

未承認薬・適応外薬の要望 (募集対象 (1) (2))

1. 要望内容に関連する事項

<p>要望者 (該当するものにチェックする。)</p>	<p><input type="checkbox"/> 学会 (学会名;) <input type="checkbox"/> 患者団体 (患者団体名;) <input checked="" type="checkbox"/> 個人 (氏名;)</p>
<p>要望する医薬品</p>	<p>成分名 (一般名) ブデソニド (Budesonide)</p>
	<p>販売名 Entocort EC (米国) } 70-病 センタコート・カフセル (日本) } 向け商品</p>
	<p>会社名 セリア新薬工業株式会社</p>
	<p>国内関連学会 日本消化器病学会 (選定理由) 自己免疫性肝疾患の基礎・臨床研究を行っているため。</p>
<p>要望内容</p>	<p>未承認薬・適応外薬の分類 (必ずいずれかをチェックする。) <input checked="" type="checkbox"/> 未承認薬 <input type="checkbox"/> 適応外薬 (自己免疫性肝疾患に対しては未承認)</p>
	<p>効能・効果 (要望する効能・効果について記載する。) 自己免疫性肝疾患への使用。 (自己免疫性肝炎, 原発性胆汁性胆管炎, 原発性小石硬化性胆管炎)</p>
	<p>用法・用量 (要望する用法・用量について記載する。) 1日1回9mgを経口投与する等。 (自己免疫性肝炎)</p>
<p>希少疾病用医薬品の該当性</p>	<p>備考 (特記事項等) Entocort EC: FDA承認2001.8.2 ブデソニド MMX (Santarus): FDA承認2013.1.14 炎症性腸疾患治療薬として実績あり。 センタコート: 日本(70-病)承認。発売(2016.12) <input type="checkbox"/> 小児に関する要望 (該当する場合はチェックする。)</p> <p>約 2万人 (自己免疫性肝炎, 原発性胆汁性胆管炎, 原発性小石硬化性胆管炎の合計) <推定方法> 特定疾患登録者数等。</p>

<p>(推定対象患者数、推定方法についても記載する。)</p>	
<p>国内の承認内容 (適応外薬のみ)</p>	<p>(効能・効果及び用法・用量を記載する) 未承認(自己免疫性肝疾患向けとして)</p>
<p>「医療上の必要性に係る基準」への該当性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。複数の項目に該当する場合は、最も適切な1つにチェックする。)</p>	<p>1. 適応疾病の重篤性 <input type="checkbox"/>ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) <input checked="" type="checkbox"/>イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 <input type="checkbox"/>ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 (上記の基準に該当すると考えた根拠) 現状使用されているプレゾニドロンはステロイド特有の多くの副作用を有するため長期使用において他の疾病を招いたり生活に悪影響を与えている。投与量の制約は治療の障害である。</p> <p>2. 医療上の有用性 <input type="checkbox"/>ア 既存の療法が国内にない <input type="checkbox"/>イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている <input checked="" type="checkbox"/>ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、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られる (上記の基準に該当すると考えた根拠) プレゾニドはプレゾニドロンに比べて副作用が少いが、同等の効果が期待できる。副作用のためステロイドが使えるが患者や維持投与量に制限があった患者が救われる。</p>
<p>追加のエビデンス (使用実態調査を含む) 収集への協力</p>	<p><input checked="" type="checkbox"/>可 <input type="checkbox"/>不可 (必ずいずれかをチェックする。) 但し、文献収集程度に限られる。</p>
<p>備考</p>	<p>一患者としては医学的知見・情報への入手に限度があるため、製薬会社や専門医師等の協力が必要である。 オフアンドラグとしての取扱いもある。</p>

2. 要望内容に係る欧米での承認等の状況

欧米等6か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 <input type="checkbox"/> 加国 <input type="checkbox"/> 豪州	
	[欧米等6か国での承認内容]	
	欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所に下線)	
米国	販売名 (企業名)	
	効能・効果	
	用法・用量	
	備考	
英国	販売名 (企業名)	
	効能・効果	
	用法・用量	
	備考	
独国	販売名 (企業名)	
	効能・効果	
	用法・用量	
	備考	
仏国	販売名 (企業名)	
	効能・効果	
	用法・用量	
	備考	
加国	販売名 (企業名)	
	効能・効果	
	用法・用量	
	備考	
豪州	販売名 (企業名)	
	効能・効果	
	用法・用量	
	備考	
欧米等6か国での標準的使用状況 (欧米等6か国で要望内容に関する承認がない適応外薬についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 <input type="checkbox"/> 加国 <input type="checkbox"/> 豪州	
	[欧米等6か国での標準的使用内容]	
	欧米各国での標準的使用内容 (要望内容に関連する箇所に下線)	
米国	ガイドライ ン名	
	効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	

	加国	ガイドライ ン名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	豪州	ガイドライ ン名	
		効能・効果 (または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所)	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	

3. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験、薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況

<文献の検索方法(検索式や検索時期等)、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等>

1)

<海外における臨床試験等>

1)

<日本における臨床試験等*>

1)

※ICH-GCP 準拠の臨床試験については、その旨記載すること。

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

1)

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

<海外における教科書等>

1)

<日本における教科書等>

1)

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

<海外におけるガイドライン等>

1)

<日本におけるガイドライン等>

1)

(5) 要望内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1)

(6) 上記の（1）から（5）を踏まえた要望の妥当性について

<要望効能・効果について>

1) ステロイドの副作用低減, 維持投与量の増大.

<要望用法・用量について>

1) 経口投与, 9mg/日など.

<臨床的位置づけについて>

1) 治験

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1) 治験 (オープンラック), 製薬会社における製剤化.

5. 備考

<担当者氏名及び連絡先>

<その他>

1)

6. 参考文献一覧

1) Ann Pharmacother 2011 Sept, 45(9) 1144-1150

2) Gastroenterology. 2010. Oct. 139(4) 1198-1206

3) Can J Gastroenterol 2008. Apr. 22(4) 388-392