

厚生労働大臣 塩崎恭久様

厚生労働省中央社会保険医療協議会長 田辺国昭様

厚生労働省がん対策推進協議会長 門田守人様

一般社団法人全国がん患者団体連合会

理事長 天野慎介

患者申出療養制度に関する意見書

海外で標準的に用いられている治療薬が日本でも早期に承認されること、いわゆるドラッグ・ラグの解消は、1 日も早く有効な治療薬を求めるがん患者や家族の切なる声であり、がん患者団体はその解消を求める要望活動を行ってまいりました。しかし、新たな治療薬等については、科学的根拠に基づいた有効性や安全性の担保が不可欠です。また、日本のいわゆる国民皆保険制度は、がん患者や家族が安心して保険診療に基づくがん治療を受けるための命綱です。患者申出療養制度に関して、以下の要望を提出いたします。

1. 科学的根拠に基づいた有効性と安全性が示された治療薬については、薬事承認と保険適用を速やかに認めること

患者申出療養制度は、薬事承認と保険適用が認められるまでの過渡的かつ例外的な制度とし、有効性と安全性が示された治療薬については、患者申出療養制度により保険診療との併用が認められている状態に留めず、薬事承認と保険適用について一定の期限までに速やかに認めることを担保する制度としてください。

2. 患者申出療養制度の導入が、いわゆる国民皆保険制度のなし崩し的な空洞化につながらないようにすること

がん患者や家族の経済的負担は、現状でも特に長期にわたり継続して治療を受けている場合等において大きなものがありますが、加えて患者申出療養制度の導入により、有効性と安全性が示された新規治療薬が保険適用されないまたは遅れが生じるとなれば、患者や家族の経済力によって受けられる治療に大きな格差が生まれることが危惧されます。

3. 患者申出療養制度の導入にあたっては、対象となる治療薬等の有効性と安全性に十分配慮しつつ、患者が利用しやすい制度とすること

承認後に一定の年数が経過した国内適応外薬など、有効性と安全性が一定程度示されているものについては、患者申出療養制度で患者が負担なく少しでも早く使用できる制度としてください。また、臨床中核病院等における相談体制の充実や、重篤な有害事象が生じた場合の補償体制の整備など、安全性に十分配慮した制度としてください。

4. 患者申出療養制度の導入に関わらず、科学的根拠に基づく有効性と安全性が担保された治療薬が、早期に使用できるための制度改正や救済策を検討すること

PMDA の体制整備等が進められてきましたが、特に難治がん、希少がん、小児がん等で未だ多くのドラッグ・ラグが解消されていません。また、別紙資料（※）にある高価な未承認薬等を自己負担で使える患者は限られていることが予想されます。先進医療制度の見直し、アクセス制度の整備、経済的負担の軽減に資する基金の整備等を検討してください。

（※）「国内で薬事法上未承認・適応外となる医薬品・適応のリスト」（国立がん研究センター公開）

患者申出療養制度に関する意見書

賛同団体一覧（一般社団法人全国がん患者団体連合会加盟団体）（団体名 50 音順）

特定非営利活動法人 AWA がん対策募金	理事長	勢井 啓介
一般社団法人 CSR プロジェクト	代表理事	桜井 なおみ
特定非営利活動法人 HOPE プロジェクト	理事長	桜井 なおみ
特定非営利活動法人 いきいき和歌山がんサポート	理事長	谷野 裕一
特定非営利活動法人 愛媛がんサポートおれんじの会	理事長	松本 陽子
神奈川県立がんセンター患者会「コスモス」	代表	緒方 真子
特定非営利活動法人 がんサポートかごしま	理事長	三好 綾
がん体験者の会とま〜れ	代表	佐々木 佐久子
特定非営利活動法人 がんと共に生きる会	理事長	佐藤 愛子
特定非営利活動法人 がんフォーラム山梨	理事長	若尾 直子
がんを考える「ひいらぎの会」	代表世話人	鈴木 牧子
特定非営利活動法人 希望の会	理事長	轟 哲也
特定非営利活動法人 キャンサーサポート	代表理事	宮部 治恵
一般社団法人 グループ・ネクサス・ジャパン	理事長	天野 慎介
一般社団法人 高知がん患者支援推進協議会	理事長	安岡 佑莉子
特定非営利活動法人 支えあう会「α」	理事長	五十嵐 昭子
特定非営利活動法人 周南いのちを考える会	代表	前川 育
精巣腫瘍患者友の会 J-TAG	共同代表	改發 厚・古谷 浩
奈良がんピアサポートなぎの会	会長	松浦 博子
奈良県のホスピスとがん医療をすすめる会	会長	浦嶋 偉晃
特定非営利活動法人 乳がん患者友の会きらら	理事長	中川 けい
特定非営利活動法人 ねむの樹	理事長	金井 弘子
特定非営利活動法人 パンキャンジャパン	理事長	眞島 喜幸
特定非営利活動法人 ブーゲンビリア	理事長	内田 絵子
特定非営利活動法人 ミーネット	理事長	花井 美紀
ゆうかぎの会（離島におけるがん患者支援を考える会）	会長	真栄里 隆代

（2015 年 8 月 20 日現在）

（※）一般社団法人全国がん患者団体連合会は、がん医療の向上と、がんになっても安心して暮らせる社会の構築に寄与することを目的とする、がん患者団体の連合体組織です。

2015 年 8 月

「国内で薬事法上未承認・適応外である医薬品・適応のリスト」(2015/8/17 版)について

このリストは、以下の①～②の条件を満たす医薬品に関する情報をまとめ、2000 年以降のもののみを抽出し、承認時期が新しいものから順に提示したものです。

- ① 独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)が公開している「未承認薬データベース」で公開されているファイル「米国または欧州で承認されている(2009.4-) 新有効成分含有医薬品のうち、日本では未承認の医薬品の一覧」(更新日: 2015/5/27)に掲載されている米国 FDA 及び、欧州 EMA が薬事承認した医薬品のうち、がん領域のもので、かつ、2015 年 7 月末時点で日本では承認されていないもの。
- ② 国立がん研究センター先進医療評価室が調査した、2009 年 4 月以前、及び、2015 年 1 月～2015 年 7 月末までに FDA あるいは EMA から薬事承認された医薬品のうち、日本では薬事未承認のもの。

以上の条件を満たす医薬品に関して、国内の治験実施状況を公開情報に基づき追加しました。「開発の有無」欄の「開発要請」とは、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議での検討により、開発要請が行われたものです。

なお、この表の中には米国 FDA から承認されたものの、EMA、厚生労働省からの承認を得られなかったような医薬品(単に開発されていない・薬事承認申請されていないのではなく、より積極的に薬事承認に至らないと欧州や日本の当局から判断されている医薬品)も含まれます。そのような医薬品に関しては、公開情報に基づき備考欄にその旨記しています。

また、米国では、FDA からの薬事承認を得ていない適応外使用であっても、社会保障法の定めるところにより公的医療保険制度 Medicare/Medicaid (民間医療保険でも準用されることが多い)での保険償還の対象となるものが多数あります。保険償還の対象となるか否かが判断される際に参照される医薬品集のうちのひとつに「NCCN Compendium」というものがあります。ここでは厳密には同一内容ではないもののほぼ同様の内容となっている「NCCN ガイドライン」でエビデンスレベル 2A 以上とされている薬剤を○で記しています。

さらに、米国の承認用法・用量に基づいて、1 か月あたりの薬剤費(概算)についても記載しました。なお、日本未承認の薬剤は米国の平均卸売価格及び実勢価格、適応外薬は日本

の薬価をもとに計算しています。

患者さんの状態等に応じて薬剤の使用量・使用方法等が変わり得ること、提示している薬剤価格は米国における平均的な卸売価格であり実際に薬剤を入手する際には変わり得ること、等から、あくまでひとつの目安とお考え下さい。実際に治療を受けられる際には、この他に診察や検査・投薬等に係わる費用がかかります。

「国内で薬事法上未承認・適応外である医薬品・適応のリスト」 2015/7/31時点のデータ(2015/8/17版)(承認年月順)

欧米の薬事承認は、日本のようががん腫名だけの単純な記載ではなく、投与可能な病態が細かく規定されている。

体格に基づき投与量を決定する薬剤の場合は、下記のモデルケースを
使用。
・成人24歳「国民健康・栄養調査」第7期身体状況調査の結果 第11
・男性・50代平均（身長168cm、体重68.0kg、BSA 1.78m²(DuBois))
・女性・50代平均（身長156.1cm、体重55.2kg、BSA 1.54m²(DuBois))
未承認薬については、米国の平均販売価格を用いて(1g = 100円)算出

整理 番号	一般名 (国内)	一般名 (英語)	商品名 (国内)	商品名 (米国)	国内企業	開発状況	国内における 特薬の存在	備考 (国内での 開発状況)	効能・EUA承認効能英文 【適応外効能】	日本 厚生 労働省 承認	外国 FDA 承認	外国 EMA 承認	欧州 EMA 承認	NCCNガイド ラインの EUA レベル (1A以上の薬剤)	効能・日本薬価情報 (FDA承認効能)	17ヶ月 (1サイクル/28日 /30日) あたりの薬剤費 (円) 100円 未満 100円 以上
1	ソニデジブ	sonidegib		Odonto					ODONZO is a hedgehog pathway inhibitor indicated for the treatment of adult patients with locally advanced basal cell carcinoma (BCC) that has recurred following surgery or radiation therapy, or those who are not candidates for surgery or radiation therapy.	未	○	2015年7月	×	×	手術又は放射線治療で再発した局所進行基底細胞がん	No data
2	ジメツキシマブ	dinutuximab		Unituxin					Unituxin is a CD22-binding monoclonal antibody indicated in combination with granulocyte-macrophage colony-stimulating factor (GM-CSF), interleukin 2 (IL-2), and 13-cis-retinoic acid (RA), for the treatment of pediatric patients with high-risk neuroblastoma who achieve at least a partial response to prior first-line multiagent, multimodality therapy.	未	○	2015年3月	×	×	初回治療に少なくとも部分奏効の認められた高リスクの神経芽細胞腫	¥3,600,000
3	ニボルマブ	nivolumab		Opdivo	小野薬品	承認申請中			nivolumab BMS is indicated for the treatment of locally advanced or metastatic squamous non-small cell lung cancer (NSCLC) after prior chemotherapy in adults.	適応外	○	2015年3月	○	2015年7月	化学療法歴を有する局所進行又は転移性の肺扁平上皮癌	¥966,000
4	バルボシクグア	palbociclib		Ibrance	ファイザー	開発中			IBRANCE is a kinase inhibitor indicated in combination with letrozole for the treatment of postmenopausal women with receptor tyrosine kinase-positive, human epidermal growth factor receptor 2 (HER2)-negative, locally advanced or metastatic breast cancer who have not received prior systemic therapy. This indication is approved under accelerated approval based on progression-free survival (PFS). Continued approval for this indication may be contingent upon verification and description of clinical benefit in a confirmatory trial.	未	○	2015年2月	×	×	ER陽性、HER2陰性の進行乳がん	¥996,000
5	フリッツモマブ	blinatumomab		Blinxto	アストラゼネカ アムジェン バイオ ファーマ	開発中			BLINXTO is a bispecific CD19-directed CD3 T-cell engager indicated for the treatment of Philadelphia chromosome-negative relapsed or refractory B-cell precursor acute lymphoblastic leukemia (ALL). This indication is approved under accelerated approval. Continued approval for this indication may be contingent upon verification of clinical benefit in subsequent trials.	未	○	2014年12月	×	×	フィладельフィア染色体陰性の再発再燃の前駆B細胞性急性リンパ性白血病	¥7,247,000
6	オラパリブ	OLAPARIB		LYNPARZA	アストラゼネカ	開発中			Lynparza is a cancer medicine used for the 'maintenance' treatment of adult patients with high grade serous epithelial cancer of the ovary (a type of advanced cancer of the ovary), including cancer of the fallopian tubes (part of the female reproductive system that connect the ovaries to the uterus) and cancer of the peritoneum (the membrane lining the abdomen).	未	○	2014年12月	○	2014年12月	BRCA変異を有する患者の3次治療以降の卵巣癌	¥1,134,000
7	ニンテダニブ	nintedanib (特発性肺線維症)	オファエブ カプセル	Vargatef	ベリンガー	開発中			Vargatef is indicated in combination with docetaxel for the treatment of adult patients with locally advanced, metastatic or locally recurrent non-small cell lung cancer (NSCLC) of adenocarcinoma tumour histology after first-line chemotherapy.	適応外	×	-	○	2014年11月	局所進行・転移性又は局所再発の肺腺癌の1次治療	No data
8	ペンブロゾマブ	penbrolizumab		Keytruda	MSD	開発中			KEYTRUDA is a human programmed death receptor-1 (PD-1)-blocking antibody indicated for the treatment of patients with unresectable or metastatic melanoma and disease progression following ipilimumab and, if BRAF V600 mutation positive, a BRAF inhibitor.	未	○	2014年9月	○	2015年7月	切除不能または転移性悪性黒色腫	¥697,000
9	ベリノスタット	belinostat	-	Beleodaq					Beleodaq is a histone deacetylase inhibitor indicated for the treatment of patients with relapsed or refractory peripheral T-cell lymphoma (PTCL). This indication is approved under accelerated approval. Continued approval for this indication may be contingent upon verification and description of clinical benefit in the confirmatory trial.	未	○	2014年7月	×	×	再発・再燃の末梢型T細胞リンパ腫	¥3,058,000

整理 番号	一般名 (国内)	一般名 (英米)	商品名 (国内)	商品名 (英米)	国内企業	開発状況	国内における 検査の存在	備考 (国内外の 開発状況)	効能: FDA承認効能本文 (適応外効能)	効能: EMA承認効能本文 (適応外効能)	日本 厚生 労働省 承認	米国 FDA 承認	米国 FDA 承認日	欧州 EMA 承認	欧州 EMA 承認日	NCCNが不 適応とシ ていない 薬品2A以 上の薬剤	効能(日本追加特許 (FDA承認効能))		1ヶ月 (1サイクル/28日 /30日) あたりの薬料費 (円) 1ドル100円 千円未満四捨五 入
10	イブララニブ	idelalisib	-	Zedelig	ギリアドサイ エンシズ	開発中		Zedelig is a kinase inhibitor indicated for the treatment of patients with: - Relapsed chronic lymphocytic leukemia (CLL) in combination with rituximab, in patients for whom rituximab alone would be considered appropriate therapy due to other co-morbidities. - Relapsed follicular B-cell non-Hodgkin lymphoma (FL) in patients who have received at least two prior systemic therapies. - Relapsed small lymphocytic lymphoma (SLL) in patients who have received at least two prior systemic therapies. Accelerated approval was granted for FL and SLL based on overall response rate. Improvement in patient survival or disease related symptoms has not been established.	Zedelig is indicated in combination with rituximab for the treatment of adult patients with chronic lymphocytic leukaemia (CLL) who have received at least two prior systemic therapies. Treatment with Zedelig in combination with rituximab is indicated in patients unsuitable for chemo-immunotherapy.	未	○	2014年7月	○	2014年9月	○	再発性の慢性リンパ 性白血病/非ホジ キンリンパ腫/リン パ球性リンパ腫		¥729,000	
11	セリチニブ	Ceritinib	-	Zkadia	ノバルティ ス	承認申請 中		patients with anaplastic lymphoma kinase (ALK) positive metastatic non-small cell lung cancer (NSCLC) who have progressed on or are intolerant to crizotinib.	Zkadia is indicated for the treatment of adult patients with anaplastic lymphoma kinase (ALK) positive advanced non-small cell lung cancer (NSCLC) previously treated with crizotinib.	未	○	2014年4月	○	2015年5月	○	リンチーニに増悪 又は未前のALK陽 性非小細胞肺癌		¥1,355,000	
12	イブルチニブ	ibrutinib	-	Imbruvica	ヤンセン ファーマ	承認申請 中		Chronic lymphocytic leukemia who have received at least one prior therapy.	IMBRUVICA is indicated for the treatment of adult patients with chronic lymphocytic leukaemia (CLL) who have received at least one prior therapy, or in first line in the presence of 17p deletion or TP53 mutation in patients unsuitable for chemo-immunotherapy.	未	○	2014年2月	○	2014年10月	○	1つ以上の前治療 のある慢性リンパ性 白血病	CLL	¥867,000	
13	イブルチニブ	ibrutinib	-	Imbruvica	ヤンセン ファーマ	開発中		IMBRUVICA is a kinase inhibitor indicated for the treatment of patients with mantle cell lymphoma (MCL) who have received at least one prior therapy (1). This indication is based on overall response rate. An improvement in survival or disease-related symptoms has not been established (1, 14).	IMBRUVICA is indicated for the treatment of adult patients with relapsed or refractory mantle cell lymphoma (MCL).	未	○	2013年11月	○	2014年10月	○	1つ以上の前治療 のあるマンテル細胞 リンパ腫	MCL	¥1,155,000	
14	オビヌズマブ	Obinituzumab	-	Gazyva	中外/日本 新薬	開発中		GAZYVA (obinituzumab) is a CD20-directed cytolytic antibody and is indicated, in combination with chlorambucil, for the treatment of patients with previously untreated chronic lymphocytic leukemia. (1, 14)	Gazyvaro in combination with chlorambucil is indicated for the treatment of adult patients with previously untreated chronic lymphocytic leukaemia (CLL) and with comorbidities making them unsuitable for full-dose fludarabine based therapy	未	○	2013年11月	○	2014年7月	○	未治療の慢性リンパ 性白血病		¥1,858,000	
15	ペルツズマブ	Pertuzumab	ハーヴェタ	Perjeta	中外	開発中	術前補助 化学療法	Breast cancer. Neoadjuvant. HER2 overexpression, in combination with trastuzumab and docetaxel	-	適応外	○	2013年9月	x	-	○	乳がん術前化学療 法		¥477,000	
16	レナリドミド	Lenalidomide	レブラミド カプセル	Revlimid	セルジーン	開発中		Mantle cell lymphoma. Relapse or progression after 2 prior therapies, 1 of which included bortezomib	-	適応外	○	2013年6月	x	-	○	2つ以上の前治療 に再燃又は増悪の マンテル細胞リンパ 腫		¥957,000	
17	ダブラフェニブ メシラート	Dabrafenib mesylate	-	Tafinlar	ノバルティ スファーマ	承認申請 中		TAFINLAR is a kinase inhibitor indicated for the treatment of patients with unresectable or metastatic melanoma with BRAF V600E mutation (1). Limitation of use: TAFINLAR is not indicated for treatment of patients with wild-type BRAF melanoma. (1, 5, 2)	Dabrafenib is indicated in monotherapy for the treatment of adult patients with unresectable or metastatic melanoma with a BRAF V600 mutation (see section 5.1).	未	○	2013年5月	○	2013年8月	○	BRAF V600E変異 のある切除不能な たは転移性の悪性 黒色腫		¥843,000	
18	トラメチニブ ジ メチルスルホキ シド	Trametinib dimethyl sulfoxide	-	Mekinist	ノバルティ スファーマ	承認申請 中		MEKINIST is a kinase inhibitor indicated for the treatment of patients with unresectable or metastatic melanoma with BRAF V600E or V600K mutations as detected by an FDA-approved test. (1) Limitation of use: MEKINIST is not indicated for the treatment of patients who have received prior BRAF inhibitor therapy. (1)	Trametinib is indicated for the treatment of adult patients with unresectable or metastatic melanoma with a BRAF V600 mutation. Trametinib has not demonstrated clinical activity in patients who have progressed on a prior BRAF inhibitor therapy.	未	○	2013年5月	○	2014年6月	○	BRAF V600E変異 のある切除不能な たは転移性の悪性 黒色腫		¥965,000	
19	塩化ラジウム 223	Radium Ra-223 dichloride	-	Xofigo	バイエル	承認申請 中		Xofigo is an alpha particle-emitting radioactive therapeutic agent indicated for the treatment of patients with castration-resistant prostate cancer, symptomatic bone metastases and no known visceral metastatic disease. (1)	Xofigo is indicated for the treatment of adults with castration-resistant prostate cancer, symptomatic bone metastases and no known visceral metastases.	未	○	2013年5月	○	2013年11月	○	有症状の骨転移を 抑制し腫瘍の増殖を 遅くしない骨転移 性の前立腺がん	*	¥5,934,000	
20	ボナチニブ	Ponatinib	-	Iclusig	ARIAD/大 塚	開発中		Iclusig is a kinase inhibitor indicated for the treatment of adult patients with chronic phase, accelerated phase, or blast phase chronic myeloid leukemia (CML) that is resistant or intolerant to prior tyrosine kinase inhibitor therapy or Philadelphia chromosome positive acute lymphoblastic leukemia (Ph-ALL) that is resistant or intolerant to prior tyrosine kinase inhibitor therapy (1). This indication is based upon response rate. There are no trials verifying an improvement in disease-related symptoms or increased survival with imatinib.	Iclusig 15 mg film-coated tablets Iclusig is indicated in adult patients with •chronic phase, accelerated phase, or blast phase chronic myeloid leukaemia (CML) who are resistant to dasatinib or nilotinib, who are intolerant to dasatinib or nilotinib and for whom subsequent treatment with imatinib is not clinically appropriate, or who have the T315I mutation •Philadelphia chromosome positive acute lymphoblastic leukaemia (Ph+ ALL) who are resistant to dasatinib, who are intolerant to dasatinib and for whom subsequent treatment with imatinib is not clinically appropriate or who have the T315I mutation.	未	○	2012年12月	○	2013年7月	○	慢性期・急性期ま たは急性転化期ま の前治療に増悪又は 不耐の慢性骨髄性 白血病、Ph+急性リ ンパ芽球性白血病		¥1,094,000	
21	カボザンチニブ	Cabozantinib S- malate	-	Cometriq	プリストル			COMETRIQ is a kinase inhibitor indicated for the treatment of patients with progressive, metastatic medullary thyroid cancer.(MTC). (1)	COMETRIQ is indicated for the treatment of adult patients with progressive, unresectable locally advanced or metastatic medullary thyroid carcinoma.	未	○	2012年11月	○	2014年3月	○	増悪性、転移性甲 状腺癌がん		¥1,398,000	

整理 番号	一般名 (国内)	一般名 (英名)	商品名 (国内)	商品名 (米国)	国内企業	開発状況	国内における 開発の存在	備考 (国内外の 開発状況)	効能:FDA承認英文 (通称外効能)	日本 厚生 労働省 承認	米国 FDA 承認	米国 FDA 承認日	欧州 EMA 承認	欧州 EMA 承認日	NCCNガイド ラインに 記載されている薬剤 (FDA承認効能)	効能:EMA承認英文 (通称外効能)	1ヶ月 (28日 /30日) あたりの薬剤費 (円) 1ドル100円 千円未満四捨五 入	
22	オマセタキシン	Omacetaxine mepesuccinate	-	Synribo				EMAへの 申請取下げ	SYNRIBO for injection is indicated for the treatment of adult patients with chronic or accelerated phase chronic myeloid leukemia (CMu) with resistance and/or intolerance to two or more tyrosine kinase inhibitors (TKI). This indication is based upon response rate. There are no trials verifying an improvement in disease-related symptoms or increased survival with SYNRIBO. (1)	未	○	2012年10月	申請 取下げ	-	○	2つ以上のチロシン キナーゼ阻害薬に増 悪又は不耐の増進 性骨髄性白血病	* ¥2,806,000	
23	ビンクリスチン 硫酸塩 リポ ソーム	Vincristine sulfate liposome injection	-	Marcibo				臨床(ビンク リクス)は承認あり	Adult acute lymphoblastic leukemia (ALL). Philadelphia chromosome-negative in Second or Greater Relapse or that has progressed after 2 or more anti-leukemia therapies.	未	○	2012年9月	x	-	○	一回以降の再燃ま たは二つ以上の治 療に増悪した急性リ ンパ性白血病	* ¥4,863,000	
24	アブリベルセプト	ZIV-Aflibercept	-	Zaltrap	サノフィ	開発中			ZALTRAP, in combination with 5-fluorouracil, leucovorin, irinotecan (FOLFIRI) chemotherapy is indicated in adults with metastatic colorectal cancer (mCRC) that is resistant to or has progressed following an oxaliplatin-containing regimen. (1)	未	○	2012年8月	○	2013年2月	○	オキサリプラチンを 含む治療に増悪し た転移性結腸・直 腸がん	* ¥1,017,000	
25	カーフィルゾミ	Carfilzomib	-	Kyprolis	小野薬品	開発中			Multiple myeloma, relapsed after at least 2 prior therapies	未	○	2012年7月	x	-	○	2つ以上の前治療 で再燃した多発性 骨髄腫	* ¥1,216,000	
26	ピキサンロロン	Pixantrone dimaleate	-	-				FDAへの 申請取下げ	Pixantrone is indicated as monotherapy for the treatment of adult patients with multiply relapsed or refractory aggressive Non-Hodgkin B-cell Lymphomas (NHL). The benefit of pixantrone treatment has not been established in patients when used as fifth line or greater chemotherapy in patients who are refractory to last line of therapy.	未	申請 取下げ	-	○	2012年5月	x	複数回再燃の非ホ ジキンリンパ腫	No data	
27	ビスモデギブ	Vismodegib	-	Ervege	中外				ERVEGEM TM (vismodegib) capsule is a hedgehog pathway inhibitor indicated for the treatment of adult patients with locally advanced basal cell carcinoma, or with locally advanced basal cell carcinoma that has recurred following surgery or who are not candidates for surgery, and who are not candidates for radiation.(1)	未	○	2012年1月	○	2013年7月	○	症状を有する転移 性、又は手術や放 射線治療が不適の 局所進行性基底細胞 がん	¥874,000	
28	エルフィニア アナーゼ	Asparaginase Erwinia Chrysanthemi	-	Erwinaze	大原薬品	開発中			Acute lymphocytic (lymphoblastic) leukemia (ALL), in combination with other chemotherapeutic agents in patients with hypersensitivity to E. coli-derived asparaginase	未	○	2011年11月	x	-	○	大腸菌由来のアス パラギナーゼ過敏 性の急性リンパ性白 血病	* ¥2,431,000	
29	バンデタニブ	Vandetanib	-	Caprelsa	アストラゼネ カ	開発中			Vandetanib is a kinase inhibitor indicated for the treatment of symptomatic or progressive medullary thyroid cancer in patients with unresectable locally advanced or metastatic disease. Use of vandetanib in patients with indolent, asymptomatic or slowly progressing disease should be carefully considered because of the treatment related risks of vandetanib.	未	○	2011年4月	○	2012年2月	○	手術不能局所進行 又は転移性進行症 状または増悪性の 甲状腺がん	¥1,174,000	
30	シプルーセル TM	Spiluleucel-T	-	Provenge				前立腺がんの がんワクチン (細胞療法)	Provenge is indicated for treatment of asymptomatic or minimally symptomatic metastatic prostate cancer in patients with prior prostate cancer in male adults in whom chemotherapy is not yet clinically indicated.	未	○	2010年5月	○	2013年9月	○	ホルモン抵抗性の 転移性前立腺がん	全コー スで3回 点滴	¥9,300,000
31	ロミデプシン	Romidepsin	-	Istodax	セルジーン	開発中			ISTODAX is a histone deacetylase (HDAC) inhibitor indicated for: • Treatment of cutaneous T-cell lymphoma (CTCL) in patients who have received at least one prior systemic therapy (1).	未	○	2009年11月	不承認	-	○	1つ以上の全身治 療歴を有する皮膚T 細胞リンパ腫	* ¥2,459,000	
32	リタキシマブ	Rituximab	リタキシマブ	Rituxan	全薬工業	開発要請			Chronic lymphocytic leukemia MabThera in combination with chemotherapy is indicated for the treatment of patients with previously untreated and relapsed / refractory chronic lymphocytic leukemia. Only limited data are available on efficacy and safety for patients previously treated with monoclonal antibodies including MabThera or patients refractory to previous MabThera plus chemotherapy.	適応外	○	2010年2月	○	2009年10月	○	未治療及び再発・ 再燃の慢性リンパ性 白血病	* ¥705,000	
33	プラタレキセー ト	Pralatrexate	-	Folotyn				欧州不承認	FOLOTYN is a folate analogue metabolic inhibitor indicated for the treatment of patients with relapsed or refractory peripheral T-cell lymphoma (PTCL). This indication is based on overall response rate. Clinical benefit such as improvement in progression free survival or overall survival has not been demonstrated. (1)	未	○	2009年9月	不承認	-	○	再発・増悪の末梢 性T細胞リンパ腫	* ¥4,720,000	
34	ビンフルニン	Vinflunine	-	-					Javelor is indicated in monotherapy for the treatment of adult patients with advanced or metastatic transitional cell carcinoma of the bladder who have received prior platinum-containing regimens. Efficacy and safety of vinflunine have not been studied in patients with Performance Status ≥ 2.	未	x	-	○	2009年9月	x	白金製剤を含む前 治療に増悪した進 行又は転移性の尿 路上皮がん	No data	

整理 番号	一般名 (国内)	一般名 (英米)	商品名 (国内)	商品名 (英米)	国内における 検査の存在	備考 (国内外の 開発状況)	効能: FDA承認効能本文 [適応外効能]	効能: EMA承認効能本文 [適応外効能]	日本 厚生 労働省 承認	米国 FDA 承認	米国 FDA 承認日	欧州 EMA 承認	欧州 EMA 承認日	NCCNが作 成した エビデンス レベル2A以 上の薬剤	効能: 日本薬事審議 (FDA承認効能)		1ヶ月 (1サイクル/28日 /30日) あたりの薬剤費 (円) 1ドル100円 千円未満四捨五 入
35	ミアフルムナド	Mifamurtide	-	Mepact		がんワクチン (細胞療法) FDA不承認	Mepact is indicated in children, adolescents and young adults for the treatment of osteosarcoma after microscopically complete surgical resection. It is used in combination with postoperative multi-agent chemotherapy. Safety and efficacy have been assessed in studies of patients two to 30 years of age at initial diagnosis.	Mepact is indicated in children, adolescents and young adults for the treatment of osteosarcoma after microscopically complete surgical resection. It is used in combination with postoperative multi-agent chemotherapy. Safety and efficacy have been assessed in studies of patients two to 30 years of age at initial diagnosis.	未	不承認	-	○	2009年3月	×	非転移性で顕微鏡 的に完全切除後の 骨肉腫	全コ ス(36 週)	¥19,000,000
36	カソマキソマブ	Caumaxomab	-	-			①Renovab 3D microgram concentrate for solution for infusion Renovab is indicated for the intraperitoneal treatment of malignant ascites in patients with EpCAM-positive carcinomas where standard therapy is not available or no longer feasible.	①Renovab 3D microgram concentrate for solution for infusion Renovab is indicated for the intraperitoneal treatment of malignant ascites in patients with EpCAM-positive carcinomas where standard therapy is not available or no longer feasible.	未	×	-	○	2009年4月	×	腸癌患者が通応で ないEDCAM陽性の 悪性腹水	No data	
37	ヒスタミン ニ塩 酸塩	Histamine dihydrochloride	-	Ceplene			Ceplene maintenance therapy is indicated for adult patients with acute myeloid leukemia (AML) who have been primarily treated with interferon-2 (If-2). The efficacy of Ceplene has been fully demonstrated in patients older than age 60	Ceplene maintenance therapy is indicated for adult patients with acute myeloid leukemia (AML) who have been primarily treated with interferon-2 (If-2). The efficacy of Ceplene has been fully demonstrated in patients older than age 60	未	×	-	○	2008年10月	×	一次誘発の急性骨 髄性白血病の維持 療法	No data	
38	ベンダムスチン 塩酸塩	Bendamustine hydrochloride	トヘキシ ン点滴静 注用	Treanda			Chronic lymphocytic leukemia: Efficacy relative to first-line therapies other than chlorambucil has not been established.	Chronic lymphocytic leukemia: Efficacy relative to first-line therapies other than chlorambucil has not been established.	適応外	○	2008年3月	×	-	○	慢性リンパ性白血 病	*	¥380,000
39	レボロイコリン カルシウム	Levoleucovorin calcium	-	Fusilev		腫瘍(リンパ)承 認あり	Leucovorin rescue after high dose methotrexate for osteosarcoma	Leucovorin rescue after high dose methotrexate for osteosarcoma	未	○	2008年3月	×	-	○	骨肉腫に対する高 用量メトトレキサート 治療後のロイコボル ンレスキュー		¥52,000
40	ベバシズマブ	Bevacizumab	アバスタ ン点滴静 注用	Avastin			Metastatic renal cell carcinoma in combination with interferon alfa	Bevacizumab in combination with interferon alfa-2a is indicated for first-line treatment of adult patients with advanced and / or metastatic renal-cell cancer.	適応外	○	2009年7月	○	2007年12月	○	転移性腎臓がん	*	¥638,000
41	イクササベピロン ナトリウム	Ixabepilone	-	Ixempra		EMA不承認 日本承認 腫瘍の 誘発下げ、開 発中止	Breast cancer, locally advanced or metastatic, in combination with capecitabine, in patients who are taxane- or anthracycline-resistant, or taxane-resistant with a contraindication to anthracyclines as monotherapy in patients whose tumors are resistant or refractory to anthracycline, taxane and capecitabine	Breast cancer, locally advanced or metastatic, in combination with capecitabine, in patients who are taxane- or anthracycline-resistant, or taxane-resistant with a contraindication to anthracyclines as monotherapy in patients whose tumors are resistant or refractory to anthracycline, taxane and capecitabine	未	○	2007年10月	不承認	-	○	最前進行では転移 性でタキサン又はア ントラサイクリンに抵 抗性の乳がん	**	¥540,000
42	トラベクタジン	Trabectedin	-	Yondelis		肉腫	Yondelis is indicated for the treatment of patients with advanced soft-tissue sarcoma after failure of anthracyclines and ifosfamide, or who are unsuited to receive these agents. Efficacy data are based mainly on liposarcoma and leiomyosarcoma patients. Yondelis in combination with pegylated liposomal doxorubicin (PLD) is indicated for the treatment of patients with relapsed platinum-adjuvant ovarian cancer	Yondelis is indicated for the treatment of patients with advanced soft-tissue sarcoma after failure of anthracyclines and ifosfamide, or who are unsuited to receive these agents. Efficacy data are based mainly on liposarcoma and leiomyosarcoma patients. Yondelis in combination with pegylated liposomal doxorubicin (PLD) is indicated for the treatment of patients with relapsed platinum-adjuvant ovarian cancer	未	×	-	○	2007年9月	×	アントラサイクリン、イ フオスファミド抵抗 性で他に治療のな い進行軟部肉腫 再発腫瘍がん	No data	
43	ドキシリボ ン塩酸塩 リボ ソーム注射剤	Doxorubicin liposomal	ドキシル注	Doxil		日本閉塞 腫瘍の 承認あり	Multiple myeloma, in combination with bortezomib in patients who have not received bortezomib and have received at least one prior therapy	In combination with bortezomib for the treatment of progressive multiple myeloma in patients who have received at least one prior therapy and whose disease is refractory or are unsuitable for bone marrow transplant.	適応外 承認 腫瘍 誘発下げ	○	2007年5月	○	2008年1月	○	少なくとも1つ以上 の抗がん剤を1年以上 使用した再発多 発性骨髄腫	*	¥298,000
44	ペグアスバラ ガーゼ	Pegaspargase	-	Oncaspar			Acute lymphoid leukemia (ALL) In combination with other agents in patients with hypersensitivity to L-asparaginase Acute lymphoid leukemia, first-line, in combination with other agents	Acute lymphoid leukemia (ALL) In combination with other agents in patients with hypersensitivity to L-asparaginase Acute lymphoid leukemia, first-line, in combination with other agents	未	○	2006年7月	×	-	○	レアスハラギナー ゼ過敏性の急性リン パ性白血病	*	¥2,873,000
45	ノゲテカン塩酸 塩	Topotecan hydrochloride	ハイカムチ ン注射用	Hycaamin			Carcinoma of cervix, Stage IVB, recurrent, or persistent, in combination with cisplatin	Topotecan in combination with cisplatin is indicated for patients with carcinoma of the cervix recurrent after radiotherapy and for patients with Stage II disease who have not received prior cisplatin treatment required for standard treatment for cervical cancer to justify treatment with the combination.	適応外	○	2006年6月	○	2006年11月	○	ステージIVB又は再 発の子宮頸がん	*	¥61,000
46	デシタビン	Decitabine	-	Dacogen		日本閉塞 腫瘍	Dacogen is a nucleoside metabolic inhibitor indicated for treatment of patients with myelodysplastic syndromes (MDS) including previously treated and untreated, de novo and secondary MDS of all French-American-British subtypes and intermediate-1, intermediate-2, and high-risk International Prognostic Scoring System groups.	Dacogen is a nucleoside metabolic inhibitor indicated for treatment of patients with myelodysplastic syndromes (MDS) including previously treated and untreated, de novo and secondary MDS of all French-American-British subtypes and intermediate-1, intermediate-2, and high-risk International Prognostic Scoring System groups.	未(開発 中止)	○	2006年5月	×	-	○	骨髄異形性症候群	*	¥1,027,000
47	デシタビン	Decitabine	-	Dacogen			Dacogen is indicated for the treatment of adult patients aged 65 years and above with newly diagnosed de novo or secondary acute myeloid leukemia (AML), according to the World Health Organization (WHO) classification, who are not candidates for standard induction chemotherapy.	Dacogen is indicated for the treatment of adult patients aged 65 years and above with newly diagnosed de novo or secondary acute myeloid leukemia (AML), according to the World Health Organization (WHO) classification, who are not candidates for standard induction chemotherapy.	未	×	-	○	2012年9月	○	新規に診断された 急性骨髄性白血病	*	¥1,027,000
48	イマチニブ	Imatinib	グリベック	Gleevec		ノバルティ ス他	Dermatofibrosarcoma protuberans (DFSP) unresectable, recurrent and/or metastatic	the treatment of adult patients with unresectable dermatofibrosarcoma protuberans (DFSP) and adult patients with recurrent and / or metastatic DFSP who are not eligible for surgery.	適応外	○	2006年10月	○	2005年8月	○	切除不能、再発又 は転移性の悪性性 皮膚繊維肉腫		¥345,000
49	ヒストレリン	Histrelin	-	Vantas		腫瘍(リンパ)承 認あり	Carcinoma of prostate, advanced (palliative treatment)	Carcinoma of prostate, advanced (palliative treatment)	未	○	2004年12月	×	-	○	進行前立腺がんの 緩和的治療		¥384,000

整理 番号	一般名 (国内)	一般名 (英名)	商品名 (国内)	商品名 (米国)	国内企業	開発状況	国内における 精製物の存在	備考 (国内外の 開発状況)	効能: FDA承認効能本文 [適応外効能]	効能: EMA承認効能本文 [適応外効能]	日本 厚生 労働省 承認	米国 FDA 承認	米国 FDA 承認日	欧州 EMA 承認	欧州 EMA 承認日	NCCNが レベル2以上 の薬剤	効能日本特許 (FDA承認効能)	1ヶ月 (1サイクル/28日 /30日) あたりの薬料費 (円) 1ドル100円 千円未満四捨五 入
50	ザリドミド	Thalidomide	ザレド	Thalomid	藤本製薬				Multiple myeloma, newly diagnosed in combination with doxamycin	Thalidomide Celgene in combination with melphalan and prednisone as first-line treatment of patients with untreated multiple myeloma, aged ≥ 65 years or ineligible for high-dose chemotherapy.	適応外	○	2004年3月	○	2008年4月	○	多発性骨髄腫の一 次治療	¥378,000
51	テモボルフィン	Tenoporfin	-	Foscan					-	Foscan is indicated for the palliative treatment of patients with advanced head and neck squamous cell carcinoma failing prior therapies and unsuitable for radiotherapy, surgery or systemic chemotherapy	未	×	-	○	2001年10月	×	前治療に不適した 進行性頭頸部扁平 上皮癌	No data
52	トリプトレルン panoate	Triptorelin panoate	-	Trelstar Depot			製薬(ユニ フレックス等) 承認あり		TRELSTAR is a gonadotropin releasing hormone (GnRH) agonist indicated for the palliative treatment of advanced prostate cancer.	-	未	○	2000年6月	×	-	○	進行前立腺がんの 緩和的治療	¥98,000
53	ベキサロテン	Beaxarotene	-	Targretin gel	ミノファージ ン				Primary cutaneous T-cell lymphoma, Stage IAJ/IB; persistent/refractory after other therapies or unable to tolerate other therapies, Mycosis fungoides and Sezary syndrome	-	未	○	2000年6月	×	-	○	他の治療が適切で ない皮膚T細胞性リ ンパ腫、固状型肉 腫、セザリー症候群 の局所治療	¥652,000