

「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 ＜抗菌・抗炎症 WG＞

目 次

＜抗菌分野＞

【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

バルガンシクロビル塩酸塩(要望番号;III-①-54)…… 1

【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】

本邦における未承認薬

サイトメガロウイルス免疫グロブリン
(要望番号;III-①-35) …… 2

＜抗炎症薬・呼吸器官用薬分野＞

【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

アナキンラ(要望番号;III-②-1)…… 3

本邦における適応外薬

コルヒチン(要望番号;III-①-34)…………… 4

【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】

本邦における未承認薬

Ketorolac tromethamine (要望番号;III-①-6)…………… 5

Ketorolac tromethamine (要望番号;III-①-7)…………… 6

本邦における適応外薬

サリドマイド(要望番号;III-①-38)…………… 7

要望番号	Ⅲ-①-54	要望者名	日本移植学会
要望された医薬品	一般名	バルガンシクロビル塩酸塩	
	会社名	田辺三菱製薬株式会社	
要望内容	効能・効果	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※）	
	用法・用量	通常、成人にはバルガンシクロビルとして1回 900mg を1日2回食後に経口投与する。	
「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		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒ ア 〔特記事項〕 移植後、免疫抑制剤を投与され、免疫機能が低下している状態でサイトメガロウイルスに感染した場合、致死的な重症感染症を発症する可能性があることから、「ア」に該当すると判断した。 (2) 医療上の有用性についての該当性 ☒ ア 〔特記事項〕 臓器移植（造血幹細胞移植も含む）におけるサイトメガロウイルス感染症の治療薬としては、ガンシクロビル（点滴静注剤）及びバルガンシクロビル塩酸塩（錠剤）が本邦で既に承認されているが、移植後の同感染症の予防効能を有する薬剤は承認されておらず、既存の療法が国内にないことから、「ア」に該当すると判断した。	
備考		※ 検討会議での議論を踏まえ、追記した。	

要望番号	Ⅲ-①-35	要望者名	日本移植学会
要望された医薬品	一般名	サイトメガロウイルス免疫グロブリン	
	会社名	CSLベーリング株式会社	
要望内容	効能・効果	サイトメガロウイルス陽性のドナーから移植を受けたサイトメガロウイルス陰性のレシピエントにおける、腎臓移植時のサイトメガロウイルス感染症	
	用法・用量	通常、1回あたりサイトメガロウイルス免疫グロブリンとして 50～150mg/kg を静脈内投与する。年齢及び症状に応じて適宜増減する。	
「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		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒ ア 〔特記事項〕 移植後、免疫抑制剤を投与され、免疫機能が低下している状態でサイトメガロウイルスに感染した場合、致死的な重症感染症を発症する可能性があることから、「ア」に該当すると判断した。 (2) 医療上の有用性についての該当性 ☒ エ 〔特記事項〕 今回新たに提出された報告を踏まえても、本剤の有効性について一貫した結果が認められているとは判断できないことから、前回の要望と同様、「ア」～「ウ」のいずれにも該当しないと判断した。	
備考		今回の要望と同じ要望（要望Ⅱ-90）が、第 14 回未承認薬等検討会議（平成 24 年 12 月開催）に提出されており、以下の評価により必要性が高いとまでは言えないと判断している。 (1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒ ア ※特記事項は今回と同様 (2) 医療上の有用性についての該当性 ☒ エ 〔特記事項〕 個々の無作為化臨床試験・研究においては有効性について一貫した結果が認められていないこと、近年の海外メタアナリシスでは、本剤とプラセボ、本剤と通常のグロブリン製剤、抗ウイルス薬単独と抗ウイルス薬への本剤の上乗せとの比較において、有効性に差がないとの報告が複数存在していることから、本剤の有効性が確立しているとは言えず、必要性が高いとまでは言えないと考える。	

要望番号	Ⅲ-②-1	要 望 者 名	日本リウマチ学会、小児リウマチ学会
要望された医薬品	一 般 名	アナキンラ	
	会 社 名	Swedish Orphan Biovitrum AB	
要 望 内 容	効能・効果	クリオピリン関連周期性症候群	
	用法・用量	アナキンラ 1 回 1～2 mg/kg/日を皮下投与する。ただし CINCA/NOMID の重症例では、全身の炎症をコントロールするために必要な用量として 8 mg/kg/日まで漸増可能である。	
「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	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☐ ア		
	〔特記事項〕 クリオピリン関連周期性症候群は NLRP3 遺伝子変異による自己炎症性疾患で、生後早期より中枢神経症状（無菌性髄膜炎、難聴）、骨関節症状（関節炎、骨幹端肥大）、皮膚症状（蕁麻疹様皮疹）、アミロイドーシスを認める全身性炎症性疾患である。最重症型の CINCA 症候群/NOMID では、特に中枢神経症状による精神発達遅延、てんかん、関節症状による関節拘縮、持続する炎症に伴うアミロイドーシスによる腎不全をきたし、患者 QOL、生命予後を著しく損うこと、また、無治療の自然経過では早期死亡をきたすことから、「ア」に該当すると判断した。		
	(2) 医療上の有用性についての該当性 ☐ ウ		
	〔特記事項〕 要望効能は、米国、英国、独国及び仏国にて承認されており、海外ガイドライン及び教科書への記載、海外臨床試験成績、文献報告等から、欧米等において標準的療法に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ることから、「ウ」に該当すると判断した。		
備 考			

要望番号	Ⅲ-①-34	要 望 者 名	日本小児リウマチ学会
要望された医薬品	一 般 名	コルヒチン	
	会 社 名	高田製薬株式会社	
要 望 内 容	効 能 ・ 効 果	家族性地中海熱	
	用 法 ・ 用 量	小児には、標準投与量を 0.01～0.02 mg/kg/日とし、1 日 1 回又は 2 回に分けて投与する。無効例では 0.04 mg/kg/日まで増量可とするが、1 日 2.0 mg を超えないこと。	
「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	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒ イ 〔特記事項〕 家族性地中海熱における重要な合併症の一つとして二次性アミロイドーシスがあるが、腎アミロイドーシスを発症した際には腎不全に至る場合もあり、不可逆的で日常生活に著しい影響を及ぼす疾患と考えることから、「イ」の基準に該当すると判断した。		
	(2) 医療上の有用性についての該当性 ☒ ア 〔特記事項〕 家族性地中海熱の治療薬として承認された薬剤は国内にないことから、「ア」の基準に該当すると判断した。		
備 考			

要望番号	Ⅲ-①-6	要 望 者 名	日本小児救急医学会
要望された医薬品	一 般 名	Ketorolac tromethamine	
	会 社 名	中外製薬株式会社	
要 望 内 容	効 能 ・ 効 果	中等症から強い急性疼痛に対して	
	用 法 ・ 用 量	初回投与量：0.5 mg/kg（最大量 30 mg）を静脈内又は筋肉内投与 追加投与量：0.25～0.5 mg/kg を 6 時間間隔で静脈内又は筋肉内投与 成人での一日の最大量は 120 mg とし、投与期間は 5 日間を超えないこととする。	
「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		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ウ [特記事項] 要望効能・効果である急性疼痛は、日常生活に著しい影響を及ぼすことから、「ウ」に該当すると判断した。 (2) 医療上の有用性についての該当性 エ [特記事項] 1990～1993 年に 97 件の致死的な副作用（消化管出血等）が全世界で報告され、米国、英国、加国、豪国では投与可能日数が制限され、短期間の使用に限定するよう注意喚起されている。 海外の臨床試験結果を踏まえると、有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れていると判断できる十分なエビデンスは得られていないこと、また、欧米等において本剤が標準的療法の一つに位置付けられていると判断できるエビデンスは得られておらず、国内における有用性が期待できるとは言えないことから、「ア」～「ウ」のいずれにも該当しないと判断した。	
備 考	本要望は、成人に対する要望である。		

要望番号	Ⅲ-①-7	要 望 者 名	日本小児救急医学会
要望された医薬品	一 般 名	Ketorolac tromethamine	
	会 社 名	中外製薬株式会社	
要 望 内 容	効能・効果	中等症から強い急性疼痛に対して	
	用法・用量	初回投与量：0.5 mg/kg（最大量 30 mg）を静脈内又は筋肉内投与 追加投与量：0.25～0.5 mg/kg を 6 時間間隔で静脈内又は筋肉内投与 投与期間は 5 日間を超えないこととする。	
「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		(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒ウ 〔特記事項〕 要望効能・効果である急性疼痛は、日常生活に著しい影響を及ぼすことから、「ウ」に該当すると判断した。 (2) 医療上の有用性についての該当性 ☒エ 〔特記事項〕 本剤は、英国及び豪国では「16 歳未満への使用は禁忌」、米国及び加国では「16 歳未満への投与は推奨しない」とされていることを踏まえると、本剤による治療について、欧米等において小児に対する標準的療法の一つに位置付けられていると判断することはできないこと、また、有効性・安全性等が既存療法と比べて明らかに優れていると結論付けることができるエビデンスも得られていないと考えることから、「ア」～「ウ」のいずれにも該当しないと判断した。	
備 考	本要望は、小児に対する要望である。		

要望番号	Ⅲ-①-38	要 望 者 名	日本小児感染症学会
要望された医薬品	一 般 名	サリドマイド	
	会 社 名	藤本製薬株式会社	
要 望 内 容	効能・効果	ベーチェット病	
	用法・用量	通常、成人にはサリドマイドとして1日1回100 mgを就寝前に経口投与する。なお、患者の状態により適宜増減するが、1日400 mgを超えないこと。	
「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	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒イ 〔特記事項〕 ベーチェット病は口腔粘膜のアフタ性潰瘍、外陰部潰瘍、皮膚症状、眼症状の4つの症状を主症状とする慢性再発性の全身炎症性疾患であり、眼症状が重症化し失明に至る場合もあることから、「イ」の基準に該当すると判断した。 (2) 医療上の有用性についての該当性 ☒エ 〔特記事項〕 欧米等6ヵ国での承認は未だ得られていないこと、新たに提出された海外の使用実態に関する文献報告では、海外において標準的療法に位置付けられていると判断できるエビデンスは得られていないと考えることから、前回の要望と同様、「ア」～「ウ」のいずれにも該当しないと判断した。		
備 考	今回の要望と同じ要望（要望Ⅱ-93）が、第11回未承認薬等検討会議（平成24年3月開催）に提出されており、以下の評価により必要性が高いとまでは言えないと判断している。 (1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ☒イ ※特記事項は今回と同様 (2) 医療上の有用性についての該当性 ☒エ 〔特記事項〕 欧米等6ヵ国での承認はなく、欧州リウマチ学会のガイドラインにおいて「消化管関連の治療に推奨可能なエビデンスにもとづく治療はない。」とされており、海外で標準的療法に位置付けられているとまでは言えないと考える。		