

## 第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26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43（未承認薬4、適応外薬39）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	1	2	3	3	1	0	1	11
		適応外薬	2	6	2	3	7	0	3	23
	必要性高くない	未承認薬	0	4	0	3	1	0	0	8
		適応外薬	0	0	0	1	3	0	0	4
検討対象外	未承認薬	0	0	0	0	5	0	0	5	
	適応外薬	33	2	3	5	15	0	0	58	
検討中	未承認薬	1	1	1	1	0	0	0	4	
	適応外薬	10	7	1	7	10	3	1	39	
既に開発中	未承認薬	1	3	1	0	3	0	0	8	
	適応外薬	2	1	0	1	3	0	1	8	
合計		50	26	11	24	48	3	6	168	

※「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）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43品目について、平成28年4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。
- 平成28年5月18日現在、検討中課題（残課題）数は34（未承認薬1、適応外薬33）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	1	0	0	0	0	0	1	2
		適応外薬	1	2	0	0	1	0	0	4
	必要性高くない	未承認薬	0	1	0	0	0	0	0	1
		適応外薬	0	0	1	0	1	0	0	2
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	1	0	0	0	0	1	
	適応外薬	9	5	0	7	8	3	1	33	
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	
合計		11	8	2	7	10	3	2	43	

### 3. 第26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34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19回～第20回	3	H26.8.29	3	0	3
第21回	1	H26.11.10	1	0	1
第22回	2	H27.2.27	0	2	2
第23回	11	H27.5.21	10	1	11
第24回	6	H27.8.31	6	0	6
第25回	1	H27.11.13	1	0	1
第26回	10	—	—	—	—
合計	34	—	21	3	24

各WGの検討状況		合計
企業に開発要請したもの		21
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	4
既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	2
	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	2
	適応外薬	1
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	3
	適応外薬	9
開発企業を公募したもの		3
合計		24

### 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10品目について、平成28年2月23日に開発要請を行った。
- 前回会議時点で公知申請の妥当性等を検討中であった12品目、及び今回会議までに開発要請を行った10品目について、平成28年4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。
- 平成28年5月18日現在、検討中課題（残課題）数は21（未承認薬5、適応外薬16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		22
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	0
既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
	適応外薬	1
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	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	5
	適応外薬	16
開発企業を公募したもの		0
合計		22

## 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
<b>&lt;代謝・その他WG&gt;</b>								
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っ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っ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	
2	Ⅲ-①-72	ランレオチド酢酸塩	甲状腺刺激ホルモン産生下垂体腫瘍	通常、成人にはランレオチドとして90 mgを4週毎に3か月間、深部皮下に注射する。その後は患者の病態に応じて60 mg、90 mg又は120 mgを4週毎に投与する。	日本間脳下垂体腫瘍学会	帝人ファーマ株式会社	適応外薬	
	Ⅲ-①-72.2				日本神経内分泌学会			
	Ⅲ-①-72.3				日本内分泌学会			
3	Ⅲ-①-78	リツキシマブ(遺伝子組換え)	ループス腎症	1回当たり375 mg/m <sup>2</sup> を1週間間隔で4回投与、又は1回当たり1,000 mg/bodyを2週間空けて2回投与(Day 1, Day 15)	一般社団法人日本リウマチ学会	全薬工業株式会社	適応外薬	
4	Ⅲ-②-6	リツキシマブ(遺伝子組換え)	成人腎移植における抗体関連型拒絶反応の治療	抗体関連型拒絶反応の治療の場合、リツキサン375mg/m <sup>2</sup> 計4回まで(全身状態により適宜減量)	日本移植学会	全薬工業株式会社	適応外薬	
5	Ⅲ-②-7	リツキシマブ(遺伝子組換え)	小児腎移植における抗体関連型拒絶反応の治療	抗体関連型拒絶反応の治療の場合、リツキサン375mg/m <sup>2</sup> 計4回まで(全身状態により適宜減量)	日本移植学会	全薬工業株式会社	適応外薬	代謝・その他WG(小児WG)
6	Ⅲ-②-8	リツキシマブ(遺伝子組換え)	抗ドナー抗体陽性成人腎移植における術前脱感作治療	術前脱感作治療の場合、リツキサン375mg/m <sup>2</sup> 術前に4回まで(全身状態により適宜減量)	日本移植学会	全薬工業株式会社	適応外薬	

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-②-9	リツキシマブ(遺伝子組換え)	抗ドナー抗体陽性小児腎移植における術前脱感作治療	術前脱感作治療の場合、リツキサン375mg/m <sup>2</sup> 術前に4回まで(全身状態により適宜減量)	日本移植学会	全薬工業株式会社	適応外薬	代謝・その他WG(小児WG)
8	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	
9	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	
<b>&lt;循環器WG&gt;</b>								
10	Ⅲ-①-75	リツキシマブ(遺伝子組換え)	小児の慢性特発性血小板減少性紫斑病	1回当たり375 mg/m <sup>2</sup> を1週間間隔で4回投与	日本血液学会	全薬工業株式会社	適応外薬	
11	Ⅲ-③-50	トピラマート	片頭痛発作の発症抑制	トピラマート50~200mg/日、分1~2	日本神経学会	協和発酵キリン	適応外薬	
12	Ⅲ-③-51	メトプロロール酒石酸塩	片頭痛発作の発症抑制	メトプロロール40~120mg/日、分2	日本神経学会	アストラゼネカ ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬	
13	Ⅲ-④-2	ドネペジル塩酸塩	アルツハイマー型認知症及びレビー小体型認知症における認知症症状の進行抑制	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 通常、成人にはドネペジル塩酸塩として1日1回3mgから開始し、1~2週間後に5mgに増量し、経口投与する。さらに、症状に応じて、5mgで4週間以上経過後、10mgに増量することができる。なお、症状により適宜減量する 注：現時点で高度ADに対して可能な10 mg/日への増量を、軽度から中等度ADでも可能とする用法・用量への変更の要望	公益社団法人日本老年精神医学会	エーザイ株式会社、 他、ジェネリック医薬品販売会社	適応外薬	

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
14	Ⅲ-④-19	Fludeoxyglucose(18F)	高安動脈炎の診断	通常、成人には本剤1バイアル(検定日時において185MBq)を静脈内に投与し撮像する。投与量(放射能)は、年齢、体重により適宜増減するが、最小74MBq、最大370MBqまでとする。	日本核医学会、日本心臓病学会、日本心不全学会、日本循環器学会、日本脈管学会、日本リウマチ学会、日本臨床免疫学会、厚生労働省難治性血管炎研究班、あけぼの会	日本メジフィジックス株式会社	適応外薬	
<b>&lt;精神・神経WG&gt;</b>								
15	Ⅲ-④-5	ataluren	ジストロフィン遺伝子にナンセンス変異を認めるデュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)	Atalurenの1日量として体重1 kgあたり40 mgを1日3回(朝10 mg/kg、昼10 mg/kg、夕20 mg/kg)経口投与する。	一般社団法人 日本筋ジストロフィー協会	PTC Therapeutics Inc. (USA)	未承認薬	
<b>&lt;抗茵・抗炎症WG&gt;</b>								
16	Ⅲ-③-12	メトトレキサート	尋常性乾癬、関節症性乾癬、膿疱性乾癬、乾癬性紅皮症	通常、1週間単位の投与量をMTXとして4~8 mgとし、1週間単位の投与量を1回又は2~3回に分割して経口投与する。分割して投与する場合、初日から2日目にかけて12時間間隔で投与する。1回又は2回分割投与の場合は残りの6日間、3回分割投与の場合は残りの5日間は休薬する。これを1週間ごとに繰り返す。なお、患者の年齢、症状、忍容性及び本剤に対する反応等に応じて適宜増減するが、1週間単位の投与量として16mgを超えないようにする。	公益社団法人日本皮膚科学会	ファイザー株式会社	適応外薬	
17	Ⅲ-④-4	ソホスブビル	ジェノタイプ3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	リバビリンとの併用において、ソホスブビルとして400mgを1日1回、24週間経口投与する	日本エイズ学会、日本肝臓学会、日本血栓止血学会、東京・大阪HIV訴訟原告団、社会福祉法人 はばたき福祉事業団、個人	ギリアド・サイエンシズ	適応外薬	

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
18	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)
19	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	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
20	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	要望書確認中
21	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。 <u>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。</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	要望書確認中
22	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。 <u>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。</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	要望書確認中
<b>&lt;抗がんWG&gt;</b>								
23	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)	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 <sup>2</sup> 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	使用実態調査結果を依頼中 抗がんWG(小児WG)
24	Ⅲ-③-7	オキサリプラチン	小腸癌	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85mg/m <sup>2</sup> (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、又は130mg/m <sup>2</sup> (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。なお、患者の状態により適宜減量する。	特定非営利活動法人日本臨床腫瘍学会	株式会社ヤクルト本社	適応外薬	

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
25	Ⅲ-③-8	フルオロウラシル	小腸癌	通常、成人にはレボホリナートとして1回200 mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を2時間かけて点滴静脈内注射する。レボホリナートの点滴静脈内注射終了直後にフルオロウラシルとして通常成人 400 mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を静脈内注射、さらにフルオロウラシルとして2400~3000mg/m <sup>2</sup> (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。	特定非営利活動法人日本臨床腫瘍学会	協和発酵キリン株式会社	適応外薬	
26	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	Fludarabine 1回量30mg/m <sup>2</sup> を30分以上かけて5日間点滴静脈内投与する。	日本小児血液・がん学会	サノフィ株式会社	適応外薬	
27	Ⅲ-③-54	テモゾロミド	再発・難治性ユーイング肉腫(小児)	○テモダールカプセル20mg・テモダールカプセル100mg 再発・難治性ユーイング肉腫に対してトポイソメラーゼ阻害剤などとの併用の一剤として、1回100~125 mg/m <sup>2</sup> を1日1回連日5日間、経口投与し、16日間以上休薬する。これを1コースとして、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。  ○テモダール点滴静注用 100mg 下記のとおり本剤を90分間かけて静脈内投与する。 再発・難治性ユーイング肉腫に対してトポイソメラーゼ阻害剤などとの併用の一剤として、1回100~125 mg/m <sup>2</sup> を1日1回連日5日間、投与し、16日間以上休薬する。これを1コースとして、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。	日本小児血液・がん学会	MSD株式会社	適応外薬	
28	Ⅲ-④-1	レボホリナートカルシウム	小腸癌	通常、成人にはレボホリナートとして1回200mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を2時間かけて点滴静脈内注射する。レボホリナートの点滴静脈内注射終了直後にフルオロウラシルとして400mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を静脈内注射するとともに、フルオロウラシルとして2400~3000mg/m <sup>2</sup> (体表面積)を46時間かけて持続静脈内注射する。これを2週間ごとに繰り返す。	特定非営利活動法人日本臨床腫瘍学会	ファイザー株式会社	適応外薬	



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
29	Ⅲ-④-20	ペバシズマブ	卵巣癌(変更なし)	他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはペバシズマブ(遺伝子組換え)として1回10mg/kg(体重)を2週間間隔又は1回15mg/kg(体重)を3週間間隔で点滴静脈内注射する。なお、患者の状態により投与間隔は適宜延長すること。 ※下線部分が要望内容	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	適応外薬	
30	Ⅲ-④-22	テモゾロミド	再発・難治性ユーイング肉腫(成人)	○テモダールカプセル20mg・テモダールカプセル100mg 再発・難治性ユーイング肉腫に対してトポイソメラーゼ阻害剤などとの併用の一剤として、1回100～125 mg/m <sup>2</sup> を1日1回連日5日間、経口投与し、16日間以上休薬する。これを1コースとして、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。 ○テモダール点滴静注用 100mg 下記のとおり本剤を90分間かけて静脈内投与する。 再発・難治性ユーイング肉腫に対してトポイソメラーゼ阻害剤などとの併用の一剤として、1回100～125 mg/m <sup>2</sup> を1日1回連日5日間、投与し、16日間以上休薬する。これを1コースとして、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。	日本小児血液・がん学会	MSD株式会社	適応外薬	
<b>&lt;生物WG&gt;</b>								
31	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	
	日本外傷学会							
	一般社団法人 日本血栓止血学会							
Ⅲ-①-29.2								
Ⅲ-①-29.3								
32	Ⅲ-④-8	エプタコグ アルファ(活性型)(遺伝子組換え)	重篤な産科危機的出血	本剤90µg/kg(4.5 KIU/kg)を静脈内投与する。20分以内に止血効果を認めない場合、更に1回追加投与を行う。	公益社団法人日本産科婦人科学会	ノボ ノルディスクファーマ株式会社	適応外薬	
33	Ⅲ-④-9	乾燥人フィブリノゲン	産科危機的出血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	注射用水に溶解し、1回3gを静脈内投与する。止血効果が得られない場合は、血中フィブリノゲン値をモニタリングしながら、同量を追加投与する。	公益社団法人日本産科婦人科学会	一般社団法人 日本血液製剤機構	適応外薬	

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
<b>&lt;小児WG&gt;</b>								
34	Ⅲ-①-39	シルденаフィルク エン酸塩	小児の肺動脈性肺高血圧症	体重20kg以下の小児の最大用量は30mg、分3の経口投与。 体重20kg超の小児の最大用量は60mg、分3の経口投与。 なお、患者の状態により開始用量は0.5~1mg/kg/日、分3の 経口投与としても良い。	日本小児循環器学会	ファイザー株式会社	適応外薬	小児WG(循環器WG)

未承認薬	1
適応外薬	33
合計	34

## 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) <sup>注</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<b>&lt;代謝・その他WG&gt;</b>								
1	Ⅲ-①-22.1	オランザピン	抗悪性腫瘍剤投与に伴う消化器症状(悪心嘔吐)	日本緩和医療学会	日本イーライリリー	公知申請を希望する。	WGで検討中	適応外薬
	Ⅲ-①-22.2			日本消化器病学会				
2	Ⅲ-③-10	アザチオプリン	自己免疫性肝炎	日本肝臓学会	田辺三菱製薬	公知申請を希望する。	WGで検討中	適応外薬
					アスペンジャパン株式会社	公知申請を希望する。	WGで検討中	適応外薬
<b>&lt;循環器WG&gt;</b>								
3	Ⅲ-①-18	A型ボツリヌス毒素	抗コリン薬でコントロール不十分な、特定神経疾患(脊髄損傷又は多発性硬化症等)により生じた神経因性排尿筋過活動に起因する尿失禁の治療	日本排尿機能学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	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。	適応外薬
4	Ⅲ-①-74	リツキシマブ(遺伝子組換え)	慢性特発性血小板減少性紫斑病	日本血液学会	全薬工業株式会社	公知申請を希望する。	WGで検討中	適応外薬
5	Ⅲ-③-24	アセチルコリン塩化物0.1g	麻酔後の腸管麻痺、消化管機能低下のみられる急性胃拡張、円形脱毛症。 <u>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。</u> ※下線部分が要望内容	一般社団法人 日本循環器学会	第一三共株式会社	公知申請を希望する。	WGで検討中	適応外薬
6	Ⅲ-③-25	ドブタミン塩酸塩(希釈型ドブタミン塩酸塩注射液)	当該薬剤を投与することにより、 <u>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</u> ※下線部分が要望内容	一般社団法人 日本循環器学会	塩野義製薬株式会社	公知申請を希望する。	WGで検討中	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) <sup>注</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<b>&lt;精神・神経WG&gt;</b>								
7	Ⅲ-①-3	Cisatracurium besylate	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)	日本小児救急医学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	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。	要望者より、要望の取り下げに関する申出が提出された(資料6)。	未承認薬
8	Ⅲ-①-4	Cisatracurium besylate	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)	日本小児救急医学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	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。	要望者より、要望の取り下げに関する申出が提出された(資料6)。	未承認薬
9	Ⅲ-①-12	アーテカイン塩酸塩・アドレナリン 酒石酸水素塩	歯科領域における浸潤麻酔又は伝達麻酔	日本歯科麻酔学会	デンツプライ三金株式会社	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。	-	未承認薬
10	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。	WGで検討中	適応外薬
11	Ⅲ-④-3	ミダゾラム	てんかん重積状態	日本小児神経学会 他	シャイアー・ジャパン 株式会社	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。	治験相談利用予定あり。	未承認薬
<b>&lt;抗菌・抗炎症WG&gt;</b>								
12	Ⅲ-③-13	乾燥濃縮人C1-インアクチベータ	遺伝性血管性浮腫の急性発作及び処置前における短期予防 ※下線部分が要望内容	公益社団法人日本 口腔外科学会、公益社団法人日本皮膚科学会	CSLベアリング株式会社	公知申請を希望する。	WGで検討中	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) <sup>注</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<b>&lt;抗がんWG&gt;</b>								
13	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	公知申請を希望する。	要望内容は、本剤の既承認の用法・用量と比較して1回投与量が増加する。本剤は、AUCが大きい場合には有害事象の発生リスクが高く、小さい場合には生着不全を引き起こすリスクが高くなることが知られている(「平成18年4月13日付け審査報告書 ブスルフェクス点滴静注用60mg」参照)。日本人の小児患者に本剤を1日1回投与した際の情報は得られていないこと、及び海外の文献では要望内容と異なる用法・用量(薬物濃度モニタリング)を用いた報告も見受けられることから、日本人の小児患者に対する本剤の1日1回投与の安全性は不明であり、当該安全性情報を収集する目的の臨床試験の実施が最低限必要と考える。詳細な試験計画については、これまでに得られた情報を整理した上で、機構と治験相談等を実施することを推奨する。	適応外薬
14	Ⅲ-①-61	ブスルファン	1. 同種造血幹細胞移植の前治療(成人) 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(成人)	日本造血細胞移植学会	大塚製薬株式会社	公知申請を希望する。	要望内容は、本剤の既承認の用法・用量と比較して1回投与量が増加する。本剤は、AUCが大きい場合には有害事象の発生リスクが高く、小さい場合には生着不全を引き起こすリスクが高くなることが知られている(「平成18年4月13日付け審査報告書 ブスルフェクス点滴静注用60mg」参照)。企業は、本剤を1日1回投与した国内臨床研究成績から、日本人患者に対する本剤の1日1回投与の安全性について説明可能と考えている。しかしながら、当該試験において、本剤の1日1回投与が検討された患者は限られており、当該試験における投与日数は2又は4日間と設定されていたことから、要望内容である1日1回4日間投与の評価には限界がある。したがって、1日1回4日間投与の安全性情報を説明できるような試験の実施が最低限必要と考える。要望書によると、現在、国内で本剤を1日1回投与する臨床研究が実施中とのことであり、これまでに得られた情報を整理した上で、詳細な試験計画については機構と治験相談等を実施することを推奨する。	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) <sup>注</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
15	Ⅲ-①-76.1 Ⅲ-①-76.2	リツキシマブ(遺伝子組換え)	CD20 陽性のB 細胞性非ホジキンリンパ腫	日本リンパ網内系 学会、日本血液学 会	全薬工業株式会 社	公知申請を希望する。	企業は、国内で実施された本剤の90分間投与の忍容性等を確認することを目的とした試験成績から、日本人のCD20陽性の非ホジキンリンパ腫患者に対する本剤の90分間投与の安全性について説明可能と考えている。しかしながら、当該試験において、本剤の90分間投与に相当する投与速度が検討された患者は非常に限られている。また、当該患者における投与濃度は最高で21.4 mg/mLであり、希釈濃度を1~4 mg/mLと設定する適切性も不明である。 以上より、現時点で得られている情報のみから、日本人のCD20陽性の非ホジキンリンパ腫患者に対する本剤の90分間投与の安全性を説明することは難しく、当該安全性情報を説明できるような試験の実施が最低限必要と考える。詳細な試験計画については、これまでに得られた情報を整理した上で、機構と治験相談等を実施することを推奨する。	適応外薬
16	Ⅲ-②-2	三酸化ヒ素	初発を含む急性前骨髄球性白血病	一般社団法人 日 本血液学会	日本新薬株式会 社	公知申請を希望する。	WGで検討中	適応外薬
17	Ⅲ-②-3.1 Ⅲ-②-3.2	シタラビンリポソーム	悪性リンパ腫に伴う髄膜播種	一般社団法人日本 リンパ網内系学会  一般社団法人日本 血液学会	米国・カナダ：Sigma- Tau Pharmaceuticals 欧州：Mundipharma International Limited	本邦における開発権を取得できた場合には、公知申請を希望する。	WGで検討中	未承認薬

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) <sup>注</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
18	Ⅲ-②-10	レナリドミド水和物	再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫	一般社団法人グループ・ネクサス・ジャパン	セルジーン株式会社	公知申請を希望する。	本剤は、製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は全症例を対象に使用成績調査を実施することにより、本剤使用患者の背景情報を把握するとともに、本剤の安全性及び有効性に関するデータを収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じることを承認条件として、本邦において2010年6月に承認されており、当該使用成績調査の結果は現時点では提出されていない。また、日本人のマントル細胞リンパ腫患者に本剤を投与した際の情報は得られていない。 上記の情報を踏まえると、本剤について、現時点で公知申請することは適当でないと考える。今後の開発計画については機構と治験相談等を実施することを推奨する。	適応外薬
<b>&lt;小児WG&gt;</b>								
19	Ⅲ-①-21	オセルタミビルリン酸塩	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)	日本感染症学会、日本小児感染症学会、日本未熟児新生児学会	中外製薬株式会社	公知申請を希望する。	使用実態調査実施中	適応外薬
20	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。	使用実態調査を依頼予定	適応外薬
21	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。	使用実態調査を依頼予定	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	5
適応外薬	16
合計	21

既に開発に着手しているもの

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) <sup>注</sup>	備考	未承認薬 適応外薬 の分類
<b>&lt;循環器WG&gt;</b>								
1	Ⅲ-①-19	A型ボツリヌス毒素	抗コリン薬で効果不十分又は忍容性のない成人患者における切迫性尿失禁、尿意切迫感、頻尿症状を伴う過活動膀胱の治療	日本排尿機能学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	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。		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	0
適応外薬	1
合計	1