

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する 専門作業班（WG）の評価

<抗がん WG>

目 次

<抗がん剤分野>

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における適応外薬

ボルテゾミブ（要望番号；III-③-1.1）……………	1
ボルテゾミブ（要望番号；III-③-1.2）……………	2

【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】

本邦における適応外薬

アレムツズマブ（遺伝子組換え） （要望番号；III-③-9）……………	3
--	---

要望番号	Ⅲ-③-1.1	要望者名	日本リンパ網内系学会
要望された医薬品	一般名	ボルテゾミブ	
	会社名	ヤンセンファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫	
	用法・用量	成人に1日1回、ボルテゾミブとして1.3 mg/m ² （体表面積）を週2回、2週間（1、4、8及び11日目）静脈内投与又は皮下投与した後、10日間休薬（12～21日目）する。この3週間を1サイクルとし、投与を繰り返す。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫（以下、「WM/LPL」）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。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等6カ国では承認されていないものの、診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績等から、ボルテゾミブはWM/LPL患者に対して欧米等において標準的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。</p>		
備考	本要望では静脈内投与及び皮下投与が要望されている。一方、国内の医療現場では皮下投与が主として使用されており、今後は、当該使用実態を踏まえて開発を進めることが望ましいと考える。		

要望番号	Ⅲ-③-1.2	要望者名	日本血液学会
要望された医薬品	一般名	ボルテゾミブ	
	会社名	ヤンセンファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫	
	用法・用量	成人に1日1回、ボルテゾミブとして1.3 mg/m ² (体表面積) を週2回、2週間(1、4、8及び11日目) 静脈内投与又は皮下投与した後、10日間休薬(12~21日目) する。この3週間を1サイクルとし、投与を繰り返す。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫(以下、「WM/LPL」)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。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等6カ国では承認されていないものの、診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績等から、ボルテゾミブはWM/LPL患者に対して欧米等において標準的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。</p>		
備考	本要望では静脈内投与及び皮下投与が要望されている。一方、国内の医療現場では皮下投与が主として使用されており、今後は、当該使用実態を踏まえて開発を進めることが望ましいと考える。		

要望番号	Ⅲ-③-9	要望者名	日本造血細胞移植学会、日本血液学会、日本リンパ網内系学会、日本小児血液・がん学会、グループ・ネクサス・ジャパン、NPO 血液患者コミュニティももの木、HosPAC/院内患者会世話人連絡協議会、東大病院おしゃべり会パロス/Pharos
要望された医薬品	一般名	アレムツズマブ（遺伝子組換え）	
	会社名	サノフィ株式会社	
要望内容	効能・効果	造血幹細胞移植の前治療（移植片対宿主病の予防）	
	用法・用量	1日1回体重1kgあたりアレムツズマブ0.16mgを緩徐に点滴静注する。投与期間は造血幹細胞移植前処置として6日間とする。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>造血幹細胞移植を要する疾患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。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/> エ</p> <p>[特記事項]</p> <p>要望内容は、欧米等6カ国では承認されていない。欧米等の診療ガイドラインにおいても、造血幹細胞移植の前治療におけるアレムツズマブ（遺伝子組換え）の使用を推奨する記載は認められなかった。また、海外臨床試験成績では要望内容と異なる用法・用量の使用が認められるのみであった。さらに、アレムツズマブ（遺伝子組換え）は、企業の開発戦略上の都合により、欧米諸国では販売が行われていない（「平成26年8月20日付け審査報告書 マブキャンパス点滴静注30mg」参照）。以上より、医療上の有用性は「ア」～「ウ」のいずれにも該当しないと判断した。</p>		
備考			