

「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
＜代謝・その他 WG＞

目 次

＜代謝分野＞

【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

ケノデオキシコール酸（要望番号；IV-27）…… 1

要望番号	IV-27	要望者名	日本神経治療学会
要望された医薬品	一般名	ケノデオキシコール酸	
	会社名	藤本製薬株式会社	
要望内容	効能・効果	脳髄黄色腫症	
	用法・用量	通常、成人にはケノデオキシコール酸として、300～400 mg を1日2～3回に分割経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日最高投与量は600 mg 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 checked="" type="checkbox"/> [特記事項]</p> <p>脳髄黄色腫症は、早期の段階から慢性的な下痢、若年性白内障が認められ、加えて黄色腫や神経障害を呈する（GeneReviews 2016*）。臨床症状の多くは不可逆的であり、運動障害、知能低下、精神障害など日常生活に著しい影響を及ぼすことから、「イ」に該当すると考える。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [特記事項]</p> <p>欧米等で本剤の脳髄黄色腫症に対する承認はないが、米国国立衛生研究所が公開するデータベース及び海外の公表文献等において、本疾患の治療薬として本剤が有効である旨が報告されていること（GeneReviews 2016*、Pediatrics, 2009; 123: 143-7）を踏まえると、「ウ」に該当すると考える。</p> <p>※https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1409/</p>		
備考	脳髄黄色腫症に対する本剤の具体的な用法・用量については、本邦における使用実態等も踏まえ、今後検討する必要があると考える。		