

## ドキシソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤の多発性骨髄腫 に対する開発について

ドキシソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤の多発性骨髄腫に対する要望については、第3回検討会議で医療上の必要性が高いと判断され、平成22年5月21日に開発要請を行ったところである。今般、本要望について、要望者（日本骨髄腫患者の会）より、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、下記のとおり要望の取り下げに関する申出が提出され、受理したので、報告する。

### 1. 要望の概要

| 要望番号  | 成分名                 | 要望内容   | 要望者       |
|-------|---------------------|--------|-----------|
| I-189 | ドキシソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤 | 多発性骨髄腫 | 日本骨髄腫患者の会 |

### 2. 要望者からの要望の取り下げに関する申出

第I回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望募集に際して、日本骨髄腫患者の会は、2009年8月13日に適応外薬の要望として、ヤンセンファーマ株式会社（以下開発企業）が製造・販売するドキシソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤（以下ドキシル）の多発性骨髄腫への効能追加要望を提出いたしましたが、取り下げをお願いいたします。

当時の日本では、1stラインにおいて有効な薬剤が乏しく、移植適応患者における寛解導入治療として主流であったVAD療法より奏効率が高い治療方法が求められていたことと、サルベージ治療においてボルテゾミブとの併用で効果が認められる研究結果を基に、効能追加要望を申請いたしました。

しかしながら、2011年9月にボルテゾミブが未治療の多発性骨髄腫に適応可能となったことから、ボルテゾミブを含むレジメンが導入療法として推奨されるようになり、1stラインにおけるドキシルの必要性は相対的に低下しました。

他方、NCCNのガイドラインではボルテゾミブ／ドキシルをサルベージ治療の推奨グレードカテゴリー1としていることから、日本でも同様にサルベージ治療としてのニーズは今尚想定し得ると考えております。

ただし、サルベージ治療としての開発を進める上には、現存する標準治

療に抵抗性の患者を対象にすることが望まれ、それ以外の初回再発等の患者を対象とする試験の実施は倫理的に問題と考えられます。また、欧米での推奨用量と日本人での至適用量は異なる可能性が開発企業による第Ⅰ相試験結果によって示唆されています。

これら思料した結果、国際的な第Ⅲ相試験と異なる条件において開発を進めるのは困難かつ長期に亘る可能性があり、開発断念は止むを得ず、申請取り下げに考えが及びました。

なお、上述状況はボルテゾミブ／ドキシルが米国と同時に開発されていれば、日本の患者のサルベージ治療における選択肢が増えた可能性があり、この可能性の消失こそがドラッグラグの最大のコストと言え、貴省及び開発企業におけるドラッグラグ完全解消に向けた一層の取り組みを、改めて強くお願い申し上げます。