

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 23 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 33（未承認薬 5、適応外薬 28）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	0	0	1	10
		適応外薬	0	3	0	2	1	0	1	7
	必要性高くない	未承認薬	0	0	0	3	1	0	0	4
		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	2	0	0	2	
	適応外薬	10	1	2	3	6	0	0	22	
検討中	未承認薬	0	4	0	0	1	0	0	5	
	適応外薬	9	3	0	1	10	1	4	28	
既に開発中	未承認薬	0	1	1	0	3	0	0	5	
	適応外薬	2	0	0	0	1	0	0	3	
合計		22	14	6	13	28	1	6	90	

※「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

※循環器 WG の 2 品目（適応外薬）を、小児 WG へ変更

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 33 品目について、平成 27 年 6 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 27 年 7 月 10 日現在、検討中課題（残課題）数は 23（未承認薬 3、適応外薬 20）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	0	0	0	0	0	0	0	
		適応外薬	0	0	0	0	4	0	2	6
	必要性高くない	未承認薬	0	2	0	0	0	0	0	2
		適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0
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	2	0	0	1	0	0	3	
	適応外薬	9	3	0	0	6	1	1	20	
既に開発中	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	適応外薬	0	0	0	1	0	0	1	2	
合計		9	7	0	1	11	1	4	33	

3. 第23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17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	—	—	—	—
合計	17	—	4	2	6

各WGの検討状況		合計	
企業に開発要請したもの		4	
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	1	
既に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	1	1
	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	2
	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	0	0
	適応外薬	0	
開発企業を公募したもの		2	
合計		6	

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11品目について、平成27年5月21日に開発要請及び開発企業の公募を行った。
- 前回会議時点で公知申請の妥当性等を検討中であった品目はなく、今回会議までに開発要請を行った品目について、平成27年6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27年7月10日現在、検討中課題（残課題）数は10（未承認薬4、適応外薬6）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		10	
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	0	
既に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	0
	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	0	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	4	10
	適応外薬	6	
開発企業を公募したもの		1	
合計		11	

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
<代謝・その他WG>								
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)	成人に対して他の制吐剤と併用し、オランザピン5mgもしくは10mgを投与する。	日本緩和医療学会	日本イーライリリー	適応外薬	
	Ⅲ-①-22.2				日本消化器病学会			
2	Ⅲ-①-49	バシリキシマブ(抗CD25抗体製剤:遺伝子組換え)	<ul style="list-style-type: none"> 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 	<ul style="list-style-type: none"> 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	
3	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	第二期要望
	Ⅲ-①-72.2				日本神経内分分泌学会			
	Ⅲ-①-72.3				日本内分分泌学会			第二期要望
4	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 ² 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	
5	Ⅲ-①-80	レボチロキシナトリウム	粘液水腫性昏睡/重症甲状腺機能低下症	通常、成人にはレボチロキシナトリウムとして初回量50~200 µgを静脈内注射する。その後、50~100 µgを1日1回点滴静注し、意識障害が改善するまで継続する。なお、年齢、症状により適宜増減する。	日本甲状腺学会 日本内分分泌学会 日本救急医学会 日本病院総合診療医学会	APP Pharma(米国) Henning Berlin/Sanofi(独国) Laboratoires SERB(仏国) PHARMACEUTICAL PARTNERS OF CANADA(加国)	適応外薬	
6	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 ² 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	
7	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 ² 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)

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
8	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 ² 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	
9	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 ² 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)
<循環器WG>								
10	Ⅲ-①-1	aminocaproic acid	線維素溶解(fibrinolysis)に伴う著しい出血に対する止血促進作用 線維素溶解に伴う著しい出血とは、人工心肺を伴う心臓手術、血液腫瘍疾患、胎盤早期剥離、前立腺がん、肺がん、胃がんなどの悪性新生物に対する手術後、および外傷後にしばしば認められる。 (成人)	4-5 gを最初の1時間で静注、続いて1時間当たり1gを静注、止血が得られるまで約8時間継続する。	日本小児救急医学会	American Regent, Inc. または Hospira, Inc. XANODYNE PHARMACEUTICALS	未承認薬	
11	Ⅲ-①-2	aminocaproic acid	線維素溶解(fibrinolysis)に伴う著しい出血に対する止血促進作用 線維素溶解に伴う著しい出血とは、人工心肺を伴う心臓手術、血液腫瘍疾患、胎盤早期剥離、前立腺がん、肺がん、胃がんなどの悪性新生物に対する手術後、および外傷後にしばしば認められる (小児)	1) 100-200 mg/kg IV 維持 100 mg/kg/dose 4-6 hr毎 最大量 : 30 g/24 hr または 2) 100 mg/kg または 3 g/m ² の初回投与、引き続き 33.3 m/kg/hr または 1 g/m ² /hr	日本小児救急医学会	American Regent, Inc. または Hospira, Inc. XANODYNE PHARMACEUTICALS	未承認薬	循環器WG(小児WG)
12	Ⅲ-①-40	ドネペジル塩酸塩	レビー小体型認知症における認知機能障害及び精神症状・行動障害の改善	通常、成人にはドネペジル塩酸塩として1日1回 3 mgから開始し、1~2週間後に5 mgに増量し、経口投与する。効果不十分な場合には、5 mgで4週間以上経過後、10 mgに増量する。なお、症状により適宜減量できる。	レビー小体型認知症研究会	エーザイ株式会社	適応外薬	
13	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	1回当たり375 mg/m ² 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	
14	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 ² 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	

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
<抗がんWG>								
15	Ⅲ-①-16	イブリツモブチウキセタン(遺伝子組換え)塩化イットリウム(⁹⁰ Y)	CD20陽性の低悪性度濾胞性リンパ腫の初発例に対する寛解導入後の地固め療法	通常、成人には、リツキシマブ(遺伝子組換え)を点滴静注後、速やかに、イットリウム(⁹⁰ Y)イブリツモブチウキセタン(遺伝子組換え)として14.8MBq/kg(最大1184MBq)を10分間かけて静脈内投与する。	日本血液学会	スペクトラム・ファーマシューティカルズ合同会社	適応外薬	WGで議論の後、要望内容を要望学会に再確認中
16	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 ² 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。 <u>(下線部を削除)</u>	日本小児血液・がん学会	全薬工業株式会社	適応外薬	WGで議論の後、要望内容を要望学会に再確認中 抗がんWG(小児WG)
17	Ⅲ-②-2	三酸化ヒ素	初発を含む急性前骨髄球性白血病	通常、三酸化ヒ素として、0.15mg/kgを5%ブドウ糖液あるいは生理食塩液に混合して100~250mLとし、1~2時間かけて投与する。 1. 寛解導入療法: 骨髄寛解が得られるまで1日1回静脈内投与する。合計の投与回数は60回を超えないこと。 2. 寛解後療法: 寛解が得られた場合には、寛解導入終了後3~6週間後に開始する。5週間の間に1日1回、計25回静脈内投与する。	一般社団法人 日本血液学会	日本新薬株式会社	適応外薬	
18	Ⅲ-②-3.1	シタラビンリポソーム	悪性リンパ腫に伴う髄膜播種	通常、成人には50mg(1バイアル)を髄腔内(腰椎穿刺又はオンマイヤーリザーバーを用いて脳室内)に投与する。 以下の導入、地固め、維持療法が推奨されている。 導入治療: 50mgを14日ごとに2回(1, 3週)投与する。 地固め治療: 50mgを14日ごとに3回(5, 7, 9週)、その後13週目に50mgを1回投与する。 維持治療: 50mgを28日ごとに4回(17, 21, 25, 29週)投与する。	一般社団法人日本リンパ網内系学会	米国・カナダ: Sigma-Tau Pharmaceuticals 欧州: Mundipharma International Limited	未承認薬	
	Ⅲ-②-3.2				一般社団法人日本血液学会			
19	Ⅲ-②-4	ベンダムスチン塩酸塩	未治療の低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫又はマントル細胞リンパ腫	28日間を1サイクルとし、1日目及び2日目にベンダムスチン塩酸塩として90 mg/m ² (体表面積)を、1日目にリツキシマブ375 mg/m ² を点滴静注し、最大6サイクル繰り返し投与する。	一般社団法人グループ・ネクサス・ジャパン	シンバイオ製薬株式会社	適応外薬	
20	Ⅲ-②-5	ベンダムスチン塩酸塩	再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞性リンパ腫	3週間を1サイクルとし、1日目及び2日目にベンダムスチン塩酸塩として120 mg/m ² (体表面積)を1日1回点滴静注する。	一般社団法人グループ・ネクサス・ジャパン	シンバイオ製薬株式会社	適応外薬	
21	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	クレアチニンクリアランスが60mL/min以上の患者に対しては、レナリドミド25mgを1日1回21日間投与し(1サイクル28日)、クレアチニンクリアランス30mL/min以上で60mL/min未満の患者にはレナリドミド10mgを1日1回21日間投与しました(1サイクル28日)。	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	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
<生物WG>								
22	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	
	Ⅲ-①-29.2				日本外傷学会			
	Ⅲ-①-29.3				一般社団法人 日本血栓止血学会			第二期要望
<小児WG>								
23	Ⅲ-①-39	シルデナフィルクエン酸塩	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	3
適応外薬	20
合計	23

※ 新たに「既に開発中」であることが明らかになったもの

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	備考
<抗茵・抗炎症WG>								
19	Ⅲ-①-25	カナキヌマブ	全身型若年性特発性関節炎	カナキヌマブとして1回4mg/kg(最大用量300mgまで)を4週毎に皮下投与する。	日本小児リウマチ学会	ノバルティス ファーマ株式会社	適応外薬	
<小児WG>								
32	Ⅲ-①-20	エポプロステノールナトリウム	肺動脈性肺高血圧症	<p>用量設定(投与開始時) 本剤は専用溶解液を用いて溶解し、通常、成人及び小児にはエポプロステノールとして1分間当たり2ng/kgの投与速度で精密持続点滴装置(シリンジポンプ又は輸液ポンプ)により、持続静脈内投与を開始する。患者の状態(症状、血圧、心拍数、血行動態等)を十分観察しながら15分以上の間隔をおいて1~2ng/kg/分ずつ増量し、10ng/kg/分までの範囲で最適投与速度を決定する。</p> <p>最適投与速度の決定にあたっては、増量時における潮紅(軽微なものを除く)、頭痛、嘔気等の副作用の発現が重要な指標となる。このような症状が軽度でも認められた場合にはその後の増量を中止し、それらの症状が消失しない場合には15分以上の間隔をおいて2ng/kg/分ずつ減量すること。</p> <p><u>継続投与</u> その後は最適投与速度で維持し、定期的に患者を観察し症状に応じて投与速度を適宜調節する。</p> <p>(下線部が要望内容)</p>	日本小児循環器学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	適応外薬	

未承認薬	0
適応外薬	2
合計	2

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) ^{注1}	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<循環器WG>								
1	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	治験実施予定。	WG検討前 ^{注2}	適応外薬
2	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	治験実施予定。	WG検討前 ^{注2}	適応外薬
3	Ⅲ-①-41	トルバプタン	抗利尿ホルモン不適合分泌症候群(SIADH)における低ナトリウム血症の改善	日本内分泌学会	大塚製薬株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 ^{注2}	適応外薬
<精神・神経WG>								
4	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	治験実施予定。	WG検討前 ^{注2}	未承認薬
					アッヴィ合同会社	開発方針を検討中。	WG検討前 ^{注2}	未承認薬
5	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	治験実施予定。	WG検討前 ^{注2}	未承認薬
					アッヴィ合同会社	開発方針を検討中。	WG検討前 ^{注2}	未承認薬
6	Ⅲ-①-12	アーティカイン塩酸塩・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	公知申請を希望する。	WG検討前 ^{注2}	未承認薬
<抗菌・抗炎症WG>								
7	Ⅲ-①-34	コルヒチン	家族性地中海熱	日本小児リウマチ学会	高田製薬株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 ^{注2}	適応外薬
8	Ⅲ-①-54	バルガンシクロビル塩酸塩	サイトメガロウイルス感染症のリスクのある臓器移植後のサイトメガロウイルス感染予防・発症抑制(成人)	日本移植学会	田辺三菱製薬株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 ^{注2}	適応外薬

＜小児WG＞								
9	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)	日本小児感染症学会	中外製薬株式会社	公知申請を希望する。	WG検討前 ^{注2}	適応外薬
10	Ⅲ-①-69	ポリエチレングコール	慢性便秘症	日本小児栄養消化器肝臓学会	味の素製薬株式会社	治験実施予定。	WG検討前 ^{注2}	未承認薬

注1) 提出された企業見解より適宜抜粋した。
注2) 平成27年6月22日が企業見解の提出期限であった。

未承認薬	4
適応外薬	6
合計	10