未治療の場合の致死率は100%に近い[1)]。 1)　WHO Guidelines for malaria . Geneve: World Health Organization ; 1948: https://www.who.int/publications/i/item/guidelines-for-malaria.　[accessed 2025 Jan 22] （2）医療上の有用性についての該当性　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 〔特記事項〕 重症マラリアは非経口的な投与が必要であり、マラリアを効能・効果として本邦で承認されている医薬品はいずれも経口投与の製剤である。 国内ではキニーネ静注も未承認薬であり、副作用として低血糖、心毒性、心停止が知られている。要望されている医薬品は欧米の主要国で重症マラリアに対する治療薬として承認されている。また、 WHO のマラリア治療のガイドライン[1)]においても、内服が困難な状況における重症マラリアの治療において、本薬剤での治療推奨されている。1991 年以降、国内で輸入例以外の報告はないが、非経口的な治療法が選択可能になることは本邦における重症マラリア発生時に有用である。	
備　　考			

要望番号	R6-6	要 望 者 名	
要望された医薬品		一　般　名	lefamulin acetate（販売名：XENLETA）
		会　社　名	Nabriva Therapeutics plc
要 望 内 容		効能・効果	細菌性の市中肺炎（CABP）の治療
		用法・用量	12 時間ごとに 150 mg を 60 分かけて点滴静注にて投与（5-7 日間）、または、12 時間ごとに 600 mg を経口投与（5 日間）
「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　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患） 〔特記事項〕 肺炎は、咳や発熱、倦怠感等の外来での対応が可能な軽症な症状から、臓器不全や呼吸不全等の集中治療が必要な重度の症状まである。国内では年間約 74,000 人が市中肺炎により病院で死亡していると推定されており、致死率は 6.3%となっている [1)]。 1) 症状からアプローチする インバウンド感染症への対応 感染症クイック・リファレンス細菌性肺炎（bacterial pneumonia）:一般社団法人 日本感染症学会.; 1926: https://www.kansensho.or.jp/ref/d21.html [accessed 2025 Feb 07] （2）医療上の有用性についての該当性　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 〔特記事項〕 プレウロムチリン系の抗菌薬であり、グラム陽性菌、インフルエンザ桿菌などのグラム陰性桿菌、マイコプラズマ・ニューモニエなどの非定型肺炎の原因菌に対して優れた効果を示す [2)]。既存薬である moxifloxacin に対して非劣性であることが示されており、高齢者や糖尿病、心疾患の既往歴がある患者に対しても高い有効性が示されている [3)]。現在日本で既承認の抗菌薬のいずれとも作用機序が異なり、既存薬で効果が乏しい場合や耐性菌に対する効果が期待できる 。 2) Shubham Adhikary 1, Meher Kaur Duggal 1, et al., Lefamulin: a New Hope in the Field of Community-Acquired Bacterial Pneumonia. Curr Pharmacol Rep. 2022;8(6):418-426. doi: 10.1007/s40495-022-00297-6. Epub 2022 Jul 6. PMID:35811574 PMCID:PMC9257118. 3) Thomas MFJ, Elizabeth A, Lisa G, et al., Lefamulin efficacy and safety in a pooled phase 3 clinical trial population with community-acquired bacterial pneumonia and common clinical comorbidities. BMC Pulm Med. 2021 May 8;21(1):154. doi: 10.1186/s12890-021-01472-z. PMID:33964925 PMCID:PMC8105923.
備　　考			

要望番号	R6-7	要 望 者 名	
要望された医薬品		一　般　名	omadacycline tosylate（販売名：NUZYRA）
		会　社　名	Paratek Pharmaceuticals, Inc
要 望 内 容		効能・効果	細菌性肺炎、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症
		用法・用量	［細菌性肺炎］ 初回投与（1 日目）：200 mg を 60 分間かけて静脈内投与、または 100 mg を 30 分間かけて 2 回、静脈内投与する、または 300 mg を 2 回経口投与する 維持投与：100 mg を 30 分間かけて 1 日 1 回、静脈内投与、または 300 mg を 1 日 1 回、経口投与する ［急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症］ 初回投与（1 日目）：200 mg を 60 分間かけて静脈内投与、または 100 mg を 30 分間かけて 2 回、静脈内投与する 維持投与：100 mg を 30 分間かけて 1 日 1 回、静脈内投与、または 300 mg を 1 日 1 回、経口投与する ［急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症（NUZYRA tablets のみ）］ 初回投与（1 日目および 2 日目）：450 mg を 1 日 1 回、経口投与する 維持投与：300 mg を 1 日 1 回、経口投与する
「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		（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患） 〔特記事項〕 ［細菌性肺炎］肺炎の症状は、咳や発熱、倦怠感等の外来での対応が可能な軽症なものから、臓器不全や呼吸不全等の集中治療が必要な重度のものまである。国内では年間約 74,000 人が市中肺炎により病院で死亡していると推定されており、致死率は 6.3%となっている [1)]。 ［急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症（ABSSSI）］外来で対応可能な軽度な膿瘍から、皮膚の深部まで感染が広がり壊死するような重度な症状まであり、重度化すると外科的な治療が必要となる [2,3)]。さらに、感染が急速に広がることでコントロール困難となり、死に至る可能性もある。 1） 症状からアプローチする インバウンド感染症への対応 感染症クイック・リファレンス細菌性肺炎（bacterial pneumonia）:一般社団法人 日本感染症学会.; 1926 : https://www.kansensho.or.jp/ref/d21.html [accessed 2025 Feb 07]	

	２） Yoav G,. Current Treatment Options for Acute Skin and Skin-structure Infections. Clin Infect Dis. 2019 Apr 8;68(Suppl 3):S206–S212. doi: 10.1093/cid/ciz004. PMID: 30957166. PMCID: PMC6451992. ３） Megha S, Hetal DS,. ACUTE BACTERIAL SKIN AND SKIN STRUCTURE INFECTIONS: CURRENT PERSPECTIVE. Indian J Dermatol. 2011 Sep-Oct;56(5):510–512. doi: 10.4103/0019-5154.87134. PMID: 22121265. PMCID: PMC3221210. （2）医療上の有用性についての該当性 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 〔特記事項〕 本剤は、アミノメチルサイクリン系抗菌薬であり、メチシリン耐性黄色ブドウ球菌を含むグラム陽性球菌やインフルエンザ桿菌を含むグラム陰性桿菌、マイコプラズマ・ニューモニエなどの非定型肺炎の原因菌など、多くの皮膚・皮膚組織感染症および肺炎病原体に対して活性をもつアミノメチルサイクリン系抗菌薬である[4)]。また、他の抗菌薬に対して耐性をもつ病原体に対しても活性を示すことが報告されている[5)]。抗 MRSA 薬として頻繁に使用されるリネゾリドに対し、皮膚・皮膚組織感染症における臨床反応率が非劣性であることが無作為化二重盲検第 II 相試験で示されている[6)]。 また、市中肺炎患者に対する二重盲検比較第 III 相試験においてモキシフロキサシンに非劣性であることが示されている[7,8)]。 本剤は既承認薬と作用機序が異なり、既存治療が効かない患者に対する効果が期待される。 ４） Michael AP, Paul RR, Michael DH, et al., Activities of Omadacycline and Comparator Agents against Staphylococcus aureus Isolates from a Surveillance Program Conducted in North America and Europe. Antimicrob Agents Chemother. 2017 Feb 23;61(3):e02411-16. doi: 10.1128/AAC.02411-16. Mar. PMID: 27993854. PMCID: PMC5328515. ５） Draper MP, Weir S, Macone A, Donatelli J, et al., Mechanism of action of the novel aminomethylcycline antibiotic omadacycline. Antimicrob Agents Chemother. 2014;58(3):1279-83. doi: 10.1128/AAC.01066-13. PMID: 24041885 PMCID: PMC3957880. ６） Noel GJ, Draper MP, Hait H, Tanaka SK, and Arbeit RD. A randomized, evaluator-blind, phase 2 study comparing the safety and efficacy of omadacycline to those of linezolid for treatment of complicated skin and skin structure infections. Antimicrob Agents Chemother. 2012 Nov;56(11):5650-4. PMID: 22908151 PMCID: PMC3486554. ７） Torres A, Garrity Ryan L, Kirsch C, Steenbergen JN, Eckburg PB, Das AF, Curran M, Manley A, Tzanis E, McGovern PC., 2021, ‘Omadacycline vs moxifloxacin in adults with community-acquired bacterial pneumonia.’, Int J Infect Dis. doi: 10.1016/j.ijid.2021.01.032. ８） Ramirez JA, Tzanis E, Curran M, Noble R, Chitra S, Manley A, Kirsch C, McGovern PC., 2019, ‘Early Clinical Response in Community-acquired Bacterial Pneumonia: From Clinical Endpoint to Clinical Practice.’, Clin Infect Dis., doi: 10.1093/cid/ciz397.
備　　考	

要望番号	R6-8	要 望 者 名	
要望された医薬品		一　般　名	obiltoxaximab（販売名：ANTHIM）
		会　社　名	Elusys Therapeutics , Inc（米、加） SFL Pharmaceuticals Deutschland GmbH（英）
要 望 内 容		効能・効果	吸入炭疽の治療と予防
		用法・用量	以下の用量を 90 分間かけて単回で静脈投与する。 [成人]16 mg/kg [小児(40 kg 以上)]16 mg/kg [小児(15 kg 以上 40kg 未満)]24 mg/kg [小児(15 kg 未満)]32 mg/kg
「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　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患） 〔特記事項〕 吸入炭疽は発症後、数日以内に死亡する致死率の高い感染症である[1)]。治療介入しても 40%近く死亡するケースが報告されており、早期の治療介入と有効性の高い治療薬が重要である[2)]。 本邦での発生例は 1994 年以降報告はないが、生物兵器・テロへの利用懸念から厚生労働省の重点感染症の暫定リストに選定されている[3)]。 1）　Dixon TC., Meselson M., Guilemin J., Hanna PC., [Anthrax]. N Engl J Med. 1999; 341(11):815-26. doi: 10.1056/NEJM199909093411107. PMID: 10477781. 2）　Jernigan JA., Stephens DS., et al., [Bioterrorism-related inhalational anthrax: the first 10 cases reported in the United States] Emerg Infect Dis. 2001; 7(6):933-44. doi: 10.3201/eid0706.010604. PMID: 11747719 3）　厚生労働省健康局 第 29 回厚生科学審議会予防接種･ワクチン分科会研究開発及び生産・流通部会 資料 1 「今後のパンデミックに備えるべき「重点感染症」について」（2022 年 7 月 6 日） https://www.mhlw.go.jp/content/10906000/000960404.pdf [accessed 2025 Feb 07] （2）医療上の有用性についての該当性　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。 〔特記事項〕	

	ヒトにおける有効性のエビデンスはなく、安全性の検討のみ実施されている状況であるが、ニュージーランド白色ウサギまたはカニクイザルを用いた治療に関する試験では、本薬剤の投与により有意な治療効果（高い生存率）および予防効果が示されている[4)]。成人および小児の炭疽患者において、適切な抗菌薬と併用した治療、または代替療法が適用できない場合または、既存の薬剤が使えない際の予防に使用することが認められている。 4） Mohamed N, Clagett M, Li J, Jones S, Pincus S, D'Alia G, Nardone L, Babin M, Spitalny G, Casey L. A high-affinity monoclonal antibody to anthrax protective antigen passively protects rabbits before and after aerosolized Bacillus anthracis spore challenge. Infect Immun. 2005 Feb;73(2):795-802. doi: 10.1128/IAI.73.2.795-802.2005. PMID: 15664918; PMCID: PMC547027.
備　　考	

資料 2-3-4

「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

＜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】
Avapritinib（AYVAKIT）（要望番号；R6-9）‥‥‥　1

要望番号	R6-9	要 望 者 名	
要望された医薬品		一　般　名	avapritinib（販売名：AYVAKIT）
		会　社　名	Blueprint Medicines Corporation
要 望 内 容		効能・効果	成人の切除不能または転移性の消化管間質腫瘍（GIST）で、血小板由来増殖因子受容体α（PDGFRA）エクソン 18 に特定の変異（D842V）を有する症例
		用法・用量	1 日 1 回 300mg を経口投与する
「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		（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患） 〔特記事項〕 既存の報告 1)によると、下記の無再発生存率及び全生存率であり、生命に重大な影響がある疾患と言える。 5 年無再発生存率：82.3% 10 年無再発生存率：77.9% 5 年全生存率：87.9% 10 年全生存率：79.5% 1) Yanagimoto Y, Takahashi T, Muguruma K, et al., Re-appraisal of risk classifications for primary gastrointestinal stromal tumors (GISTs) after complete resection: indications for adjuvant therapy. Gastric Cancer. 2015 Apr;18(2):426-33. doi: 10.1007/s10120-014-0386-7. Epub 2014 May 23. PMID:24853473. （2）医療上の有用性についての該当性　ウ　欧米等において標準的療法に位置付けられており、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。 〔特記事項〕 本薬剤は、米国、英国、及び欧州（EMA）において要望する効能・効果での承認を得ている。 本邦における PDGFRA 遺伝子の exon 18 D842V 変異を有する GIST の治療では、既存薬（イマチニブ）以外に選択肢がない。一方で、PDGFRA 遺伝子の exon 18 D842V 変異を有する GIST にはイマチニブの効果が期待できない可能性が高いと言われている。本薬剤は、NAVIGATOR 試験（NCT02508532）において D842V 変異を有する患者に対して高い奏効率を示した 2)。 海外のガイドラインとして、米国、欧州、カナダで本薬剤の記載があることを確認している。各ガイドラインにおける記載は下	

	記の通り。 米国[3]：イマチニブ耐性 PDGFRA D842V 変異またはイマチニブ非感受性であることが知られているその他の PDGFRA エクソン 18 変異を伴う切除不能、進行性、または転移性 GIST 患者に対する好ましい第一選択治療選択肢としてアバプリチニブを推奨している。 欧州[4]：推奨事項：PDGFRA エクソン 18 D842V 変異を有する患者に対する標準的な第一選択治療は、アバプリチニブ 300 ㎎を毎日投与することである。 カナダ[5]：GIST 治療の医学的推奨事項:PDGFRA-D842V 陽性変異:治療を必要とする転移性疾患に対しては、アバプリチニブ 30～400mg が劇的な効果を示している。NCCN では、進行期および術前補助療法の両方で推奨されている。しかし、2020 年 1 月 9 日に FDA が承認したにもかかわらず、アバプリチニブへのアクセスは国際的に依然として困難である。 2) Heinrich MC, Jones RL, von Mehren M, et al., Avapritinib in advanced PDGFRA D842V-mutant gastrointestinal stromal tumour (NAVIGATOR): a multicentre, open-label, phase 1 trial. Lancet Oncol. 2020 Jul;21(7):935-946. doi: 10.1016/S1470-2045(20)30269-2. PMID: 32615108 3) Gastrointestinal Stromal Tumors, Version 2.2022: Featured Updates to the NCCN Guidelines, J Natl Compr Canc Netw. 2022 Nov;20(11):1204–1214. 4) Gastrointestinal stromal tumours: ESMOeEURACANeGENTURIS Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. Ann Oncol, Volume 33, Issue 1, p20-33January 2022. 5) Pan-Canadian consensus recommendations for GIST management in high- and low-throughput centres across Canada., Ther Adv Med Oncol. 2024 Aug 2;16:17588359241266179. doi: 10.1177/17588359241266179. eCollection 2024. PMID: 39386314.
備　　考	

公募品目の開発に向けた取組み

資料２－４

- 海外品目の国内導入にあたっては、海外企業とのライセンス契約、日本国内での開発の両輪が必要。
- ドラッグ・ロスの積極的な解消に向け、以下のような支援策を組み合わせて企業の取組みを後押ししていく。

海外企業とのマッチング支援

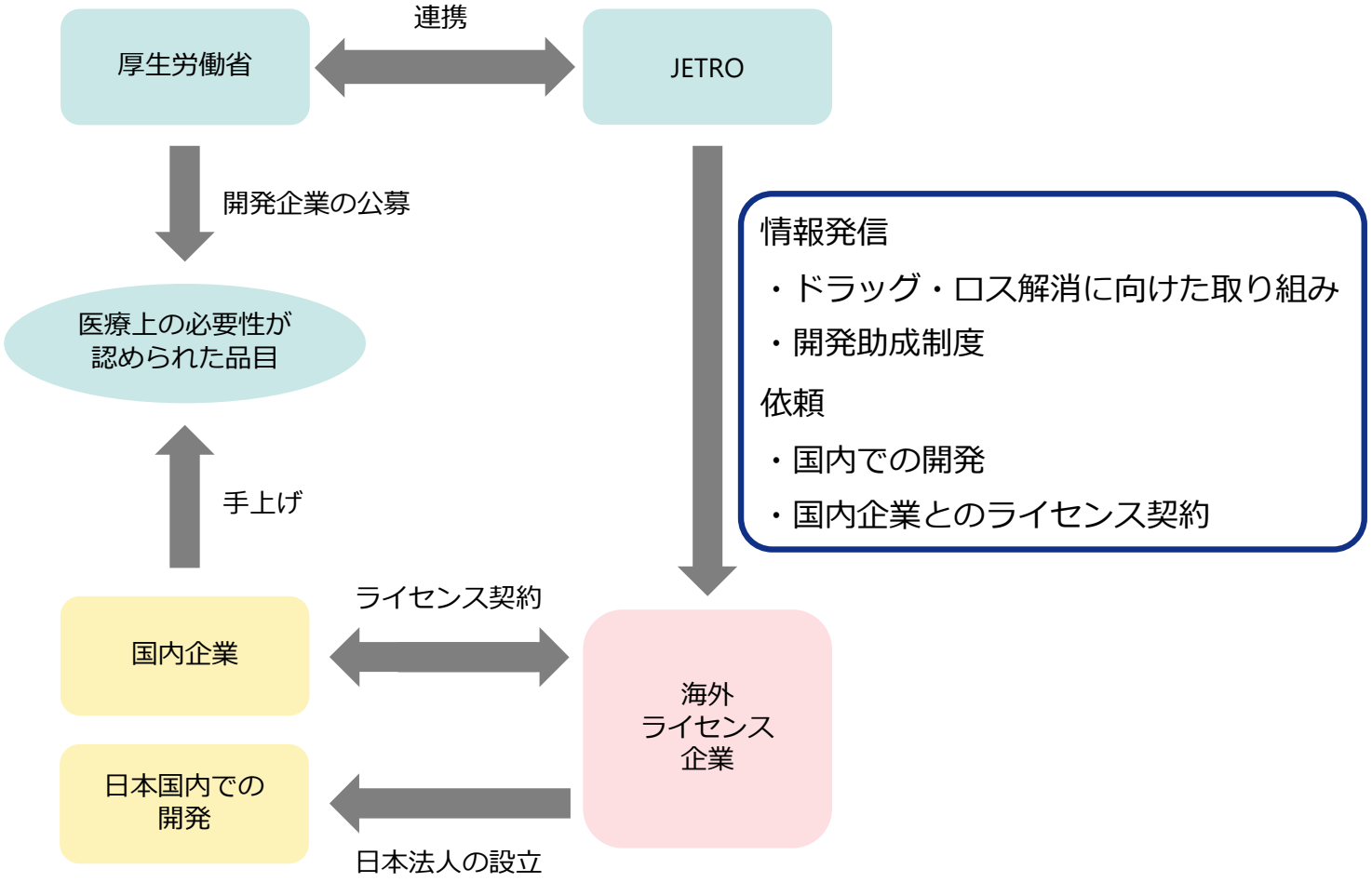
- JETROと連携し、ドラッグ・ロス解消に向けた取組や開発助成制度を英語で発信
- 国立高度専門医療研究センターで実施予定の「ワンストップ相談窓口」と厚生労働省研究開発政策課が連携し、品目ごとの海外企業とのマッチングを個別に支援

個別の品目の開発に対する支援メニュー

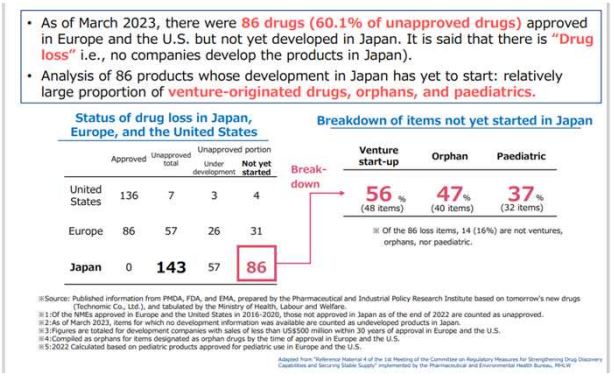
- 公募品目は、新薬創出・適応外薬解消等促進加算の対象品目として一定期間の薬価を維持
- 希少疾病用医薬品については、治験費用の助成や税制優遇等を受けることが可能
- PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業において医薬品医療機器総合機構（PMDA）が実施する「医薬品申請データパッケージ相談（医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における開発品）」の相談手数料の補助
- 一部の市場性の乏しい感染症治療薬（抗マラリア薬等）については、公的研究班による使用体制の構築などのアプローチについても検討

海外ライセンス企業への情報発信

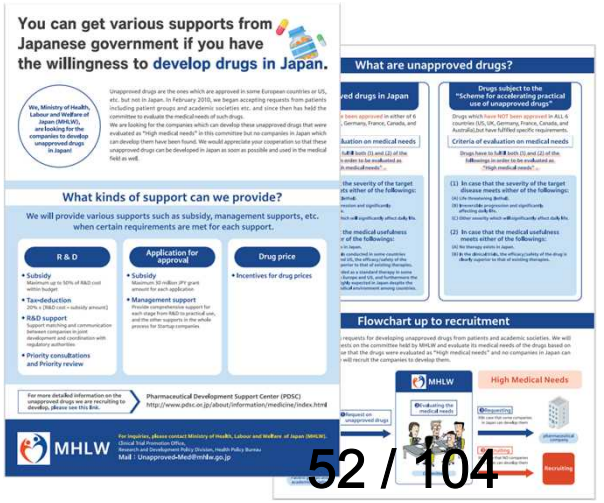
- ドラッグ・ロス品目86品目のうち、48品目（56%）が**ベンチャー発**の医薬品。
- ベンチャー企業を含め日本国内に開発拠点を有さない**海外製薬企業**にとって、日本への導入には高いハードルがある。
- 海外製薬企業が日本での開発、日本国内企業とのライセンス契約を検討できるよう、**ドラッグ・ロス解消に向けた取り組み**や**開発助成制度**に関する情報を海外製薬企業に対し発信する必要がある。
- 政府として**JETROと連携**し、情報発信やライセンス契約の検討等の依頼に取り組んでいく。



取り組みの説明資料（英語Ver.）



海外向け広報リーフレット



【〇国際共同治験のためのワンストップ窓口の設置】
施策名：国際共同治験ワンストップ相談窓口事業

令和6年度補正予算　2.7億円

医政局研究開発政策課
（内線4165）

① 施策の目的

国際共同治験の実施体制の強化を行うため、日本国内に開発拠点を有さない海外のスタートアップや製薬企業から国内での治験・臨床試験の実施について相談を受付・支援、国内での治験等の実施を誘致することで、ドラッグ・ラグ／ロスの解消につなげる。

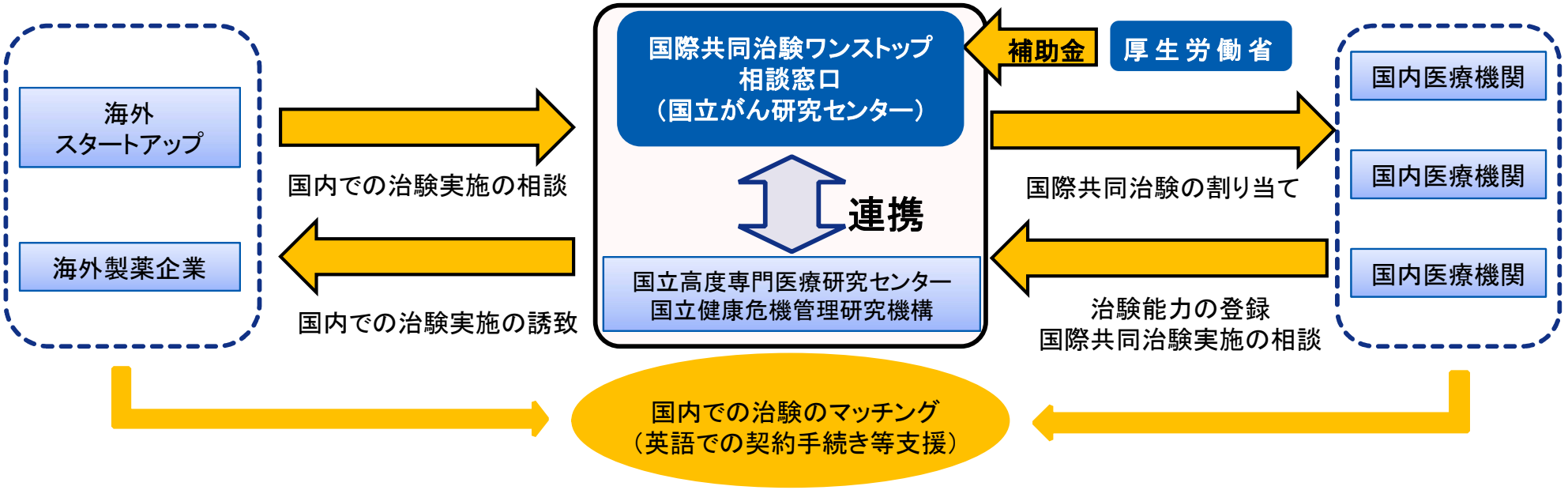
② 対策の柱との関係

Ⅰ	Ⅱ	Ⅲ
○		

③ 施策の概要

日本国内に開発拠点を有さない海外のスタートアップや製薬企業に対し、国内での治験実施について相談を受け、国内での治験実施を調整するとともに、国内での治験の実施の誘致を行うワンストップサービス窓口の設置を行う。

④ 施策のスキーム図、実施要件（対象、補助率等）等



⑤ 成果イメージ（経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む）

令和10年度におけるワンストップ窓口への国際共同治験の相談件数を年間15件とする。

公募品目・希少疾病用医薬品向け支援策等

公募品目支援策

- 薬価改定時の新薬創出・適応外薬解消等促進加算適用による薬価維持
- PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業

希少疾病用医薬品向け支援策

- 希少疾病用医薬品等開発振興事業（医薬基盤・健康・栄養研究所）
  - 必要な試験研究費に対する助成金の交付
- 優先対面助言制度・優先審査等（医薬品医療機器総合機構）
- 研究開発税制による優遇措置
  - 試験研究費に対する通常の税額控除に加え、追加で20%の税額控除
- 再審査期間の延長
- 薬価算定時の市場性加算（Ⅰ）適用
- 薬価改定時の新薬創出・適応外薬解消等促進加算適用による薬価維持

スタートアップ向け支援策

- 医療系ベンチャー・トータルサポート（MEDISO）事業
- 創薬ベンチャーエコシステム強化事業（日本医療研究開発機構）
- レギュラトリーサイエンス総合相談・戦略相談（医薬品医療機器総合機構）
- 他各種公的支援策

拡充

PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター事業

医薬局
医薬品審査管理課
（内線2746）

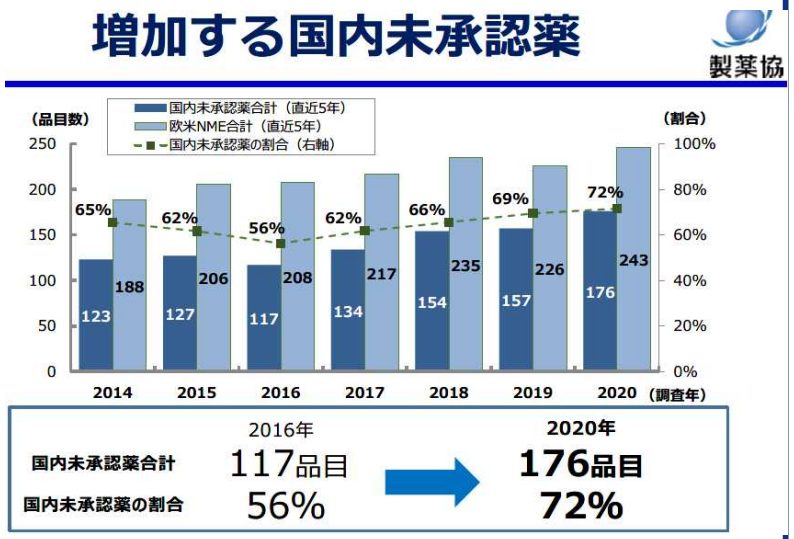
令和７年度当初予算額　1.2　億円（1.2億円）※（）内は前年度当初予算額

1　事業の目的

○　近年、希少疾病用・小児用等の医薬品を中心に、欧米では承認されている医薬品が日本で開発されない、**ドラッグ・ロスの拡大**が指摘されている。

○　我が国にとって医療上必要な医薬品の導入を促進するため、厚労省の検討会（※）において**薬事規制の大幅な見直し**を進めるとともに、その実行のため、**令和６年度より「PMDA小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター」を設置**し、以下の対応を進めている。

① 希少疾病用医薬品指定の早期化・拡大
② 小児用薬の開発計画の策定を企業に促しPMDAが確認する仕組みの対応の促進
③ 「医療上の必要性の高い未承認薬･適応外薬検討会議」における評価の加速化
④ PMDA相談手数料の企業等への補助



（※）創薬力の強化・安定供給の確保等のための薬事規制のあり方に関する検討会（令和６年４月報告書とりまとめ）

○　令和７年度は、①見直しに伴う**希少疾病用医薬品の指定増加等に対応するための審査体制の強化**を行うとともに、②**未承認薬等検討会議において学会等の要望を待たずに国が主導的に評価・開発要請を行う新たなスキーム**を導入する。

2　事業の概要・スキーム

小児・希少疾病用医薬品等薬事相談センター

①希少疾病用医薬品	②小児用医薬品	③未承認薬検討会議
指定・指定見直しの相談・審査	開発計画の確認・進捗管理	評価の加速 (調査、評価書作成等)

PMDA相談手数料の補助

対象：上記①・②に関して企業が支払う相談手数料。未承認薬等検討会議での開発公募品や医師主導治験による開発品。

3　実施主体等

実施主体：PMDA

費用内訳：
- 相談手数料の補助（企業、アカデミア等）
- 体制確保の人件費：補助率50／100等

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

資料3-1

学会や患者団体等から提出された要望のうち、医療上の必要性に係る検討状況

（令和７年５月９日 第63回会議）※ 要望等の件数は会議1.5ヶ月前締め

			第Ⅰ～Ⅲ回 要望※1	第Ⅳ回 要望※1	合計	前回からの変動理由 (括弧内は前回会議からの増減)
学会・患者団体等からの要望総数			832件	240件 (＋６)	1072件	新規要望を受理（＋６件） ※2
専門WG	検討済	検討中	４件	44件 (－１)	48件	新規要望を受理（＋６件）、専門WGで検討終了（－５件）、取り下げ（－２件）
		必要性高い	348件	116件 (＋５)	464件	小児WGで評価（＋１件）抗菌・抗炎症WGで評価（＋３件）、抗がんWGで評価（＋１件）→本日の会議で審議
		必要性高くない	187件	16件	203件	
本会議	検討済	必要性高い	348件	111件 (＋２)	459件	前回会議で評価済み（＋２件）
		必要性高くない	187件	16件	203件	
対象外		既に開発中	21件	9件	30件	
		取下げ等	272件	55件 (+2)	327件	取り下げ（＋２件）

※1 要望受付時期：第Ⅰ回 2009.6.18～8.17、第Ⅱ回 2011.8.2～9.30、第Ⅲ回 2013.8.1～2015.6.30、第Ⅳ回 2015.7.1～随時募集

※2 個々の品目の詳細は別添を参照

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（第Ⅰ～Ⅲ回要望）

別添

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	小児WG	検討状況等
＜抗菌・抗炎症WG＞									
1	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
2	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。30kg未満はRPZ5mg、30kg以上はRPZ10mgで成人量と同様である。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメトロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。 ※下線部分が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	エーザイ株式会社	適応外薬	○	今後の方針を検討中
3	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・ピロリの除菌の補助 ※下線部分が要望内容	オメプラゾール(OMP)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。15-30kg未満はOMP10mg、30-40kg未満はOMP20mg、40kg以上は成人量と同様である。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメトロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。 ※下線部分が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	アストラゼネカ株式会社	適応外薬	○	今後の方針を検討中
4	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・ピロリの除菌の補助 ※下線部分が要望内容	ランソプラゾール(LPZ)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。15-30kg未満はLPZ15mg、30-40kg未満はLPZ30mg、40kg以上は成人量と同様である。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメトロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。 ※下線部分が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	武田薬品工業株式会社	適応外薬	○	今後の方針を検討中

未承認薬	0
適応外薬	4
合計	4

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（第Ⅳ回要望）

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬適応外薬の分類	小児WG	検討状況等
＜代謝・その他WG＞									
1	Ⅳ-194	ヒドロキソコバラミン	ビタミンB12反応性メチルマロン酸血症、cblC異常症における代謝動態の改善	1～14mg/週　筋注または静注	日本先天代謝異常学会	エイワイファーマ株式会社	適応外薬		要望書の内容について要望者に確認中
2	IVS-33	ダルベポエチンアルファ（遺伝子組換え）	未熟児貧血	週1回10μg/kgを皮下投与する	日本新生児成育医学会	協和キリン株式会社	迅速実用化	○	要望書の内容について要望者に確認中
＜循環器WG＞									
3	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		今後の方針を検討中
4	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	バイエル薬品	適応外薬		今後の方針を検討中
5	Ⅳ-103	リバーロキサバン	深部静脈血栓症及び肺血栓塞栓症の治療及び再発抑制	通常、成人には深部静脈血栓症又は肺血栓塞栓症発症後の初期3週間はリバーロキサバンとして15mgを1日2回食後に経口投与し、その後3ヶ月までは15mgを1日1回食後に経口投与する。6ヶ月以降の延長治療期には、10mgを1日1回経口投与に減量する事も考慮する*。*再発の危険性が低く、出血の危険性が高い場合	日本静脈学会	バイエル薬品	適応外薬		今後の方針を検討中
6	Ⅳ-104	アピキサバン	静脈血栓塞栓症（深部静脈血栓症及び肺血栓塞栓症）の治療及び再発抑制	通常、成人にはアピキサバンとして 1 回 10mg を1 日 2 回、7 日間経口投与した後、1 回 5mg を 1日 2 回経口投与する。6 ヶ月間の維持療法後は再発と出血のリスクを勘案して 5mg または 2.5mg を1 日 2 回経口投与する。6 ヶ月以降の延長治療期には、2.5mg を 1 日 2 回経口投与に減量する事も考慮する*。*再発の危険性が低く、出血の危険性が高い場合	日本静脈学会	ブリストル・マイヤーズ・スクイブ株式会社	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	小児WG	検討状況等
7	Ⅳ-163	デクスラゾキサン	小児悪性腫瘍患者におけるアントラサイクリン系抗悪性腫瘍剤の使用による心筋症発症抑制および重症化抑制	心筋症の発症抑制の際の推奨投与方法 使用する場合は用時溶解し、デクスラゾキサンを更に希釈して使用すること。 ドキソルビシンあるいはエピルビシン投与前15分かけてデクスラゾキサンを静脈内注入により投与する。ドキソルビシンあるいはエピルビシンを以後も投与する場合はデクスラゾキサンの投与も継続する。ただし静注により投与しないこと。 デクスラゾキサンのドキソルビシンあるいはエピルビシンに対する推奨用法用量比率は10:1である（例えば、500mg/m² デクスラゾキサン：50mg/m²ドキソルビシン、600mg/m² デクスラゾキサン：60mg/m²エピルビシン）。デクスラゾキサン注入終了後、30分以内にドキソルビシンあるいはエピルビシンを投与する。 小児の場合 アントラサイクリン系抗悪性腫瘍剤治療を受ける小児・思春期の心筋症発生抑制および重症化抑制。腫瘍制御を維持するためにドキソルビシンあるいはエピルビシン等治療を継続する小児がん・肉腫において、ドキソルビシンあるいはエピルビシン等投与に伴う心筋症の発現率および重症度を低下させる。	一般社団法人　日本腫瘍循環器学会	キッセイ薬品工業株式会社	適応外薬	○	企業見解確認中
8	Ⅳ-164	デクスラゾキサン	成人転移性乳癌患者におけるアントラサイクリン系抗悪性腫瘍剤の心筋症発症抑制	心筋症の発症抑制の際の推奨投与方法 使用する場合は用時溶解し、デクスラゾキサンを更に希釈して使用すること。 ドキソルビシンあるいはエピルビシン投与前15分かけてデクスラゾキサンを静脈内注入により投与する。ドキソルビシンあるいはエピルビシンを以後も投与する場合はデクスラゾキサンの投与も継続する。ただし静注により投与しないこと。 デクスラゾキサンのドキソルビシンあるいはエピルビシンに対する推奨用法用量比率は10:1である（例えば、500mg/m² デクスラゾキサン：50mg/m²ドキソルビシン、600mg/m² デクスラゾキサン：60mg/m²エピルビシン）。デクスラゾキサン注入終了後、30分以内にドキソルビシンあるいはエピルビシンを投与する。 成人の場合：累積ドキソルビシン量300 mg/m2あるいは累積エピルビシン量540 mg/m2腫瘍制御を維持するためにドキソルビシンあるいはエピルビシン治療を継続する転移性乳がんにおいて、ドキソルビシンあるいはエピルビシン投与に伴う心筋症の発現率および重症度を低下させる。ドキソルビシンあるいはエピルビシン開始とともにデクスラゾキサンを使用しないこと。	一般社団法人　日本腫瘍循環器学会	キッセイ薬品工業株式会社	適応外薬		企業見解確認中
9	Ⅳ-167	ガルカネズマブ（遺伝子組換え）	群発頭痛発作の発症抑制	300mgを1ヶ月間隔で皮下投与する。	個人	日本イーライリリー株式会社	適応外薬		今後の方針を検討中
10	Ⅳ-170	尿素（13C）	小児・未成年者（青年）に対するヘリコバクター・ピロリの感染診断	通常、小児・未成年者（青年）には、尿素（13C）として100mg（1錠）を空腹時に経口投与する。	一般社団法人日本ヘリコバクター学会	大塚製薬株式会社	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	小児WG	検討状況等
11	Ⅳ-191	リツキシマブ（遺伝子組換え）	○ 後天性血栓性血小板減少性紫斑病 ※リツキシマブ（遺伝子組換え）の効能又は効果として、既に後天性血栓性血小板減少性紫斑病に対する承認が得られているが、効能又は効果に関連する注意において再発又は難治の場合に使用が制限されていることから、当該使用上の注意の改訂を希望する。	〈多発血管炎性肉芽腫症、顕微鏡的多発血管炎、慢性特発性血小板減少性紫斑病、後天性血栓性血小板減少性紫斑病、全身性強皮症〉 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/m2を1週間間隔で4回点滴静注する。 〈効能共通〉 本剤は用時生理食塩液又は5%ブドウ糖注射液にて1～4mg/mLに希釈調製し使用する。	一般社団法人 日本血液学会	全薬工業株式会社	適応外薬		企業見解を確認中
12	Ⅳ-198	tenecteplase	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）	体重kg当たりtenecteplase 0.25mgを静脈内ボーラス投与する。	日本脳卒中学会	Boehringer Ingelheim（欧州、豪州、アジア）	未承認薬		要望書を確認中
13	Ⅳ-201	無水エタノール	不整脈（心房性および心室性）に対する経皮的エタノール注入療法	目標血管に対し1ccを2分かけて注入する。標的血管によって合計4回までの注入を繰り返す	日本不整脈心電学会	扶桑薬品 ヴィアトリス・ヘルスケア	適応外薬		要望書を確認中
14	IVS-32	アミノレブリン酸塩酸塩	経尿道的膀胱腫瘍切除術時における筋層非浸潤性膀胱癌の可視化 尿管鏡検査時における上部尿路上皮癌の可視化	＜経尿道的膀胱腫瘍切除術時における筋層非浸潤性膀胱癌の可視化＞ 通常、成人には、アミノレブリン酸塩酸塩として20mg/kgを、膀胱鏡挿入2～8時間前に、水に溶解して経口投与する。 ＜尿管鏡検査時における上部尿路上皮癌の可視化＞ 通常、成人には、アミノレブリン酸塩酸塩として20mg/kgを、尿管鏡挿入2～8時間前に、水に溶解して経口投与する。	一般社団法人 日本泌尿器科学会、一般社団法人 日本泌尿器内視鏡・ロボティクス学会、泌尿器光力学研究会	SBIファーマ株式会社	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	小児WG	検討状況等
＜精神・神経WG＞									
15	Ⅳ-199	Cisatracurium besylate（成人）	気管挿管時の筋弛緩、麻酔時の筋弛緩、ならびに集中治療室における呼吸管理時の筋弛緩	静脈内投与 気管挿管時：0.10～0.15 mg/kg 維持：0.02～0.03 mg/kg(10~25分毎) 持続投与：3 mcg/kg/min（開始時） 1-2 mcg/kg/min（安定時）	公益社団法人　日本麻酔科学会	Abbvie Aspen Kalceks Omega	未承認薬		要望書を確認中
16	Ⅳ-200	Cisatracurium besylate（小児）	気管挿管時の筋弛緩、麻酔時の筋弛緩、ならびに集中治療室における呼吸管理時の筋弛緩	静脈内投与 気管挿管時： 【成人】0.10-0.15 mg/kg 【2~12歳】0.10-0.15 mg/kg 【1~23ヶ月】0.15 mg/kg 維持： 【成人】0.02-0.03 mg/kg（10-25分毎） 【2~12歳】0.02 mg/kg 持続投与： 【成人】 3 mcg/kg/min（開始時）、1-2 mcg/kg/min（安定時） 【2~12歳】 3 mcg/kg/min（開始時）、1-2 mcg/kg/min（安定時）	公益社団法人　日本麻酔科学会	Abbvie Aspen Kalceks Omega	未承認薬	○	要望書を確認中
17	Ⅳ-204	プロプラノロール塩酸塩	本態性高血圧症（軽症～中等症） 狭心症 褐色細胞腫手術時 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 片頭痛発作の発症抑制 右心室流出路狭窄による低酸素発作の発症抑制 本態性振戦	1.本態性高血圧症（軽症～中等症）に使用する場合 通常、成人にはプロプラノロール塩酸塩として1日30～60mgより投与をはじめ、効果不十分な場合は120mgまで漸増し、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。 2.狭心症、褐色細胞腫手術時に使用する場合 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。 3.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。 4.片頭痛発作の発症抑制に使用する場合 通常、成人にはプロプラノロール塩酸塩として1日20～30mgより投与をはじめ、効果が不十分な場合は60mgまで漸増し、1日2回あるいは3回に分割経口投与する。 5.右心室流出路狭窄による低酸素発作の発症抑制に使用する場合 通常、乳幼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、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。 6.本態性振戦に使用する場合 経口、10mg～30mg/日。1日に1～3回に分割投与する。なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日投与量として60mgを超えないこと。	日本神経学会	太陽ファルマ株式会社	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	小児WG	検討状況等
18	Ⅳ-S-16	glycyl-L-2-methylprolyl-L-glutamic acid（グリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸）（trofinetide(トロフィネチド)（開発名: NNZ-2566)）	レット症候群に起因する運動・神経系の諸障害の改善および進行の停止	レット症候群患者に対してグリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸として1日70 mg/kg 分2（成人(15歳超)）を経口投与により使用する。	認定NPO法人　レット症候群支援機構	Neuren Pharmaceuticals, Ltd.（豪）（ニューレンファーマシューティカルズリミテッド） ACADIA Pharmaceuticals Inc.（米）（アカディアファーマシューティカルズインコーポレイテッド）	迅速実用化		要望書を確認中
19	Ⅳ-S-17	glycyl-L-2-methylprolyl-L-glutamic acid（グリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸）（trofinetide(トロフィネチド)（開発名: NNZ-2566)）	レット症候群に起因する運動・神経系の諸障害の改善および進行の停止	レット症候群患者に対してグリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸として1日200 mg/kg分2（小児(5-15歳)）を経口投与により使用する。	認定NPO法人　レット症候群支援機構	Neuren Pharmaceuticals, Ltd.（豪）（ニューレンファーマシューティカルズリミテッド） ACADIA Pharmaceuticals Inc.（米）（アカディアファーマシューティカルズインコーポレイテッド）	迅速実用化	○	要望書を確認中
＜抗菌・抗炎症WG＞									
20	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。15-30kg未満は15mg/kg/日、30-40kg未満は15mg/kg/日、40kg以上は成人量と同様である。 ※下線部が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	大正製薬株式会社 アボット ジャパン株式会社	適応外薬		今後の方針を検討中
21	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。15-30kg未満は50mg/kg/日、30-40kg未満は1500mg/日、40kg以上は成人量と同様である。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメトロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。 ※下線部が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	協和発酵キリン株式会社 アステラス製薬株式会社 武田薬品工業株式会社	適応外薬		今後の方針を検討中

<table>
<tr><th>No.</th><th>要望番号</th><th>成分名</th><th>要望効能・効果</th><th>要望用法・用量</th><th>要望者</th><th>会社名</th><th>未承認薬
適応外薬
の分類</th><th>小児WG</th><th>検討状況等</th></tr>
<tr><td>22</td><td>Ⅳ-42</td><td>エソメプラゾール</td><td>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</td><td>エソメプラゾール、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3 剤を下表の1 日量を1 日2回で1 週間経口投与する。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAM をメトロニダゾール(MNZ)に替えた3 剤を下表の1日量を1 日2 回で1 日2 回1 週間経口投与する。
<table><tr><td></td><td>15-30kg未満</td><td>30-40kg未満</td></tr><tr><td>ｴｿﾒﾌﾟﾗｿﾞｰﾙ</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）、メトロニダゾールとして1 回250mg（力価）、及びエソメプラゾールとして1 回10mg（15-30kg 未満）または20mg（30-40kg 未満）の3剤を同時に1 日2 回、7 日間経口投与する。</td><td>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</td><td>アストラゼネカ株式会社</td><td>適応外薬</td><td>○</td><td>今後の方針を検討中</td></tr>
<tr><td>23</td><td>Ⅳ-90</td><td>トシリズマブ</td><td>多関節に活動性を有する若年性特発性関節炎</td><td>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。</td><td>日本小児リウマチ学会</td><td>中外製薬</td><td>適応外薬</td><td>○</td><td>更新情報を要望者に確認中</td></tr>
<tr><td>24</td><td>Ⅳ-91</td><td>トシリズマブ</td><td>全身型若年性特発性関節炎</td><td>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。</td><td>日本小児リウマチ学会</td><td>中外製薬</td><td>適応外薬</td><td>○</td><td>更新情報を要望者に確認中</td></tr>
<tr><td>25</td><td>Ⅳ-107</td><td>トシリズマブ</td><td>全身性強皮症に伴う間質性肺疾患の増悪抑制、改善</td><td>通常、成人にはトシリズマブ として1回162mgを1週間隔で皮下注射する。</td><td>日本リウマチ学会
日本呼吸器学会</td><td>中外製薬株式会社</td><td>適応外薬</td><td></td><td>企業見解を確認中</td></tr>
</table>

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	小児WG	検討状況等
26	Ⅳ-182	ヒドロキシクロロキン硫酸塩（成人）	関節リウマチ	通常、ヒドロキシクロロキン硫酸塩として200mg又は400mgを1日1回食後に経口投与する。 ただし、1日の投与量はブローカ式桂変法により求められる以下の理想体重に基づく用量とする。 女性患者の理想体重（kg）＝（身長（cm）-100）×0.85 男性患者の理想体重（kg）＝（身長（cm）-100）×0.9 ・理想体重が31kg以上46kg未満の場合、1日1回1錠（200mg）を経口投与する。 ・理想体重が46kg以上62kg未満の場合、1日1回1錠（200mg）と1日1回2錠（400mg）を1日おきに経口投与する。 ・理想体重が62kg以上の場合、1日1回2錠（400mg）を経口投与する	一般社団法人日本リウマチ学会	サノフィ株式会社	適応外薬		検討中
27	Ⅳ-184	ヒドロキシクロロキン硫酸塩（小児）	若年性特発性関節炎	通常、ヒドロキシクロロキン硫酸塩として200mg又は400mgを1日1回食後に経口投与する。 ただし、1日の投与量はブローカ式桂変法により求められる以下の理想体重に基づく用量とする。 女性患者の理想体重（kg）＝（身長（cm）-100）×0.85 男性患者の理想体重（kg）＝（身長（cm）-100）×0.9 ・理想体重が31kg以上46kg未満の場合、1日1回1錠（200mg）を経口投与する。 ・理想体重が46kg以上62kg未満の場合、1日1回1錠（200mg）と1日1回2錠（400mg）を1日おきに経口投与する。 ・理想体重が62kg以上の場合、1日1回2錠（400mg）を経口投与する。	一般社団法人日本リウマチ学会	サノフィ株式会社	適応外薬	○	検討中
28	Ⅳ-187	トシリズマブ（遺伝子組換え）	既存治療で効果不十分な（重症型）下記疾患 再発性多発軟骨炎	1回162mgを2週間隔で皮下注射する。さらに効果不十分の場合、1回162mgを1週間隔で皮下注射する。	一般社団法人日本リウマチ学会	中外製薬株式会社	適応外薬		要望書を確認中
29	Ⅳ-192	アドレナリン	マムシ抗毒素投与の際のアナフィラキシー予防	成人に対してまむし抗毒素の投与前にアドレナリン1回0.25 - 0.3 mgを皮下注射または筋肉内注射する	日本中毒学会	第一三共株式会社	適応外薬		要望書を確認中
30	Ⅳ-195	ニトロフラントイン	ニトロフラントインに感受性がある、もしくは感受性が強く疑われる原因菌によって引き起こされる急性単純性膀胱炎の治療に適応される。	成人において100mgを1日2回、投与期間は5から7日とする。食事と一緒に服用。	日本感染症学会、日本化学療法学会	Procter and Gamble Pharmaceuticals, Inc.	未承認薬		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	小児WG	検討状況等
31	Ⅳ-196	エルタペネムナトリウム	1.1 複雑性腹腔内感染症 エルタペネム（一般名：エルタペネムナトリウム、商品名：INVANZ）は、Escherichia coli、Clostridium clostridioforme、Eubacterium lentum、Peptostreptococcus species、Bacteroides fragilis、Bacteroides distasonis、Bacteroides ovatus、Bacteroides thetaiotaomicron、またはBacteroides uniformisに起因する複雑性腹腔内感染症の成人患者および小児患者（生後3ヵ月以上）の治療に適応される。 1.2 骨髄炎を伴わない糖尿病性足感染症を含む複雑性皮膚・皮膚構造感染症 エルタペネムは、骨髄炎を伴わない糖尿病性足感染症を含む、Staphylococcus aureus（メチシリン感受性分離菌のみ）, Streptococcus agalactiae, Streptococcus pyogenes, Escherichia coli, Klebsiella pneumoniae, Proteus mirabilis, Bacteroides fragilis, Peptostreptococcus species, Porphyromonas asaccharolytica, またはPrevotella biviaによる複雑性皮膚・皮膚構造感染症の成人患者および小児患者（生後3ヵ月以上）の治療に適応される。エルタペネムは、骨髄炎を合併した糖尿病性足感染症では研究されていない［臨床試験（14）を参照］。 1.3 市中肺炎 エルタペネムは、菌血症、インフルエンザ菌（β-ラクタマーゼ非産生菌のみ）、モラクセラ・カタラーリスが同時に存在する場合を含む、肺炎球菌（Streptococcus pneumoniae）（ペニシリン感受性菌のみ）による市中肺炎の成人患者および小児患者（生後3ヵ月以上）の治療に適応される。 1.4 腎盂腎炎を含む複雑性尿路感染症 エルタペネムは、大腸菌（菌血症を合併している場合を含む）または肺炎桿菌	2.1 すべての患者への使用説明 静脈内または筋肉内投与の場合 エルタペネムを他の薬剤と混合または混注しないこと。デキストロース（α-D-グルコース）を含む希釈液を使用しないこと。 エルタペネムは、点滴静脈内注射で最長14日間または筋肉内注射で最長7日間で投与することができる。静脈内投与の場合、エルタペネムは30分かけて注入する。 筋肉内投与が適切な感染症の治療では、エルタペネムの静脈内投与の代わりとして筋肉内投与が使用できる。 2.2 治療レジメン 13歳以上 13歳以上の患者におけるエルタペネムの用量は、1日1回1グラム（g）である［臨床薬理（12.3）を参照］。 生後3ヵ月～12歳 生後3ヵ月から12歳までの患者におけるエルタペネムの用量は、15mg/kgを1日2回（1g/日を超えない）である。 表1にエルタペネムの治療指針を示す。（表1は要望書参照） 2.3 成人における予防レジメン 表2に成人における予防指針を示す（表2は要望書参照） 2.4 腎機能障害のある患者 エルタペネムは、腎機能障害のある成人患者における感染症の治療に使用することができる。クレアチニンクリアランスが30mL/分/1.73m2以上の患者では、投与量の調整は必要ない。クレアチニンクリアランス≦30mL/分/1.73m2）および末期腎疾患（クレアチニンクリアランス≦10mL/分/1.73m2）の成人患者には、1日500mgを投与する。血液透析前6時間以内にエルタペネムを投与する場合は、150mgの追加投与が推奨される。腎機能障害のある小児患者におけるデータはない。 2.5 血液透析中の患者 血液透析を受けている成人患者に対して、エルタペネムを1日推奨用量である500mgを血液透析前6時間以内に投与する場合、血液透析後に150mgを追加投与することが推奨される。エルタペネムを血液透析の6時間以上前に投与する場合は、追加投与は必要ない。腹膜透析または血液濾過を受けている患者におけるデータはない。血液透析を受けている小児患者におけるデータはない。 血清クレアチニンデータのみが入手可能な場合、クレアチニンクリアランスの推定には以下の式 が使用できる。血清クレアチニンは腎機能の定常状態を表すはずである。 男性：（体重（kg）×（140-年齢（歳））/（72）×血清クレアチニン（mg/100mL） 女性：（0.85）×（男性について計算した値） 2.6 肝機能障害のある患者 肝機能障害のある患者では、用量調節の推奨はできない［特定の人口	日本感染症学会、日本化学療法学会	Merck & Co., Inc.	未承認薬		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	小児WG	検討状況等
			による腎盂腎炎を含む複雑性尿路感染症の成人患者および小児患者（生後3ヵ月以上）の治療に適応される。 1.5 分娩後子宮内膜筋層炎、敗血症性流産、婦人科手術後感染症を含む急性骨盤内感染症 エルタペネムは、Streptococcus agalactiae、Escherichia coli、Bacteroides fragilis、Porphyromonas asaccharolytica、Peptostreptococcus species、Prevotella biviaに起因する分娩後子宮内膜筋層炎、敗血症性流産、婦人科手術後感染症を含む急性骨盤内感染症の成人患者および小児患者（生後3ヵ月以上）の治療に適応される。 1.6 待機的大腸手術後の手術部位感染の予防 エルタペネムは、成人において、待機的大腸手術後の手術部位感染の予防に適応される。 1.7 使用法 薬剤耐性菌の発生を抑え、エルタペネムや他の抗菌薬の効果を維持するため、エルタペネムは、感受性菌が原因であることが証明されているか、強く疑われる感染症の治療や予防にのみ使用されるべきである。培養や感受性の情報が入手できる場合は、抗菌薬療法の選択や変更に際して考慮すべきである。そのようなデータがない場合、地域の疫学と感受性パターンを経験的治療選択の参考にしてもよい。	における使用(8.7)および臨床薬理学(12.3)を参照]。 2.7 投与のための調製及び溶解 バイアル 成人および13歳以上の小児患者 静脈内投与の調整: エルタペネムを他の薬剤と混合または混注しないこと。 デキストロース(α-D-グルコース)を含む希釈剤を使用しないこと。 エルタペネムは、必ず投与前に溶解し、更に希釈して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを10mLの注射用水、0.9% 塩化ナトリウム注射液、または注射用静菌水のいずれかで溶解する。注射器には21ゲージ以下の注射針を用いる。注:針のない静注システムの使用は推奨されない。 推奨されない。 2. よく振って溶解したバイアル内容物を直ちに0.9%塩化ナトリウム注射液50mLに移す。 3. 点滴は、溶解後6時間以内に完了すること。 筋肉内投与の調整 エルタペネムは、必ず投与前に溶解して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを3.2mLの1.0%塩酸リドカイン注射液（エピネフリンを含まない）に溶解する。バイアルをよく振って溶液にする。 2. 直ちにバイアルから内容物を抜き取り、大型の筋肉(臀筋や大腿外側など)に深部筋肉内注射する。 3. 溶解した筋肉注射液は、調製後1時間以内に使用すること。注:溶解液は静脈内に投与しないこと。 生後3ヵ月から12歳までの小児患者 静脈内投与の調整: エルタペネムを他の薬剤と混合または混注しないこと。 デキストロース(α-D-グルコース)を含む希釈剤を使用しないこと。 エルタペネムは、必ず投与前に溶解し、更に希釈して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを10mLの注射用水、0.9% 塩化ナトリウム注射液、または注射用静菌水のいずれかで溶解する。注射器には21ゲージ以下の注射針を用いる。注:針のない静注システムの使用は推奨されない。 2. よく振って溶解し、直ちに15mg/kg体重相当量(1g/日を超えないこと)を抜き取り、0.9%塩化ナトリウム注射液で最終濃度が20mg/mL以下になるように希釈する。使用しなかったエルタペネム溶解液の入ったバイアルは廃棄する。 3. 点滴は、溶解後6時間以内に完了すること。 筋肉内投与の調整 エルタペネムは、必ず投与前に溶解して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを3.2mLの1.0%塩酸リドカイン注射液2(エピネフリンを含まない)に溶解する。バイアルをよく振って溶液にする。 2. 直ちに15mg/kg体重相当量(1g/日を超えないこと)を抜き取り、大型の					

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	小児WG	検討状況等
				筋肉（臀筋や大腿外側など）に深部筋肉内注射する。使用しなかったエルタペネム溶解液の入ったバイアルは廃棄する。 3. 溶解した筋肉注射液は、調製後1時間以内に使用すること。注：溶解液は静脈内に投与しないこと。 保存方法 希釈液で調製した場合、エルタペネム（注射用エルタペネム）は室温（25℃）で6時間、冷蔵（5℃）で24時間とその後冷蔵から取り出してから4時間以内の使用においては、十分な効力を維持する。エルタペネムの溶液は凍結させないこと。 投与前に、エルタペネム（注射用エルタペネム）の添付文書を参照のこと。 非経口用医薬品は、溶液や容器が許す限り、使用前に粒子状物質や変色がないか目視で検査すること。エルタペネムの溶液は無色から淡黄色までの範囲である。 この範囲内の色の変化は、製品の効力には影響しない。					
32	Ⅳ-205	サリルマブ（遺伝子組換え）	リウマチ性多発筋痛症	通常、成人にはサリルマブ（遺伝子組換え）として1 回200 mg を2 週間隔で皮下投与する。	一般社団法人日本リウマチ学会	サノフィ株式会社	適応外薬		要望書を確認中
33	IVS-31	ジクロフェナクナトリウム	カペシタビン誘発性手足症候群の予防	適量を1日2回手足に塗布する。	一般社団法人 日本癌治療学会	祐徳薬品工業株式会社、日本臓器製薬株式会社、帝國製薬株式会社	迅速実用化		要望書を確認中
34	IVS-34	ルキソリチニブリン酸塩（成人）	慢性活動性EBウイルス病（慢性活動性EBウイルス感染症、CAEBV）の疾患活動性（炎症症状）の抑制	本剤を1日2回、12時間毎を目安に経口投与する。用量はルキソリチニブリン酸塩として1回5mg～20mgの範囲とし血小板数により適宜増減する。	日本血液学会	ノバルティスファーマ株式会社	迅速実用化		要望書を確認中
35	IVS-35	ルキソリチニブリン酸塩（小児）	慢性活動性EBウイルス病（慢性活動性EBウイルス感染症、CAEBV）の疾患活動性（炎症症状）の抑制	13歳以上には本剤を1日2回、12時間毎を目安に経口投与する。用量はルキソリチニブリン酸塩として1回5mg～20mgの範囲とし血小板数により適宜増減する。 12歳は10 mg/回　1日2回 6歳以上12歳未満は　5mg/回　1日2回 6歳未満は4mg/m2/回　1日2回とする。 28日齢未満の小児等を対象とした臨床試験は実施されていない。また、2歳未満の患者に対する本剤の用法及び用量の 適切性について、臨床試験で十分な検討は行われていない。	日本血液学会	ノバルティスファーマ株式会社	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	小児WG	検討状況等
＜抗がんWG＞									
36	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
37	Ⅳ-21	メトトレキサート	難治性デスモイド型線維腫症	メトトレキサート30mg/m2と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
38	Ⅳ-138	エトポシド	造血幹細胞移植の前治療	同種造血幹細胞移植前治療として、1日15～30mg/kgを点滴静注し、2日間投与する。自己造血幹細胞移植前治療として、1日500mg/m2を点滴静注し、3日間投与、もしくは1日400mg/m2を点滴静注し、4日間投与する。疾患及び患者の状態により適宜減量する。	日本造血・免疫細胞療法学会	日本化薬	適応外薬		要望書の内容について要望者に確認中
39	Ⅳ-139	エトポシド	造血幹細胞移植の前治療	（小児） 同種造血幹細胞移植前治療として、 標準体重30kg未満：1日60 mg/kg、標準体重30kg以上：1日1800 mg/m2（最大3000 mg）を点滴静注し、1日間投与する。 自己造血幹細胞移植前治療として、 1日200 mg/m2 を点滴静注し、4日間投与する。疾患及び患者の状態により適宜減量する。	日本造血・免疫細胞療法学会	日本化薬	適応外薬	○	要望書の内容について要望者に確認中
40	Ⅳ-146	メルファラン（成人）	造血幹細胞移植の前治療	成人 メルファランとして1日1回60mg/m2を3日間投与（メルファラン3日間総量180mg/m2）する。 多発性骨髄腫に対してはメルファランとして1日1回100mg/m2を2日間投与（メルファラン2日間総量200mg/m2）も可とする。	日本造血・免疫細胞療法学会	アスペンジャパン株式会社	適応外薬		要望書の内容について要望者に確認中
41	Ⅳ-147	メルファラン（小児）	造血幹細胞移植の前治療	小児 メルファランとして1日1回70mg/m2を3日間投与（メルファラン3日間総量210mg/m2）する。 なお、メルファラン総量及び1日投与量は、患者の状態、併用する薬剤、全身放射線照射併用により適宜減量する。	日本造血・免疫細胞療法学会	アスペンジャパン株式会社	適応外薬	○	要望書の内容について要望者に確認中
42	ⅣS-30	ニムスチン塩酸塩	脳腫瘍	用法：convection-enhanced delivery（CED）を用いた腫瘍内局所投与（脳内留置カテーテルからの低流量持続投与） 用量：ニムスチン塩酸塩0.75 mg/mLを数本のカテーテルからテント上病変（大脳）は合計20mL投与、テント下病変（脳幹・小脳）は合計7mL投与	日本脳神経外科学会・日本脳腫瘍学会	アルフレッサファーマ株式会社	迅速実用化	○	要望書の内容について要望者に確認中

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	小児WG	検討状況等
＜生物WG＞									
43	Ⅳ-188	Meningococcal group B vaccine	血清群B髄膜炎菌の予防	0.5mLを0ヶ月と6か月の二回筋肉注射。二回目が6ヶ月より前になってしまった場合、二回目から少なくとも4か月経ってから三回目を投与。	日本神経学会、日本神経免疫学会、日本神経治療学会、日本血液学会	Pfizer Inc.	未承認薬		要望者の対応待ち（小児の要望書提出待ち）
44	Ⅳ-193	Meningococcal group B vaccine	血清群B髄膜炎菌の予防	0.5mL　筋肉注射　1ヶ月以上の間隔をあけて二回投与	日本神経学会、日本神経免疫学会、日本神経治療学会、日本血液学会	GlaxoSmithKline	未承認薬		要望者の対応待ち（小児の要望書提出待ち）

未承認薬	7
適応外薬	29
迅速実用化	8
合計	44

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

資料3-2

医療上の必要性が高いと判断された要望のうち、企業に開発要請を行った要望に係る検討状況

（令和７年５月９日 第63回会議）※ 要望等の件数は会議1.5ヶ月前締め

			第Ⅰ～Ⅲ回 要望※1	第Ⅳ回 要望※1	合計	前回からの変動理由 (括弧内は前回会議からの増減)
開発要請した要望総数※2			302件	95件 （＋２）	397件	前回会議で評価後に開発要請（＋２件）
専門WG	検討中		９件	37件 （＋２）	46件※3	前回会議で評価後に開発要請（＋２件）
専門WG	検討済	公知申請が妥当	128件	45件	173件	
専門WG	検討済	その他（治験実施等）	165件	13件	178件	
本会議	検討済	公知申請が妥当	128件 （＋２）	45件	173件	前回会議で検討済み（＋２件）

※1 要望受付時期：第Ⅰ回 2009.6.18～8.17、第Ⅱ回 2011.8.2～9.30、第Ⅲ回 2013.8.1～2015.6.30、第Ⅳ回 2015.7.1～随時募集

※2 このほか、医療上の必要性が高いと判断された要望であっても、国内に開発要請する相手企業が存在しないため開発企業を公募した場合や、要望が取り下げられた場合がある。要望総数には、公募後に開発要請したものを含む。

※3 個々の品目の詳細は別添を参照

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（第Ⅰ～Ⅲ回要望）

別添

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）[注]	検討状況等
＜代謝・その他WG＞									
1	Ⅲ-①-49	バシリキシマブ（遺伝子組換え）	肝移植後の急性拒絶反応の抑制	日本移植学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬		現在計画中の使用実態調査の結果を踏まえて検討予定	治験相談実施済み 国内使用実態調査、海外臨床試験の結果等を利用した申請を検討予定
2	Ⅲ-①-50	バシリキシマブ（遺伝子組換え）	肝移植後の急性拒絶反応の抑制	日本移植学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬	○	現在計画中の使用実態調査の結果を踏まえて検討予定	治験相談実施済み 国内使用実態調査、海外臨床試験の結果等を利用した申請を検討予定
＜循環器WG＞									
3	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	適応外薬	○		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
＜抗菌・抗炎症WG＞									
4	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	適応外薬	○	公知申請を希望する。	リファンピシンとの併用剤 企業見解確認中
5	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	適応外薬		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
6	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	適応外薬		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
7	Ⅱ-272.1 Ⅱ-272.2	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 日本感染症学会	第一三共株式会社 サンド株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）注	検討状況等
＜抗がんWG＞									
8	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	適応外薬		公知申請を希望する。	使用実態調査依頼中
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（バーキットリンパ腫、前駆Bリンパ球性リンパ腫を含む）	日本小児血液・がん学会	全薬工業株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	国内実態について企業に確認中

注）提出された企業見解より適宜抜粋した。

未承認薬	0
適応外薬	9
合計	9

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（第Ⅳ回要望）

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）[注]	検討状況等
＜代謝・その他WG＞									
1	Ⅳ-112	メトトレキサート	同種造血細胞移植時の移植片対宿主病の抑制	日本造血・免疫細胞療法学会	ファイザー株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	使用実態調査実施予定
2	Ⅳ-140	メトトレキサート	同種造血細胞移植時の移植片対宿主病の抑制	日本造血・免疫細胞療法学会	ファイザー株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	使用実態調査実施予定
3	Ⅳ-168	リツキシマブ（遺伝子組換え）	広義の自己免疫性溶血性貧血（温式、冷式を含む）（小児）	日本血液学会	全薬工業株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	WG準備中
4	Ⅳ-169	リツキシマブ（遺伝子組換え）	広義の自己免疫性溶血性貧血（温式、冷式を含む）（成人）	日本血液学会	全薬工業株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	WG準備中
5	Ⅳ-185	エポエチンベータペゴル（遺伝子組換え）	生後3 か月以上の小児における腎性貧血	日本小児腎臓病学会	中外製薬株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中（公知申請の該当性に係る情報の整理について事前面談予定）
＜循環器WG＞									
6	Ⅳ-117	インドシアニングリーン	○ 肝機能検査（血漿消失率、血中停滞率及び肝血流量測定） 肝疾患の診断、予後治癒の判定 ○ 循環機能検査（心拍出量、平均循環時間又は異常血流量の測定） 心臓血管系疾患の診断 ○ 血管及び組織の血流評価 ○ 次の疾患におけるセンチネルリンパ節の同定 乳癌、悪性黒色腫、子宮体がん	日本婦人科腫瘍学会	第一三共株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	WG準備中
7	Ⅳ-118	インドシアニングリーン	○ 肝機能検査（血漿消失率、血中停滞率及び肝血流量測定） 肝疾患の診断、予後治癒の判定 ○ 循環機能検査（心拍出量、平均循環時間又は異常血流量の測定） 心臓血管系疾患の診断 ○ 血管及び組織の血流評価 ○ 次の疾患におけるセンチネルリンパ節の同定 乳癌、悪性黒色腫、子宮頸がん	日本婦人科腫瘍学会	第一三共株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	WG準備中
8	Ⅳ-177	フルデオキシグルコース（18F）	不明熱の原因部位の可視化 （38℃以上の発熱が3 週間以上続き、一連の診療でも発熱の原因部位が不明な場合に利用）	日本核医学会、日本臨床検査医学会、日本感染症学会、日本リウマチ学会	日本メジフィジックス株式会社	適応外薬			企業見解待ち

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）[注]	検討状況等
9	Ⅳ-S-21	インドシアニングリーン	・リンパ管、リンパ節のリンパ流状態観察（赤外線照射時の蛍光測定による）	日本形成外科学会、日本リンパ浮腫治療学会、日本脈管学会	第一三共株式会社	迅速実用化		公知申請を希望する。	WG準備中
＜精神・神経WG＞									
10	Ⅳ-157	レベチラセタム	てんかん重積	日本小児神経学会、日本てんかん学会、日本てんかん協会	ユーシービージャパン株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	使用実態調査結果を確認中
11	Ⅳ-S-8	ベバシズマブ（遺伝子組換え）	放射線脳壊死に起因する脳浮腫	日本脳神経外科学会日本放射線腫瘍学会日本定位放射線治療学会	中外製薬株式会社	迅速実用化		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
＜抗がんWG＞									
12	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	チェプラファーマ株式会社 中外製薬株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	要望者にて追加調査の実施を検討中
13	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	適応外薬		公知申請を希望する。	要望者にて追加調査の実施を検討中
14	Ⅳ-39	チオテパ	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）	日本リンパ網内系学会	大日本住友製薬株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	学会にて調査の実施を検討中
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	適応外薬		公知申請を希望する。	Ⅲ-②-2の調査結果待ち
16	Ⅳ-75	イマチニブメシル酸塩	隆起性皮膚線維肉腫	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		公知申請を希望する。	企業見解確認中
17	Ⅳ-83	アレムツズマブ（遺伝子組換え）	T細胞性前リンパ球性白血病	日本リンパ網内系学会	サノフィ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
18	Ⅳ-92	オキサリプラチン	再発・難治性非ホジキンリンパ腫	日本リンパ網内系学会	株式会社ヤクルト本社	適応外薬		公知申請を希望する。	使用実態調査実施中
19	Ⅳ-106	レゴラフェニブ水和物	転移・再発・難治性骨肉腫	日本サルコーマ治療研究学会	バイエル薬品	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）[注]	検討状況等
20	Ⅳ-111	レゴラフェニブ水和物	転移・再発・難治性骨肉腫	小児血液・がん学会	バイエル薬品	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中
21	Ⅳ-122	ゲムシタビン	非小細胞肺癌、膵癌、胆道癌、尿路上皮癌、手術不能又は再発乳癌、がん化学療法後に増悪した卵巣癌、再発又は難治性の悪性リンパ腫、上咽頭癌	日本頭頸部癌学会	日本イーライリリー	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
22	Ⅳ-137	テモゾロミド	再発・難治性神経芽腫	日本小児血液・がん学会	大原薬品工業株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
23	Ⅳ-144	フルダラビンリン酸エステル	同種造血幹細胞移植の前治療	一般社団法人　日本造血・免疫細胞療法学会	サノフィ株式会社	適応外薬			企業見解待ち
24	Ⅳ-145	フルダラビンリン酸エステル	同種造血幹細胞移植の前治療	一般社団法人　日本造血・免疫細胞療法学会	サノフィ株式会社	適応外薬	○		企業見解待ち
25	Ⅳ-158	テモゾロミド	悪性下垂体腺腫（下垂体癌と難治性下垂体腺腫*） *標準治療（外科手術，薬物治療，放射線治療）に抵抗性で再発を繰り返す下垂体腺腫	日本間脳下垂体腫瘍学会	大原薬品工業株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
26	Ⅳ-159	ドセタキセル水和物	乳癌 （用量の追加）	一般社団法人　日本乳癌学会	サノフィ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
27	Ⅳ-160	メトトレキサート	中枢神経系原発リンパ腫	日本リンパ網内系学会	ファイザー株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	Ⅳ-39の結果待ち
28	Ⅳ-161	シタラビン	中枢神経系原発リンパ腫	日本リンパ網内系学会	日本新薬株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	Ⅳ-39の結果待ち
29	Ⅳ-162	リツキシマブ	中枢神経系原発リンパ腫	日本リンパ網内系学会	全薬工業株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	Ⅳ-39の結果待ち
30	Ⅳ-171	オキサリプラチン	膵癌	日本膵臓学会	株式会社ヤクルト本社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
31	Ⅳ-172	イリノテカン塩酸塩水和物	膵癌	日本膵臓学会	株式会社ヤクルト本社 アルフレッサファーマ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
32	Ⅳ-173	フルオロウラシル	膵癌	日本膵臓学会	協和キリン株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
33	Ⅳ-174	レボホリナートカルシウム水和物	膵癌	日本膵臓学会	ファイザー株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）[注]	検討状況等
34	Ⅳ-179	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	再発した低異型度漿液性卵巣癌または腹膜癌	日本臨床腫瘍学会、日本婦人科腫瘍学会、卵巣がん体験者の会スマイリー	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中（公知申請の該当性に係る情報の整理中）
35	Ⅳ-183	Naxitamab-gqgk[Naxitamab, ナキシタマブ]	再発又は難治性病変に対する治療後に疾患進行を認めないものの骨及び／又は骨髄に病変の残存した高リスク神経芽腫	神経芽腫の会	ノーベルファーマ株式会社	未承認薬		治験の実施を検討する。	-
36	Ⅳ-190	ペムブロリズマブ（遺伝子組換え）	がん化学療法後に増悪した絨毛性腫瘍（絨毛癌*、PSTT、ETT） *臨床的絨毛癌、high-risk GTN を含む	日本産科婦人科学会/日本婦人科腫瘍学会/日本絨毛性疾患研究会	MSD株式会社	適応外薬		申請方法について検討中。	企業見解確認中
37	ⅣS-25	メルファラン	網膜芽細胞腫	小児血液・がん学会	サンドファーマ株式会社	迅速実用化	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中

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	33
迅速実用化	3
合計	37

資料 4-1

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

＜小児 WG＞

目　次

＜医療用配合剤分野＞
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】
魚油由来静脈注射用脂肪乳剤(精製魚油エマルジョン)(要望番号;Ⅳ-72)‥‥‥　1

要望番号	IV-72	要 望 者 名	日本小児外科学会
要望された医薬品		一　般　名	魚油由来静脈注射用脂肪乳剤（精製魚油エマルジョン）
		会　社　名	Fresenius Kabi Deutschland GmbH
要 望 内 容		効能・効果	小児静脈栄養関連胆汁うっ滞における栄養補給
		用法・用量	体重 1 kg あたり 1 日 1 g（Omegaven として 10 mL）を 8 時間～24 時間かけて経静脈的に持続投与する（0.15 g/kg/hr を越えない速度で投与する）
「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		（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ア 〔特記事項〕 静脈栄養関連胆汁うっ滞（以下、「PNAC」）は、腸管不全関連肝障害（以下、「IFALD」）のうち静脈栄養を要因とし、胆汁うっ滞を伴うものをいう（周産期医学 2023; 53: 1574-6）。小児では、短腸症候群等の腸管不全の患児に対し、長期の静脈栄養を実施する際に認められることが多く、肝不全に進行することもあり致死的であること（静脈経腸栄養ガイドライン 第 3 版. 日本静脈経腸栄養学会; 2013）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。 （2）医療上の有用性についての該当性　ア 〔特記事項〕 本剤は、n-3 系の多価不飽和脂肪酸を主体とする脂肪乳剤であり、米国において PNAC の小児における栄養補給に係る効能・効果で承認されている[注 1)]。一方、本邦では IFALD を有する静脈栄養が必要な小児に対し、急・慢性消化器疾患等における栄養補給に係る適応で承認されている大豆由来脂肪乳剤が投与されているが、当該製剤には小児の成長発達に欠かせない n-3 系の多価不飽和脂肪酸の含有量が極めて少ないことに加えて、肝障害の原因となるフィトステロール及び生体内で炎症性メディエーターに変換される n-6 系の多価不飽和脂肪酸等が多く含有され、PNAC を来す可能性があることから（Pediatrics 2008; 121: e678-86）、IFALD を有する静脈栄養が必要な小児に対して適切な栄養管理と成長発達を促すための静注用脂肪乳剤が必要とされている。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。	

	注 1）用法・用量において、2 週間以上の静脈栄養を必要とすることが予想される小児において、直接ビリルビン 2 mg/dL 以上の胆汁うっ滞をきたした場合に投与する旨が記載されている。
備　　考	要望番号Ⅱ-91 で本要望と同一医薬品が「（特に小児の）腸管不全（静脈栄養）関連肝障害と栄養状態の改善」の効能・効果で要望され、2012 年 3 月 24 日に開催された第 11 回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議において、医療上の必要性に係る基準に該当すると報告されたものの、その後、海外未承認であること、及び要望内容が海外の診療ガイドラインに記載されていないことを理由に要望が取り下げられた。 今般、2018 年に米国において PNAC の小児における栄養補給に係る効能・効果で承認されたことを受け、当該効能・効果に係る要望が改めて提出されたことから、海外の承認内容、最新の公表文献、診療ガイドラインの記載等に基づき医療上の必要性について改めて検討した。 なお、現在、PNAC を含む IFALD を有する静脈栄養の必要な小児を対象とした医師主導治験が実施中である。

資料 4-2

「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

＜抗菌薬分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

プレトマニド（要望番号；Ⅳ-202）‥‥‥ 1

モキシフロキサシン（要望番号；Ⅳ-203）‥‥‥ 3

＜抗炎症・呼吸器官用薬分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

コルヒチン（要望番号；Ⅳ-189）‥‥‥ 5

要望番号	Ⅳ-202	要 望 者 名	日本結核・非結核性抗酸菌症学会
要望された医薬品		一 般 名	プレトマニド
		会 社 名	ヴィアトリス製薬合同会社
要 望 内 容		効能・効果	適応菌種：多剤耐性結核菌 適応症：多剤耐性肺結核
		用法・用量	200mg 1日1回 26週間投与
「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		（1）適応疾病の重篤性についての該当性 ア 〔特記事項〕 本要望は、国内未承認品目であるプレトマニドについて、多剤耐性肺結核を適応症とする効能・効果を要望するものである。イソニアジド及びリファンピシンの両剤に耐性の多剤耐性結核患者は、2021年に50例が新規登録され、そのうち16%（8/50例）が2023年末までに死亡の転帰を辿っており[1)]、致死的な疾患である。したがって、「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。 （2）医療上の有用性についての該当性 ウ 〔特記事項〕 本邦における多剤耐性肺結核の標準的療法は、レボフロキサシン及びベダキリンを基本薬として、エタンブトール、ピラジナミド、デラマニド又はサイクロセリンを追加する5剤併用療法とされ、治療期間は結核菌培養陰性後18カ月までとされている[2)]が、長期にわたる服薬は、副作用の増加、医療費の増加や服薬アドヒアランスの低下に繋がる。 WHO耐性結核ガイドライン[3)]では、プレトマニド等を多剤耐性肺結核患者に投与した複数の海外臨床試験成績[4)]に基づき、プレトマニド、ベダキリン及びリネゾリド又はこれら3剤にモキシフロキサシンを併用する6カ月間の治療が標準的療法として推奨されてい	

1) 結核の統計2024、公益財団法人結核予防会
2) 「「結核医療の基準」の一部改正について」（令和3年10月18日付け健感発1018第1号）
3) WHO consolidated guidelines on tuberculosis: Module 4: treatment – drug-resistant tuberculosis treatment, 2022 update
4) N Engl J Med 2020; 382: 893-902、N Engl J Med 2022; 387: 810-823、N Engl J Med 2022; 387: 2331-43

	る。また、米国及び欧州では、プレトマニドは多剤耐性肺結核に係る効能・効果で、200 mg を 1 日 1 回 26 週間投与の用法・用量で承認されている。 　以上より、「ウ：欧米において標準的療法に位置付けられており、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。
備　　考	

要望番号	Ⅳ-203	要 望 者 名	日本結核・非結核性抗酸菌症学会
要望された医薬品		一 般 名	モキシフロキサシン塩酸塩
		会 社 名	バイエル薬品株式会社
要 望 内 容		効能・効果	適応菌種：モキシフロキサシン塩酸塩に感性の多剤耐性結核菌 適応症：多剤耐性肺結核
		用法・用量	1 回 400mg を 1 日 1 回経口投与
「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		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ア 〔特記事項〕 本要望は、モキシフロキサシン塩酸塩について、多剤耐性肺結核を適応症とする効能・効果の追加を要望するものである。イソニアジド及びリファンピシンの両剤に耐性の多剤耐性結核患者は、2021 年に 50 例が新規登録され、そのうち 16%（8/50 例）が 2023 年末までに死亡の転帰を辿っており[5]、致死的な疾患である。したがって、「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。 (2) 医療上の有用性についての該当性 ウ 〔特記事項〕 本邦における多剤耐性肺結核の標準的療法は、レボフロキサシン及びベダキリンを基本薬として、エタンブトール、ピラジナミド、デラマニド又はサイクロセリンを追加する 5 剤併用療法とされ、治療期間は結核菌培養陰性後 18 カ月までとされている[6]が、長期にわたる服薬は、副作用の増加、医療費の増加や服薬アドヒアランスの低下に繋がる。 モキシフロキサシン塩酸塩について、欧米等 6 カ国では、多剤耐性肺結核に係る効能・効果に対する承認はされていないものの、各国・地域の多剤耐性結核の診療ガイドライン[7]において多剤耐性肺結核への使用が推奨されている。また、WHO 耐性結核ガイドライ	

[5] 結核の統計 2024、公益財団法人結核予防会
[6] 「「結核医療の基準」の一部改正について」（令和 3 年 10 月 18 日付け健感発 1018 第 1 号）
[7] 米国及び欧州：Am J Respir Crit Care Med 2019; 200: e93-e142
英国：Union Standards for Tuberculosis Care, 2017 update

	ン[8]において、モキシフロキサシン塩酸塩等を多剤耐性肺結核患者に投与した海外臨床試験成績[9]に基づき、プレトマニド、ベダキリン及びリネゾリドとの併用による 6 カ月間の治療が多剤耐性肺結核に対する標準的療法に位置付けられている。 以上より、「ウ：欧米において標準的療法に位置付けられており、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。
備　　考	

加国：Can. J. Respir. Crit. Care Sleep Med 2022; 6: 109-28
豪州：Australian recommendations for the management of drug-resistant tuberculosis 2023

[8] WHO consolidated guidelines on tuberculosis: Module 4: treatment – drug-resistant tuberculosis treatment, 2022 update
[9] N Engl J Med 2022; 387: 2331-43

要望番号	Ⅳ-189	要 望 者 名	厚生労働科学研究補助金（難治性疾患政策研究事業）ベーチェット病に関する調査研究班、日本ベーチェット病学会
要望された医薬品		一 般 名	コルヒチン
		会 社 名	高田製薬株式会社
要 望 内 容		効能・効果	ベーチェット病
		用法・用量	通常、コルヒチンとして1日1.5mgを1～3回に分けて経口投与する。
「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		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 イ 〔特記事項〕 ベーチェット病は、急性の炎症発作を繰り返すことにより全身の諸臓器が障害される炎症性疾患であり、指定難病（平成26年10月21日付け厚生労働省告示第393号、告示番号56）である。口腔内アフタ性潰瘍、皮膚症状、ぶどう膜炎及び外陰部潰瘍を主症状とし、ベーチェット病患者の半数以上に関節炎又は関節痛が発現する。口腔内アフタ性潰瘍により、患者の生活の質が低下することが報告されている[10]ほか、ぶどう膜炎により、不可逆な視力低下若しくは視野欠損又は失明に至ることがある。したがって、「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。 (2) 医療上の有用性についての該当性 ウ 〔特記事項〕 欧州リウマチ学会（EULAR）のベーチェット病治療に係る推奨[11]において、コルヒチン 1～2 mg/日をベーチェット病患者に投与した複数の海外プラセボ対照無作為化二重盲検比較試験成績[12]に基づき、皮膚粘膜症状又は関節症状を有するベーチェット病患者に対する初期治療としてコルヒチンを使用すべきとされている。仏国においてはベーチェット病に係る効能・効果が、コルヒチン1 mg/日の用法・用量で承認されている。国内ガイドライン[13]においても、コルヒチンは、皮膚粘膜症状に対する使用、並びにぶどう膜炎、関節症状及び神経症状に対する寛解後の発作の発生抑制を目的とした使用が推奨されているほか、精巣上体炎に対する使用が治療		

[10] Cochrane Database Syst Rev 2014; CD011018
[11] Ann Rheum Dis 2018; 77: 808-18
[12] Haematologica 1980; 65: 399-402、Arthritis Rheum 2001; 44: 2686-92、Mod Rheumatol 2009; 19: 542-9
[13] ベーチェット病診療ガイドライン 2020（日本ベーチェット病学会）

	選択肢の一つとして提案されている。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。
備　　考	

資料 4-3

「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】
イリノテカン塩酸塩水和物（要望番号；Ⅳ-197）……　1

要望番号	Ⅳ-197	要 望 者 名	日本小児血液・がん学会、神経芽腫の会
要望された医薬品		一 般 名	イリノテカン塩酸塩水和物
		会 社 名	株式会社ヤクルト本社 アルフレッサ ファーマ株式会社
要 望 内 容		効 能 ・ 効 果	再発・難治性神経芽腫
		用 法 ・ 用 量	テモゾロミドとの併用にて、50 mg/m^2 を day 1-5 に点滴静注、21 日毎 （テモゾロミド 100 mg/m^2/日 day 1-5）
「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〕 再発・難治性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。 (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、並びに国内外の臨床試験成績等から、テモゾロミドとイリノテカン塩酸塩水和物との併用投与は、再発・難治性神経芽腫患者に対して欧米等において標準的な治療に位置付けられており、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。
備 考			本要望内容は、再発・難治性神経芽腫に対するテモゾロミド及びイリノテカン塩酸塩水和物の併用投与に関するものである。テモゾロミド（要望番号Ⅳ-137）については、第60回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（令和６年９月27日）において医療上の必要性に係る基準に該当すると評価済み。

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

厚生労働省医政局研究開発政策課
厚生労働省医薬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や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や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、定期的に開発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局医薬品審査管理課が行い、医政局研究開発政策課及び保険局医療課がこれに協力する。

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

○座長

	五十嵐　隆	国立成育医療研究センター　理事長
	伊藤　美千穂	国立医薬品食品衛生研究所　生薬部　部長
	岩田　敏	熊本大学　特任教授
○	大江　裕一郎	医療法人財団慈生会野村病院
	北風　政史	医療法人錦秀会　阪和病院・阪和記念病院　統括院長・総長
	康　勝好	埼玉県立小児医療センター　副病院長
	崔　吉道	金沢大学附属病院　教授・薬剤部長
	志賀　剛	東京慈恵会医科大学臨床薬理学　教授
	田村　研治	島根大学医学部附属病院 腫瘍内科 / 先端がん治療センター　教授
	田村　直人	順天堂大学　膠原病内科　主任教授
	戸高　浩司	九州大学病院　ARO 次世代医療センター　センター長・教授
	中村　秀文	国立研究開発法人国立成育医療研究センター　研究開発監理部　開発企画主幹
	平林　容子	国立医薬品食品衛生研究所安全性生物試験研究センター　センター長
	松本　哲哉	国際医療福祉大学医学部感染症学講座　主任教授
	宮川　政昭	日本医師会　常任理事
	村島　温子	妊娠と薬情報研究会　理事長
	柳原　克紀	長崎大学大学院医歯薬学総合研究科病態解析・診断学（臨床検査医学）　教授
	山口　拓洋	東北大学大学院医学系研究科医学統計学分野　教授
	横谷　進	福島県立医科大学 放射線医学県民健康管理センター 特任教授
	渡邊　衡一郎	杏林大学医学部　精神神経科学教室　教授

（※他の専門分野は、必要に応じて適宜参考人として出席を要請。）

第 63 回検討会議　参考人

森川　和彦	東京都立病院機構　研究推進センター担当課長/東京都立小児総合医療センター　臨床研究支援センター　センター長
小早川　雅男	公立大学法人福島県立医科大学　医療研究推進センター　教授
安河内　聰	慈泉会相澤病院　エコーセンター長兼循環器内科顧問
宮﨑　義継	国立健康危機管理研究機構　国立感染症研究所　副所長　病原体ゲノム解析

研究センター・センター長・真菌部・部長　併任

米盛　　勧　　国立研究開発法人　国立がん研究センター中央病院　腫瘍内科　　科長

佐藤　　潤　　国立研究開発法人　国立がん研究センター中央病院　先端医療科　医員

専門作業班（WG）の設置について

企業見解
文献報告
海外規制情報
等

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

検討指示 ⇩ ⇧ 検討案の上程

専門作業班（WG）

7つの班で、品目毎の個別具体的検討

- 代謝・その他 WG
- 循環器 WG
- 精神・神経WG
- 抗菌・抗炎症 WG
- 抗がん WG
- 生物 WG
- 小児 WG

※　小児WGは、分野横断的に対応

各WGに5～10名程度の専門家を配置

＜検討事項＞
○医療上の必要性
○公知申請への該当性
○承認申請のために追加で実施が必要な追加試験　　等

参考資料 3-2

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」
専門作業班（WG）メンバー

○WG座長

WG名	氏名	所属
代謝・その他WG	○花岡　英紀	千葉大学医学部附属病院　臨床試験部　部長・教授
	小早川　雅男	福島県立医科大学　医療研究推進センター　教授
	岩部　真人	日本医科大学大学院医学研究科　内分泌代謝・腎臓内科学分野　大学院教授
	大門　貴志	兵庫医科大学 医学部医学科/大学院医学研究科 生物統計学 教授
	鈴木 亮	東京医科大学 糖尿病・代謝・内分泌内科学分野　主任教授
	軒原　浩	国立健康危機管理研究機構　国立国際医療センター　呼吸器内科　医長
循環器WG	○安河内　聰	慈泉会相澤病院　エコーセンター長兼循環器内科顧問
	海野　信也	北里大学名誉教授
	真田　昌爾	神戸大学医学部附属病院　臨床研究推進センター長／教授
	大門　貴志	兵庫医科大学 医学部医学科/大学院医学研究科 生物統計学 教授
	橋詰　淳	名古屋大学医学部附属病院　先端医療開発部　教授 名古屋大学大学院医学系研究科　臨床研究教育学　教授（兼任）
	星出　聡	自治医科大学内科学講座循環器内科学部門・臨床研究センター　教授
	又吉　哲太郎	沖縄大学健康栄養学部管理栄養学科　教授
精神・神経WG	○勝野　雅央	名古屋大学大学院医学系研究科脳神経病態制御学講座　神経内科学　教授
	稲垣　中	青山学院大学　保健管理センター　所長　兼　教育人間科学部　教授
	稲田　健	北里大学医学部精神科学　教授
	尾方　克久	国立病院機構東埼玉病院 院長
	小杉　志都子	慶應義塾大学医学部　麻酔学教室　准教授
	許斐 健二	慶應義塾大学医学部 臨床研究推進センター　教授
	住谷　昌彦	国立大学法人東京大学医学部附属病院　緩和ケア診療部　准教授
	大門　貴志	兵庫医科大学 医学部医学科/大学院医学研究科 生物統計学 教授
	吉冨　健志	福岡国際医療福祉大学　視能訓練学科　教授
抗菌・抗炎症WG	○宮﨑　義継	国立健康危機管理研究機構　国立感染症研究所　副所長　病原体ゲノム解析研究センター・センター長・真菌部・部長　併任
	井上　彰	東北大学大学院医学系研究科　緩和医療学分野　教授
	川畑　仁人	聖マリアンナ医科大学　リウマチ・膠原病・アレルギー内科　主任教授
	小早川　雅男	福島県立医科大学　医療研究推進センター　教授
	齋藤　好信	日本医科大学武蔵小杉病院 呼吸器内科 部長
	手良向　聡	京都府立医科大学　大学院医学研究科　生物統計学　教授
	花岡　英紀	千葉大学医学部附属病院　臨床試験部　部長・教授
	坂東　政司	自治医科大学内科学講座呼吸器内科学部門　附属病院臨床研究センター　教授 / センター長
	藤本　学	大阪大学大学院　医学系研究科　皮膚科学　教授
	堀野　哲也	東京慈恵会医科大学　内科学講座　感染症内科　教授
	横幕　能行	国立病院機構名古屋医療センター　感染症内科　エイズ総合診療部長
抗がんWG	○米盛　勧	国立研究開発法人　国立がん研究センター中央病院　腫瘍内科　科長
	平瀬　主税	近畿大学病院　臨床研究センター　准教授
	大庭　幸治	東京大学大学院情報学環 教授
	柴田　大朗	国立がん研究センター　研究支援センター　センター長／生物統計部長
	鈴木　賢一	東京薬科大学薬学部 臨床薬理学教室　教授
	富澤　大輔	国立研究開発法人国立成育医療研究センター　小児がんセンター　血液腫瘍科　診療部長
	長瀬　通隆	長野県厚生農業協同組合連合会　佐久総合病院　佐久医療センター　腫瘍内科　部長
生物WG	○中川　雅生	医療法人啓信会　京都きづ川病院　病院顧問
	土田　尚	国立病院機構本部　総合研究センター　治験研究部　部長
	荒戸　照世	北海道大学病院臨床研究開発センター　教授
	石川　洋一	明治薬科大学　特任教授
	林　邦彦	順天堂大学　健康データサイエンス研究科　特任教授
小児WG	○森川　和彦	東京都立病院機構　研究推進センター　担当課長／東京都立小児総合医療センター　研究推進センター　センター長
	中川　雅生	医療法人啓信会　京都きづ川病院　病院顧問
	土田　尚	国立病院機構本部　総合研究センター　治験研究部　部長
	石川　洋一	明治薬科大学　特任教授
	小村　誠	独立行政法人国立病院機構 渋川医療センター　薬剤部長
	庄司　健介	国立成育医療研究センター病院　教育研修センター　センター長/小児内科系専門診療部感染症科　医長
	丹沢　彩乃	国立成育医療研究センター病院　薬剤部　薬歴管理主任
	林　邦彦	順天堂大学　健康データサイエンス研究科　特任教授

※上記は、各WGのコアとなるメンバーであり、必要に応じて、随時、追加して協力依頼を行うものとする。

参考資料　4-1

医療上の必要性の評価の基準について

医療上の必要性の評価の基準について、下記のとおり分類している。

（１）適応疾病の重篤性

重篤性あり
- ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- 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

エ　該当しない

（２）医療上の有用性

有用性あり
- 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

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には、もっとも適切と判断されるものにあてはめることとした。

※２　（１）（２）の両方について、ア、イ又はウと評価された場合には、「医療上の必要性の基準に該当」とし、国が企業に開発要請又は開発企業の募集を行う。

※３　一定の要件をみたす国内外未承認薬については、（２）の代わりに以下のア～エで評価するものとする。

（２）医療上の有用性

有用性あり
- 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

ウ　－

エ　該当しない

参考資料　4-2

開発要請先企業の指定の考え方について

＜共通ルール＞

- 既に開発を行っている企業があれば、当該企業の開発を見守ることとして、要望は処理済み or 対象外とする。
- 開発要請する企業が存在しない場合は、開発企業を公募する。
- 開発企業を公募している品目について、新たに要請先となり得る企業が確認された場合、その時点で開発企業が決まっていない場合には、当該企業に対して開発要請する。

１．未承認薬

要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
該当する企業が複数存在する場合、要請先の優先順位は①＝②とする

① 海外で先発医薬品として承認を取得している企業の日本法人企業
② わが国での開発権を有することが確認された企業（注１）

（注１）「わが国での開発権を有することが確認された企業」とは、日本法人企業を想定しているが、要望に対する開発権を保有する企業が海外企業であって、その日本法人企業が存在する場合、当該日本法人企業も含む。

２．適応外薬

要望された品目と既承認薬の関係を（１）～（３）に分類
既承認薬が複数存在する場合、上位（（１）＞（２）＞（３）、１＞２、ただし①＝②）に該当するものから優先的に要請

（１）投与経路、剤形いずれも同じ場合（注２）
要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
① わが国において先発医薬品として承認を取得している企業
② わが国での開発権を有することが確認された企業

（２）投与経路は同じだが、剤形が異なる場合
１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
① 海外で先発医薬品として承認を取得している企業の日本法人企業
② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と剤形違いの既承認薬について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

（３）投与経路が異なる場合
１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
① 海外で先発医薬品として承認を取得している企業の日本法人企業
② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と同一の有効成分を含有する医薬品が日本で承認されており、当該医薬品について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

（注２）要望された品目が、既承認薬の規格違いの製剤開発である場合、企業側の負担も考慮し、効能・効果の追加等、臨床試験が必要となる品目よりも優先的に要請する。

３．未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

要望された品目の投与経路、効能・効果、用法・用量、剤形等は国内外未承認であることを前提とし、要望された品目と同一の有効成分を含有する既承認薬（国内外は問わない）との関係を（１）～（３）に分類
既承認薬が複数存在する場合、上位（（１）＞（２）＞（３）、１＞２、ただし①＝②）に該当するものから優先的に適用

（１）投与経路、剤形いずれも同じ場合

１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請

① わが国において先発医薬品として承認を取得している企業

② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と同じ投与経路及び同じ剤形の製剤について海外で承認を取得しており、要望された品目について、わが国での開発権を有することが確認された企業の日本法人企業に対して要請

（２）投与経路は同じだが、剤形が異なる場合

１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

① 要望された品目と剤形違いの既承認薬について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業

② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と剤形違いの製剤について海外で承認を取得しており、要望された品目について、わが国での開発権を有することが確認された企業の日本法人企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

（３）投与経路が異なる場合

１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対す

る検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

① 要望された品目と同一の有効成分を含有する既承認薬について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業

② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と同一の有効成分を含有する製剤について海外で承認を取得しており、要望された品目について、わが国での開発権を有することが確認された企業の日本法人企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

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

人道的見地から実施される治験の制度該当性について、確認要望があった場合には、下記のとおり分類する。

＜制度該当性基準＞

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。

（１）適応疾病の重篤性（承認まで待てない）

重篤・緊急性あり
- ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- イ　－
- ウ　－
- エ　該当しない

（２）医療上の有用性（既存の有効な治療法がない）

有用性・必要性あり
- ア　既存の治療法に有効なものが存在しない
- イ　－
- ウ　－
- エ　該当しない

（１）（２）の両方について、アと評価された場合には、「人道的見地から実施される治験の制度該当性基準に該当」とし、厚生労働省は、主たる治験の治験実施者（いわゆる医師主導治験にあっては当該治験を自ら実施する者と当該治験の治験薬を提供している者）に対して、人道的見地から実施される治験の実施の検討を要請する。

＜留意点＞

注１）人道的見地から実施される治験は、以下の理由等により、実施できない場合も想定され得る。
①既存の治療法に有効なものが存在する、あるいは生命に重大な影響がある重篤な疾患ではない【制度該当性事由】
②治験薬の供給に余裕がないこと等【絶対事由】
③主たる治験の組入れ期間中である等の理由で主たる治験の実施に悪影響を与えるおそれがあること【時期的事由】
④患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から拡大治験への参加が勧められないこと等【個別事由】

注２）本検討会議においては、制度該当性事由（制度該当性事由を含む複数の事由の場合も含む。）により人道的見地から実施される治験の実施ができないと治験実施者から回答をうけた主治医及び患者が、第三者の観点から、制度該当性について確認することを要望する場合に、該当性の評価を実施する。

参考資料 6

特定用途医薬品への該当性の基準について

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

ア　対象とする用途に関して開発を行う必要があること

①　用法又は用量の変更

②　剤形の追加

イ　対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

① 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）

② 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　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

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

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

ア　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

①　効能又は効果の変更

②　用法又は用量の変更

イ　対象とする用途の需要が著しく充足していないこと
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

ウ　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
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

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
ア　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
① 用法及び用量の変更
② 効能又は効果の変更

イ 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと
① 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
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 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
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

※ 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。

参考資料　7

執行部に所属している学会について

令和7年5月9日現在

氏　名	学　会
五十嵐　隆	なし
伊藤　美千穂	日本東洋医学会、日本生薬学会、日本食品化学学会
岩田　敏	日本臨床腸内微生物学会、日本マイコプラズマ学会、 辨野腸内フローラ研究所、日本感染症医薬品協会、日本ワクチンアクション、TDM品質管理機構
大江　裕一郎	なし
北風　政史	なし
康　勝好	なし
崔　　吉道	日本医療薬学会、日本緩和医療薬学会、日本病院薬剤師会、薬剤師認定制度認証機構
志賀　剛	日本臨床薬理学会、日本TDM学会、日本不整脈心電学会
田村　研治	日本臨床腫瘍学会、日本腫瘍循環器学会
田村　直人	日本脊椎関節炎学会、日本リウマチ学会、日本臨床免疫学会
戸高　浩司	ARO協議会
中村　秀文	日本小児臨床薬理学会
平林　容子	日本食品衛生学会、日本核酸医薬学会
松本　　哲哉	日本感染症学会、日本化学療法学会、日本臨床微生物学会、日本環境感染学会
宮川　政昭	なし
村島　温子	日本母性内科学会、日本先天異常学会
柳原　克紀	日本環境感染学会、日本臨床微生物学会、日本DDS学会、日本嫌気性菌感染症学会、 日本臨床検査医学会、日本感染症学会、日本医療検査科学会、日本化学療法学会
山口　拓洋	日本臨床試験学会、日本薬剤疫学会、日本臨床腫瘍薬学会
横谷　進	なし
渡邊　衡一郎	日本うつ病学会、日本臨床神経精神薬理学会、日本社会精神医学会、日本不安症学会、日本産業精神保健学会、日本ストレス学会、日本女性心身医学会、東京精神医学会