

「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

＜循環器 WG＞

目 次

＜循環器官用薬分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における未承認薬

Defibrotide（要望番号；IV-19）……………	1
------------------------------	---

要望番号	IV-19	要望者名	日本造血細胞移植学会
要望された医薬品	一般名	Defibrotide	
	会社名		
要望内容	効能・効果	類洞閉塞症候群（肝中心静脈閉塞症 veno-occlusive disease; VOD）	
	用法・用量	1回 6.25mg/kg を1日4回、生理食塩水に溶解して2時間で静注	
「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>類洞閉塞症候群（肝中心静脈閉塞症）は造血幹細胞移植後の重篤な合併症の一つとして知られ、重症の場合は、腎不全や呼吸不全等の多臓器不全を引き起こし、死亡に至ることもあることから、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"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>本剤は米国、英国、独国及び仏国で類洞閉塞症候群（肝中心静脈閉塞症）に関して承認されており、海外ガイドラインにおいても類洞閉塞症候群（肝中心静脈閉塞症）の治療法として推奨されている。本邦においては、現在、類洞閉塞症候群（肝中心静脈閉塞症）に関する効能・効果で承認された薬剤はなく、有効性及び安全性が確立された治療法は存在しないことから、医療上の有用性は「ア」に該当すると判断した。</p>		
備考			