

「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

テモゾロミド（要望番号；III-③-54）……………	1
テモゾロミド（要望番号；III-④-22）……………	3
ベバシズマブ（遺伝子組換え） （要望番号；III-④-20）……………	5

【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

ラパチニブトシル酸塩水和物（要望番号；I-328）…	6
----------------------------	---

要望番号	Ⅲ-③-54	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	テモゾロミド	
	会社名	MSD 株式会社	
要望内容	効能・効果	再発・難治性ユーイング肉腫	
	用法・用量	再発・難治性ユーイング肉腫に対し、トポイソメラーゼ阻害剤等と併用して、1回 100～125 mg/m ² を1日1回5日間連日経口投与又は静脈内投与し、16日以上休薬する。これを1コース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。	
「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 checked="" type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>ユーイング肉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。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>平成24年3月23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、テモゾロミドの難治性小児悪性固形腫瘍に係る要望について、欧米において標準的治療として用いられていると判断することが困難であったため、医療上の有用性は「エ」と評価された。</p> <p>今般、小児悪性固形腫瘍のうち、欧米等の診療ガイドラインにおいて記載のある、小児・若年成人に好発する再発・難治性ユーイング肉腫に限定した要望が提出された。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においては、治療選択肢の一つとして記載されている。また、ユーイング肉腫のうち、再発・難治性の患者に対する治療選択肢、テモゾロミドの使用実態等を考慮すると、テモゾロミドは再発・難治性ユーイング肉腫に対し標準的に使用されていると考えられ、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、医療上の有用性は「ウ」に該当すると判断した。</p>		

備 考	Ⅲ-③-54 が小児、Ⅲ-④-22 が成人の再発・難治性ユーイング肉腫に対する要望である。
-----	-----------------------------------------------

要望番号	Ⅲ-④-22	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	テモゾロミド	
	会社名	MSD 株式会社	
要望内容	効能・効果	再発・難治性ユーイング肉腫	
	用法・用量	再発・難治性ユーイング肉腫に対し、トポイソメラーゼ阻害剤等と併用して、1回 100～125 mg/m ² を1日1回5日間連日経口投与又は静脈内投与し、16日以上休薬する。これを1コース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。	
「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 checked="" type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>ユーイング肉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。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>平成24年3月23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、テモゾロミドの難治性小児悪性固形腫瘍に係る要望について、欧米において標準的治療として用いられていると判断することが困難であったため、医療上の有用性は「エ」と評価された。</p> <p>今般、小児悪性固形腫瘍のうち、欧米等の診療ガイドラインにおいて記載のある、小児・若年成人に好発する再発・難治性ユーイング肉腫に限定した要望が提出された。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においては、治療選択肢の一つとして記載されている。また、ユーイング肉腫のうち、再発・難治性の患者に対する治療選択肢、テモゾロミドの使用実態等を考慮すると、テモゾロミドは再発・難治性ユーイング肉腫に対し標準的に使用されていると考えられ、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、医療上の有用性は「ウ」に該当すると判断した。</p>		

備 考	Ⅲ-③-54 が小児、Ⅲ-④-22 が成人の再発・難治性ユーイング肉腫に対する要望である。
-----	-----------------------------------------------

要望番号	Ⅲ-④-20	要望者名	日本婦人科腫瘍学会、日本産科婦人科学会
要望された医薬品	一般名	ベバシズマブ（遺伝子組換え）	
	会社名	中外製薬株式会社	
要望内容	効能・効果	卵巣癌	
	用法・用量	他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはベバシズマブ（遺伝子組換え）として <u>1回 10 mg/kg（体重）を2週間間隔又は1回 15 mg/kg（体重）を3週間間隔で点滴静脈内注射する。</u> なお、患者の状態により投与間隔は適宜延長すること。 (下線部追加)	
「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 checked="" type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>卵巣癌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 checked="" type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>要望内容である2週間間隔での投与方法について、抗悪性腫瘍剤（パクリタキセル、ノグテカン塩酸塩又はリポソーム化ドキソルビシン）にベバシズマブ（遺伝子組換え）を上乗せした際の有効性及び安全性を検討することを目的とした海外第Ⅲ相試験成績に基づき、欧米等6カ国で承認されており、欧米等の診療ガイドラインにおいて、当該試験成績が引用されている。以上より、要望内容は海外において標準的治療の一つとして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、医療上の有用性は「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	I-328	要望者名	個人
要望された医薬品	一般名	ラパチニブトシル酸塩水和物	
	会社名	ノバルティスファーマ株式会社（グラクソ・スミスクライン株式会社より承継）	
要望内容	効能・効果	乳癌	
	用法・用量	トラスツズマブ（遺伝子組換え）との併用投与	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>乳癌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 checked="" type="checkbox"/> [エ]</p> <p>[特記事項]</p> <p>本要望に係る開発要請時に企業により実施されていた、術後補助化学療法としてのラパチニブトシル酸塩水和物及びトラスツズマブ（遺伝子組換え）併用投与の有効性及び安全性を検討することを目的とした国際共同第Ⅲ相試験（以下、「ALTTO試験」）において、主要評価項目とされた無病生存期間について、トラスツズマブ単独投与群に対する優越性が示されなかった。当該試験成績を踏まえると、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	<p>本要望については、平成22年10月6日に開催された第5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、適応疾患の重篤性は「ア」、医療上の有用性は「ウ」に該当し、医療上の必要性が高い旨報告され、開発要請がなされた。</p> <p>今般、ALTTO試験成績等を踏まえ、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望対象の拡大について」（平成27年7月1日付け医政研発0701第2号、薬食審査発0701第2号）の記第2の5における規定に基づき、ノバルティスファーマ株式会社より医療上の必要性の再検討の依頼がなされたため、医療上の必要性の再検討を行った。</p>		