

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)
	検討済	公知申請が妥当	128件	45件	173件	
		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	○		ブ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	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	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中
	Ⅱ-272.2			日本感染症学会					

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、 <u>子宮体がん</u>	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、 <u>子宮頸がん</u>	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	要望内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要望に対する企業見解 (概略) ^注	検討状況等
9	IVS-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	IVS-8	ペバシズマブ(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	チェブラファーマ株式 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 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