

## 第Ⅱ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22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16（未承認薬0、適応外薬16）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	0	8	2	4	8	1	3	26
		適応外薬	11	9	8	12	24	2	12	78
	必要性高くない	未承認薬	1	0	2	3	2	3	0	11
		適応外薬	4	2	14	24	21	1	5	71
検討対象外	未承認薬	3	0	0	1	3	0	6	13	
	適応外薬	18	7	9	15	14	1	11	75	
検討中	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	適応外薬	0	6	4	0	0	0	6	16	
合計			37	32	39	59	72	8	43	290

### 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

- 前回会議時点で医療上の必要性を検討中であった16品目について、平成27年3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4月22日現在、検討中課題（残課題）数は14（未承認薬0、適応外薬14）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。

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	0
		適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0
	必要性高くない	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0
		適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0
検討対象外	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	適応外薬	0	1	1	0	0	0	0	2	
検討中	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	適応外薬	0	5	3	0	0	0	6	14	
合計			0	6	4	0	0	0	6	16

※「検討対象外」には検討終了前に要望者から取り下げられた要望2件を含む

### 3. 第22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103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11回	80	H24.4.6	67	13	80
第12回	1	H24.8.8	0	1	1
第12回～第14回	17	H25.1.31	14	3	17
第15回～第16回	2	H25.7.17	2	0	2
第18回～第21回	3	H26.11.10	3	0	3
合計	103	—	86	17	103

各WGの検討状況		合計	
企業に開発要請したもの		86	
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	32	
既に開発に着手しているもの (承認申請済みのもを含む)	未承認薬	5	15
	適応外薬	10	
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	4	23
	適応外薬	19	
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	5	16
	適応外薬	11	
開発企業を公募したもの		17	
合計		103	

### 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

- 前回会議時点で公知申請の妥当性等を検討中であった16品目について、平成27年3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4月22日現在、検討中課題（残課題）数は14（未承認薬3、適応外薬11）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		16	
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	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	3	14
	適応外薬	11	
開発企業を公募したもの		0	
合計		16	

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
<b>&lt;循環器WG&gt;</b>								
1	II-47	エノキサパリンナトリウム	抗リン脂質抗体陽性女性における反復流産の予防	通常、エノキサパリンナトリウムとして、1回2000IUを、原則として12時間毎に1日2回連日皮下注射する。	公益社団法人 日本産科婦人科学会	サノフィ・アベンティス株式会社	適応外薬	WGにおける意見集約に難航。医療上の必要性が高いとされた場合でも、治験の実施が困難となる見込み。
2	II-48	エノキサパリンナトリウム	静脈血栓塞栓症の発症リスクの高い妊娠女性における静脈血栓塞栓症の発症抑制	通常、エノキサパリンナトリウムとして、1回2000IUを、原則として12時間毎に1日2回連日皮下注射する。	公益社団法人 日本産科婦人科学会	サノフィ・アベンティス株式会社	適応外薬	WGにおける意見集約に難航。医療上の必要性が高いとされた場合でも、治験の実施が困難となる見込み。
3	II-50	エノキサパリンナトリウム	担がん患者に生じた深部静脈血栓症、肺塞栓症	1mg/kg/dose 12時間おき ※自己注射による投与も要望	特定非営利活動法人 日本臨床腫瘍学会	サノフィ・アベンティス株式会社	適応外薬	学会内再調査中
4	II-123	ダルテパリン	担がん患者に生じた深部静脈血栓症、肺塞栓症	最初の1ヶ月; 200int.units/kg 1日1回 2-6ヶ月; 150int. units/kg以下 1日1回 ※自己注射による投与も要望	特定非営利活動法人 日本臨床腫瘍学会	ファイザー株式会社	適応外薬	学会内再調査中
5	II-162	ハソブレシン	心停止(心室細動、心室頻拍、PEA、心静止)	1回40 U 静注または骨髄注	小児救急医学会	第一三共株式会社	適応外薬	要望学会と要望効能との不一致 学会要望確認中
<b>&lt;精神・神経WG&gt;</b>								
6	II-128	チオペンタールナトリウム	痙攣重症症	5~7mg/kgを20秒程度で静注し、脳波上“burst suppression”が得られるまで50 mgずつボース投与を2~3分間隔で繰り返す。さらに3~5mg/kg/hrの持続静注を12~48時間継続する。	公益社団法人 日本麻酔科学会	田辺三菱製薬株式会社	適応外薬	学会内再調査中
7	II-247	メピバカイン塩酸塩	歯科領域における小児の浸潤麻酔または伝達麻酔	54mg(適宜増減)。増量する場合は注意する。小児最大投与量は次の計算式で求めた量とする。 小児最大投与量=(体重(kg)/68)×成人の最大投与量(400mg) ただし、体重45kg以上の小児は成人の推奨最大1回投与量の270mgを越えないこととする。	日本小児歯科学会	日本歯科薬品株式会社	適応外薬	用量の妥当性の学会回答待ち 精神・神経WG(小児WG)
8	II-271	リドカイン塩酸塩・アドレナリン	歯科領域における小児の浸潤麻酔または伝達麻酔	10歳以下の小児では1歯~数歯の場合には0.9~1.0mL(リドカイン塩酸塩として18~20mg)以上投与が必要なことは稀である。小児最大投与量は7mg/kgをこえてはならない。	日本小児歯科学会	デンツプライ三金株式会社	適応外薬	海外承認と国内使用実態の乖離について検討中 精神・神経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
<b>&lt;小児WG&gt;</b>								
9	II-23	アモキシシリン水和物	小児の下記におけるヘリコバクター・ピロリの除菌 胃潰瘍、十二指腸潰瘍	小児にはオメプラゾールとして1回0.5mg/kgまたはランソプラゾールとして1回0.75mg/kgとアモキシシリンとして1回25mg/kg(力価)及びクラリスロマイシンとして1回10mg/kg(力価)の3剤を同時に1日2回、7日間経口投与する。	日本小児栄養消化器肝臓学会	協和発酵キリン株式会社 アステラス製薬株式会社	適応外薬	学会内再検討中 小児WG(抗菌・抗炎症WG)
10	II-59	オメプラゾール	小児の下記におけるヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 胃潰瘍、十二指腸潰瘍	小児にはオメプラゾールとして1回0.5mg/kgまたはランソプラゾールとして1回0.75mg/kgとアモキシシリンとして1回25mg/kg(力価)及びクラリスロマイシンとして1回10mg/kg(力価)の3剤を同時に1日2回、7日間経口投与する。	日本小児栄養消化器肝臓学会	アストラゼネカ株式会社 田辺三菱製薬株式会社	適応外薬	学会内再検討中 小児WG(抗菌・抗炎症WG)
11	II-71	クラリスロマイシン	小児の下記におけるヘリコバクター・ピロリの除菌 胃潰瘍、十二指腸潰瘍	小児にはオメプラゾールとして1回0.5mg/kgまたはランソプラゾールとして1回0.75mg/kgとアモキシシリンとして1回25mg/kg(力価)及びクラリスロマイシンとして1回10mg/kg(力価)の3剤を同時に1日2回、7日間経口投与する。	日本小児栄養消化器肝臓学会	大正製薬株式会社 アポット ジャパン株式会社	適応外薬	学会内再検討中 小児WG(抗菌・抗炎症WG)
12	II-173	人免疫グロブリン	血液型不適合溶血性黄疸	0.5~1.0g/kgを2時間の点滴静注、必要なら12時間後に繰り返す	日本未熟児新生児学会	一般財団法人 化学及血清療法研究所 日本製薬株式会社 株式会社ベネシス・日本赤十字社(現:一般社団法人 日本血液製剤機構) CSLベーリング株式会社	適応外薬	WGで実態調査中 小児WG(生物WG)
13	II-246	メトロニダゾール	小児の下記におけるヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 胃潰瘍、十二指腸潰瘍	アモキシシリン水和物、クラリスロマイシン及びプロトンポンプインヒビター併用によるヘリコバクター・ピロリの除菌治療が不成功の場合、通常、小児にはオメプラゾールとして1回0.5mg/kgまたはランソプラゾールとして1回0.75mg/kgとアモキシシリンとして1回25mg/kg(力価)及びメトロニダゾールとして1回5-10mg/kgの3剤を同時に1日2回、7日間経口投与する	日本小児栄養消化器肝臓学会	塩野義製薬株式会社	適応外薬	学会内再検討中 小児WG(抗菌・抗炎症WG)
14	II-259	ランソプラゾール	小児の下記におけるヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 胃潰瘍、十二指腸潰瘍	小児にはオメプラゾールとして1回0.5mg/kgまたはランソプラゾールとして1回0.75mg/kgとアモキシシリンとして1回25mg/kg(力価)及びクラリスロマイシンとして1回10mg/kg(力価)の3剤を同時に1日2回、7日間経口投与する。	日本小児栄養消化器肝臓学会	武田薬品工業株式会社	適応外薬	学会内再検討中 小児WG(抗菌・抗炎症WG)

未承認	0
適応外	14
合計	14

検討対象外の要望

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	対象外とする理由等
<b>&lt;循環器WG&gt;</b>								
1	II-161	パップレシン	敗血症などによる急性低血圧やショック時の補助治療	点滴静注：生理食塩水、5%ブドウ糖などで溶解し、0.01 - 0.04 U/分で持続静注	小児救急医学会	第一三共株式会社	適応外薬	要望取り下げ 循環器WG(小児WG)
<b>&lt;精神・神経WG&gt;</b>								
2	II-64	カルバマゼピン	各種神経痛	経口・100mg～300mg/日。年齢、症状に応じて適宜減量する。	日本神経学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬	要望取り下げ

※「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を含む

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) <sup>注)</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<b>&lt;代謝・その他WG&gt;</b>								
1	II-231	ミコフェノール酸 モフェチル	ループス腎炎	一般社団法人日本 リウマチ学会	中外製薬株式会社	公知申請を希望する。	3月初、学会調査結果を公表 WGにて詳細検討中	適応外薬
<b>&lt;循環器WG&gt;</b>								
2	II-91	魚油由来ω3系静注用脂肪製剤	腸管不全(静脈栄養)関連肝障害と栄養状態の改善	日本外科学会	フレゼニウスカービ ジャパン株式会社	対象患者も少なく、病態もそれぞれ大きく異なっており、比較試験等を計画することは困難であること、及び企業の規模等から、国内における臨床試験の実施が困難であることから、米国での臨床試験の結果及び日本での臨床研究成績をもとに申請することを検討している。	要望内容を要望学会に再確認中	未承認薬
3	II-127	チオペンタールナトリウム	頭蓋内圧亢進症	公益社団法人日本 麻酔科学会	田辺三菱製薬株式会社	公知申請を希望する。	学会の使用実態調査の結果待ち	適応外薬
<b>&lt;精神・神経WG&gt;</b>								
4	II-22.1	アミトリプチリン塩酸塩	末梢性神経障害性疼痛	日本ペインクリニック学会	日医工株式会社	公知申請を希望する。	WGにて詳細検討中	適応外薬
	厚生労働省がん性疼痛H21-3次がん一般-011研究班							
5	II-270.1	リドカイン塩酸塩	上肢手術における局所(区域)静脈内麻酔	日本手外科学会	アストラゼネカ株式会社	公知申請を希望する。	WGにて詳細検討中  (要望番号II-248 メピバカイン塩酸塩についても同趣旨の要望であり、開発対象を本品目に変更している)	適応外薬
	II-270.2			日本ペインクリニック学会				
<b>&lt;抗菌・抗炎症WG&gt;</b>								
6	II-72	クリンダマイシンリン酸エステル及びクリンダマイシン塩酸塩	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発予防	日本感染症学会	ファイザー株式会社	公知申請を希望する。	公募品目スルファジアジン(II-111)を含む併用療法で用いられる。各薬剤の用法・用量等について検討中。	適応外薬
7	II-110	スピラマイシン	妊婦のトキソプラズマ感染症	公益社団法人日本産科婦人科学会	サノフィ株式会社	海外のエビデンスを精査し、開発方針を検討した上で必要とされる臨床試験計画を立案する。	治験相談利用予定あり。 (2015年9~10月頃)	未承認薬

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) <sup>注)</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
8	II-183	ピリメタミン	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発予防	日本感染症学会	グラクソ・スミスクライン株式会社	本剤は、国内未承認薬であるものの、エイズ病治療薬研究班が海外から輸入、保管し、本邦においても、本剤を必要とする症例に対しては、提供され、使用経験は蓄積されている。また、海外では、WHO及び各国のガイドラインに記載され、長期間にわたる臨床使用の中で、十分なエビデンスが蓄積されていると考えられる。したがって、治験を実施することなく既存の治療成績をまとめて有効性安全性の評価を行った上で承認申請予定である。	公募品目スルファジアジン(II-111)を含む併用療法で用いられる。各薬剤の用法・用量等について検討中。	未承認薬
9	II-223	ホリナートカルシウム	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発予防	日本感染症学会	ファイザー株式会社	公知申請を希望する。	公募品目スルファジアジン(II-111)を含む併用療法で用いられる。各薬剤の用法・用量等について検討中。	適応外薬
<b>&lt;小児WG&gt;</b>								
10	II-17	アドレナリン	0.01%注射液の剤形追加 心停止の補助治療、各種疾患もしくは状態に伴う急性低血圧またはショック時の補助治療	小児救急医学会	第一三共株式会社	公知申請を希望する。	ブレフィルドシリンジの要望対応協議中 学会のレジストリ結果待ち 小児WG(循環器WG)	適応外薬
11	II-45	エタンプトール塩酸塩	肺結核およびその他の結核症の小児用法・用量の追加	日本小児呼吸器疾患学会	サンド株式会社 科研製薬株式会社	公知申請を希望する。	リファンピシンの小児製剤の対応協議中 小児WG(抗菌・抗炎症WG)	適応外薬
12	II-69.1	カンデサルタン シレキセチル	小児高血圧症	小児循環器学会	武田薬品工業株式会社	公知申請を希望する。	学会にて使用実態調査の計画立案中 小児WG(循環器WG)	適応外薬
	小児腎臓病学会							
13	II-168	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小児(固形臓器)移植後のサイトメガロウイルス感染予防	小児腎臓病学会	田辺三菱製薬株式会社	公知申請を希望する。	成人効能(III-①-35)と一緒に検討予定 小児WG(抗菌・抗炎症WG)	適応外薬
14	II-272.1	リファンピシン	肺結核およびその他の結核症の小児用法・用量の追加	日本小児呼吸器疾患学会	第一三共株式会社 サンド株式会社	公知申請を希望する。	リファンピシンの小児製剤の対応協議中 小児WG(抗菌・抗炎症WG)	適応外薬
	日本感染症学会							

注) 専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

未承認薬	3
適応外薬	11
合計	14

治験の実施等が必要と考えられるもの

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) <sup>注)</sup>	検討状況等	未承認薬 適応外薬 の分類
<b>&lt; 抗菌・抗炎症WG &gt;</b>								
1	II-189.1	プリマキンリン酸塩	<p>【適応微生物】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・三日熱マラリア</li> <li>・卵形マラリア</li> </ul> <p>【適応疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・三日熱マラリア、卵形マラリアで、急性期治療薬を用いて赤血球中の原虫殺滅を行った後の、肝細胞中に残存する原虫(休眠体:ヒブゾイト)を殺滅する根治療法(再発予防)。(成人)</li> </ul>	日本熱帯医学会・日本感染症教育研究会	サノフィ・アベンティス株式会社	<p>本剤は、国内未承認薬であるものの、熱帯病治療薬研究班が海外から輸入、保管し、本邦においても、本剤を必要とする症例に対しては、提供され、使用経験は蓄積されている。また、海外では、WHO及び各国のガイドラインに記載され、長期間にわたる臨床使用の中で、十分なエビデンスが蓄積されていると考えられる。したがって、治験を実施することなく既存の治療成績をまとめて有効性安全性の評価を行った上で承認申請予定である。</p>	<p>本剤の遺伝毒性や、患者数が極めて少ないこと等を踏まえると、健康成人又は患者を対象とした国内治験の実施はいずれも困難と考えられることから、承認申請資料については、欧米での臨床試験データを基本として取りまとめることを検討すべき。また、国内の使用症例についても、その有効性・安全性の情報を可能な限り収集し、承認申請資料として活用すべき。</p>	未承認薬
	II-189.2			日本感染症教育研究会				
2	II-190.1	プリマキンリン酸塩	<p>【適応微生物】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・三日熱マラリア</li> <li>・卵形マラリア</li> </ul> <p>【適応疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・三日熱マラリア、卵形マラリアで、急性期治療薬を用いて赤血球中の原虫殺滅を行った後の、肝細胞中に残存する原虫(休眠体:ヒブゾイト)を殺滅する根治療法(再発予防)。(小児)</li> </ul>	日本熱帯医学会・日本感染症教育研究会	サノフィ・アベンティス株式会社	<p>本剤は、国内未承認薬であるものの、熱帯病治療薬研究班が海外から輸入、保管し、本邦においても、本剤を必要とする症例に対しては、提供され、使用経験は蓄積されている。また、海外では、WHO及び各国のガイドラインに記載され、長期間にわたる臨床使用の中で、十分なエビデンスが蓄積されていると考えられる。したがって、治験を実施することなく既存の治療成績をまとめて有効性安全性の評価を行った上で承認申請予定である。</p>	<p>本剤の遺伝毒性や、患者数が極めて少ないこと等を踏まえると、健康成人又は患者を対象とした国内治験の実施はいずれも困難と考えられることから、承認申請資料については、欧米での臨床試験データを基本として取りまとめることを検討すべき。また、国内の使用症例についても、その有効性・安全性の情報を可能な限り収集し、承認申請資料として活用すべき。</p>	未承認薬
	II-190.2			日本感染症教育研究会				

未承認薬	2
適応外薬	0
合計	2