

(別添様式)

未承認薬・適応外薬の要望に対する企業見解

1. 要望内容に関連する事項

会社名	小野薬品工業株式会社	
要望された医薬品	要望番号	
	成分名 (一般名)	カルフィルゾミブ
	販売名	KYPROLIS
	未承認薬・適応外薬の分類 (該当するものにチェックする。)	<input checked="" type="checkbox"/> 未承認薬 <input checked="" type="checkbox"/> 2009年4月以降に、FDA又はEMAで承認されたが、国内で承認されていない医薬品 <input type="checkbox"/> 上記以外のもの <input type="checkbox"/> 適応外薬 <input type="checkbox"/> 医師主導治験や先進医療B (ただし、ICH-GCPを準拠できたものに限る。) にて実施され、結果がまとめられたもの <input type="checkbox"/> 上記以外のもの
要望内容	効能・効果 (要望された効能・効果について記載する。)	再発又は難治性の多発性骨髄腫
	用法・用量 (要望された用法・用量について記載する。)	28 日間を 1 サイクルとし、カルフィルゾミブを 1, 2, 8, 9, 15, 16 日目に 10 分間かけて静脈内投与する。第 1 サイクルの 1, 2 日目に 20 mg/m ² を投与し、第 1 サイクルの 8, 9, 15, 16 日目及び第 2 サイクル以降には 27 mg/m ² を投与する。
	備考 (該当する場合はチェックする。)	<input type="checkbox"/> 小児に関する要望 (特記事項等)

<p>希少疾病用医薬品の該当性（推定対象患者数、推定方法についても記載する。）</p>	<p>総患者数：約14,000人¹⁾ <u>本対象患者数：4,146人²⁾</u> <推定方法> 1) 厚生労働省大臣官房統計情報部 平成23年度 患者調査（傷病分類編）（P33） 2) 国立がん研究センターがん対策情報センター全国がん罹患モニタリング集計における2008年時点の推計</p>
<p>現在の国内の開発状況</p>	<p> <input checked="" type="checkbox"/> 現在開発中 { <input checked="" type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 } <input type="checkbox"/> 現在開発していない { <input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発中止 <input type="checkbox"/> 国内開発なし } （特記事項等） 日本において再発又は難治性の多発性骨髄腫を対象とした第Ⅰ／Ⅱ相試験を実施中である。 </p>
<p>企業としての開発の意思</p>	<p> <input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし （開発が<u>困難</u>とする場合、その<u>特段の理由</u>） </p>
<p>「医療上の必要性に係る</p>	<p> 1. 適応疾病の重篤性 <input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患） <input 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 <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない （上記に分類した根拠） 多発性骨髄腫は、治癒に至る治療方法が確立していない造血器腫瘍であり、治療が奏効した場合であってもほとんどの場合、再発に至る。また、既存の治療法に抵抗性を示す又は許容できない副作用の発現により、治療の長期継続が困難な場合があり、新たな治療薬が望まれている。 </p>

<p>基準への該当性 (該当するものにチェックし、分類した根拠について記載する。)</p>	<p>2. 医療上の有用性</p> <p><input type="checkbox"/>ア 既存の療法が国内にない</p> <p><input type="checkbox"/>イ 欧米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</p> <p><input checked="" type="checkbox"/>ウ 欧米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</p> <p><input type="checkbox"/>エ 上記の基準に該当しない (上記に分類した根拠)</p> <p>本剤は、2012年7月に米国において迅速承認され、少なくともボルテゾミブ及び免疫調整薬を含めた2回以上の前治療に抵抗性を示した多発性骨髄腫への治療薬として使用されている。本剤は、既存治療で長期継続投与の障害となっていた末梢神経障害の発現頻度が少ない。また、NCCNガイドライン (Version 2.2013) において多発性骨髄腫のサルベージ療法として使用が推奨されている。</p>
備考	

以下、タイトルが網かけされた項目は、学会等より提出された要望書又は見解に補足等がある場合にのみ記載。

2. 要望内容に係る欧米での承認等の状況

<p>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。)</p>	<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		
	<p>[欧米等6か国での承認内容]</p>		
		<p>欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所を下線)</p>	
	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		
	豪国	販売名（企業名）		
		効能・効果		
		用法・用量		
		備考		
	<p>欧米等6か国での標準的使用状況 <u>（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、該当国の標準的使用内容を記載する。）</u></p>	<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を下線）		
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）		
		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		
英国		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	
独国		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	
仏国		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	
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	

	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>

<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>

米国で迅速承認された効能・効果及び国内における類薬の効能・効果の記載を踏まえ、本企業見解に記載した要望は妥当と考える。

<要望用法・用量について>

現在、海外で実施している第Ⅲ相試験においては、第1サイクルの1, 2日目のみ 20 mg/m²を投与し、その後 27 mg/m²を投与しており、本企業見解に記載した要望用法・用量は妥当と考える。

<臨床的位置づけについて>

「医療上の必要性に係る基準」への該当性 2.医療上の有用性の項を参照。

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

新たに実施すべき臨床試験はないと考える。

5. 備考

<その他>

特記事項なし

6. 参考文献一覧