

		<p>すなわち、悪性胸水の原因疾患として肺がん(約 40%)、乳がん(約 25%)、リンパ腫、卵巣がんなどが挙げられ、多くはがんとしての終末期にあり余命は短い。悪性胸水は悪性腫瘍の合併症であるため、本来、悪性胸水の治療に先立ち全身化学療法などによる抗悪性腫瘍治療を考慮すべきである。しかし、化学療法などに耐性になった場合、生活の質の向上の観点から悪性胸水を除去する緩和治療が必要である。悪性胸水が増加すると、胸痛、胸部圧迫感、呼吸困難や心タンポナーデによる循環不全等の重篤な症状をきたすことも多く、このような症状は、精神的苦痛、体力の消耗等を伴い、日常生活の質を大きく悪化させる。さらに体力低下に伴う感染症などの合併症や、貯留した胸水への化学療法剤の蓄積による骨髄抑制などにより、延命治療の選択肢が少なくなり、余命が短くなる可能性がある。胸水貯留は、胸水排液のみでも一時的に緩和されるが、胸水排液のみによる治療の場合、1 ヶ月以内に、患者の 97% に再貯留が認められ、再度の胸水排液が必要となる。このような再排液は入院治療を要し、タンパク質の喪失に伴う栄養状況の悪化、余命の短縮が懸念されるため、通常は排液の後、胸膜癒着術が実施される。</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p>Cochran Library などのエビデンスを見ても、世界的な標準療法は、タルクを用いた癒着療法である。しかるに、わが国では、OK-432 (ピシバニール) という生物製剤が現在も頻用されており、強い疼痛、必発の発熱など、副作用も強い。また、タルクは、胸膜癒着効果の持続性においてピシバニールに優ることなどから、タルクが日本での承認を得ることができれば、副作用の少ない、世界標準の治療法を導入することができる。本邦の医療現場に本剤を導入することで、従来よりも悪性胸水の制御が向上し、進行がん患者の苦痛を軽減できることが期待され、また、本邦の標準治療が転換することが予想されることから、本剤の悪性胸水治療における医療上の有用性は高い。</p> <p>なお、滅菌調整タルク (STERITALC®) の本邦医療現場への導入は必須であり、2007 年 1 月 22 日開催の第 11 回未承認薬使用問題検討会議では「滅菌調整タルクについて、国内での治験が早期に開始されるべき」と結論づけられており、前述のとおり、医師主導治験が実施されている。</p>
5)	備 考	

2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] 欧州では、医療機器として承認されている。
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] なし

3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p>当該要望書に記載の下記見解について異論はなく、重篤性は「ウ」、有用性は「ウ」と判断する。</p> <p>[日本呼吸器学会要望書より]</p> <p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>悪性胸水患者は、進行期の状態であり、予後は極めて不良である。緩和治療が主体となる場合が多く、呼吸困難という症状の改善が、患者の生活の質にとって最も大切な治療となる。悪性胸水は、胸水の穿刺・排液だけでは、約1か月後には、元の貯留状態になる事が多いことが知られており、従来から薬物による癒着が試みられている。</p> <p>すなわち、悪性胸水の原因疾患として肺がん(約40%)、乳がん(約25%)、リンパ腫、卵巣がんなどが挙げられ、多くはがんとしての終末期にあり余命は短い。悪性胸水は悪性腫瘍の合併症であるため、本来、悪性胸水の治療に先立ち全身化学療法などによる抗悪性腫瘍治療を考慮すべきである。しかし、化学療法などに耐性になった場合、生活の質の向上の観点から悪性胸水を除去する緩和治療が必要である。悪性胸水が増加すると、胸痛、胸部圧迫感、呼吸困難や心タンポナーデによる循環不全等の重篤な症状をきたすことも多く、このような症状は、精神的苦痛、体力の消耗等を伴い、日常生活の質を大きく悪化させる。さらに体力低下に伴う感染症などの合併症や、貯留した胸水への化学療法剤の蓄積による骨髄抑制などにより、延命治療の選択肢が少なくなり、余命が短くなる可能性がある。胸水貯留は、胸水排液のみでも一時的に緩和されるが、胸水排液のみによる治療の場合、1ヵ月以内に、患者の97%に再貯留が認められ、再度の胸水排液が必要となる。このような再排液は入院治療を要し、タンパク質の喪失に伴う栄養状況の悪化、余命の短縮が懸念される</p>
----	-------------------------------	--

		<p>ため、通常は排液の後、胸膜癒着術が実施される。</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p>Cochran Library などのエビデンスを見ても、世界的な標準療法は、タルクを用いた癒着療法である。しかるに、わが国では、OK-432（ピシバニール）という生物製剤が現在も頻用されており、強い疼痛、必発の発熱など、副作用も強い。また、タルクは、胸膜癒着効果の持続性においてピシバニールに優ることなどから、タルクが日本での承認を得ることができれば、副作用の少ない、世界標準の治療法を導入することができる。本邦の医療現場に本剤を導入することで、従来よりも悪性胸水の制御が向上し、進行がん患者の苦痛を軽減できることが期待され、また、本邦の標準治療が転換することが予想されることから、本剤の悪性胸水治療における医療上の有用性は高い。</p>
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<p><input type="checkbox"/> 治験開始前 <input checked="" type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み</p> <p><input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止</p> <p>[特記事項]</p> <p>国内第Ⅱ相試験（医師主導治験）実施中（平成21年6月8日～平成22年9月30日予定）</p>
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<p><input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし</p> <p>(開発が困難とする場合は、その理由)</p>
11)	備 考	<p>第11回未承認薬使用問題検討会議検討品目である。</p> <p>未承認薬開発支援事業対象品目である。</p>

4. 「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

12)	「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 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）</p> <p><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</p> <p><input type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項]</p> <p>なし</p>
-----	---	---

		<p>(2) 医療上の有用性についての該当性</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いる</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項]</p> <p>なし</p>
13)	備 考	

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	個人		182
2)	要望された 医薬品	一般名	Denileukin diftitox
		販売名	ONTAK（米国）
		会社名	エーザイ株式会社
3)	要望内容	効能・効果	悪性細胞がインターロイキン 2（IL-2）受容体の構成要素 CD25 を発現している（CD25+）、持続性もしくは再発性の皮膚 T 細胞リンパ腫（CTCL）の治療
		用法・用量	<ul style="list-style-type: none"> <li>本剤の点滴静注前に抗ヒスタミン剤とアセトアミノフェンを投与する。</li> <li>1 サイクル 21 日間において、連続 5 日間、9 μg/kg/day あるいは 18 μg/kg/day を 30 分～60 分かけて点滴静注し、8 サイクル繰り返す。</li> </ul>
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 未承認薬 <input type="checkbox"/> 適応外薬（剤形追加も含む） [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p><b>1. 適応疾病の重篤性</b>            予後解析のデータによれば、5 年生存率は、病期 I A で 96-100%、I B で 73-86%、II A で 49-73%、II B で 40-65%、III で 40-57%、IV A で 15-40%、IV B で 0-15%とされる（Br J Dermatol 2003; 149, 1095-1107）。II 期（扁平浸潤期）、III 期（腫瘤期）、IV（内臓浸潤期）では生存率が大きく低下し、I 期（紅斑期）を除けば重篤性は高い。したがって、CTCL の重篤性は、判断基準の「A 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）」に該当する。</p> <p><b>2. 医療上の有用性</b>            国内での CTCL ガイドラインによる治療は、表のとおりである。</p>	

		紅斑期		扁平浸潤期		腫瘍期	内臓浸潤期	
		I A	I B	II A	II B	III	IV A	IV B
	ステロイド外用	◎	◎	◎	○	○	○	○
	PUVA (紫外線)	◎	◎	◎	○	○		
	IFN- $\gamma$ * 近く使用不可に		◎	◎	◎	◎	○	○
欧米のみ	INF- $\alpha$		◎	◎	◎	◎	○	○
	レチノイド		◎	◎	◎	◎		
	BCNU		◎	◎	◎	◎		
	分子標的薬		◎	◎	◎	◎		
◎：第一選択、○：患者によって選択可能、*：オーガンマ								
<p>欧米のみで使用される薬剤は、国内でCTCLの適応を承認されていない。インターフェロン<math>\gamma</math>のうち、CTCLの適応を有するのは大塚製薬のオーガンマ 100<sup>®</sup>（「菌状息肉症（内臓浸潤期を除く）」の適応）のみで、塩野義製薬のイムノマックス-<math>\gamma</math>は適応を持たない。さらに、オーガンマ 100<sup>®</sup>は一年間の経過措置期間のあと平成22年4月1日に薬価から削除される見込みであり、II B、IIIの病期に第一選択（表中の陰影部）として使用できる薬剤が事実上なくなることが推測される。Denileukin diftitox（分子標的薬）が日本で承認されれば、近く使用できなくなるIFN-<math>\gamma</math>（オーガンマ<sup>®</sup>）の代替として、II期（扁平浸潤期）、III期（腫瘍期）の患者の福音になることは間違いない。</p> <p>したがって、本剤の医療上の有用性は、判断基準の「ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている」に該当する。</p>								
5)	備考							

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 （該当国にチェックする）	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国
		[特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 （適応外薬についてのみ、該当国にチェックする）	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国
		[特記事項] なし

3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p><b>1. 適応疾病の重篤性：ア</b>          予後解析のデータによれば、5年生存率は、病期ⅠAで96-100%、ⅠBで73-86%、ⅡAで49-73%、ⅡBで40-65%、Ⅲで40-57%、ⅣAで15-40%、ⅣBで0-15%とされる。Ⅱ期（扁平浸潤期）、Ⅲ期（腫瘍期）、Ⅳ（内臓浸潤期）では生存率が大きく低下し、Ⅰ期（紅斑期）を除けば重篤性は高い。したがって、CTCLの重篤性は、判断基準の「ア 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）」に該当する。</p> <p><b>2. 医療上の有用性：ウ</b>          8), 9)に記載したとおり、本剤はNCCNのガイドラインにおいて推奨する治療法として位置づけられている。したがって、本剤の医療上の有用性は、判断基準の「ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている」に該当する。</p>
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<p><input checked="" type="checkbox"/> 治験開始前    <input type="checkbox"/> 治験実施中    <input type="checkbox"/> 承認審査中    <input type="checkbox"/> 承認済み</p> <p><input type="checkbox"/> 国内開発なし    <input type="checkbox"/> 国内開発中止</p> <p>[特記事項]          国内開発検討中（株式会社 TSD Japan と日本におけるライセンス・共同開発契約を平成21年10月26日に締結）</p>
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<p><input checked="" type="checkbox"/> あり                      <input type="checkbox"/> なし</p> <p>(開発が困難とする場合は、その理由)</p>
11)	備 考	<p>本薬はCTCLに対し有用性の高い薬剤であると弊社は認識しており、日本で開発に着手する意向である。</p> <p>しかしながら、米国での本薬の承認にあたっては、FDAより原薬の純度を向上させることを承認条件とされている。CMC部門では純度向上を目指した検討を行い、原薬の改善研究は目処がついてきたことから、純度が向上された原薬への切替え（Partial change Application）のための非臨床試験・臨床試験計画をFDAと協議中であり、まずは非臨床試験を追加し、その成績をもとに再度FDAと追加臨床試験の内容を検討する予定である。場合によっては、米国の承認用法・用量が変更になる可能性もある。</p> <p>日本の開発においては、本疾患が希少疾病であることに鑑み、臨床データパッケージの主要部分を海外データで構成することを検討しており、また、開発当初から純度の改善された製剤を用いて臨床試験を行なう予定である。従って、FDAと合意された試験計画／結果によっては、現行の米国の承認用量に対し調整を行った上で日本に</p>

		<p>における臨床試験開始を検討する必要性が生じるため、1年以内に着手することができない可能性がある。</p>
--	--	---

4. 「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

12)	<p>「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 (該当するものにチェックする)</p>	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）</p> <p><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</p> <p><input type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>〔特記事項〕 なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</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いる</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>〔特記事項〕 なし</p>
13)	備 考	

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	個人		266
2)	要望された 医薬品	一般名	フルベストラント
		販売名	フェソロデックス筋注用
		会社名	アストラゼネカ株式会社
3)	要望内容	効能・効果	閉経後進行・再発乳癌
		用法・用量	<p>&lt;米国&gt; The recommended dose is 250 mg to be administered intramuscularly into the buttock at intervals of one month as either a single 5 mL injection or two concurrent 2.5 mL injections. The injection should be administered slowly.</p> <p>&lt;欧州&gt; The recommended dose is 250 mg at intervals of 1 month. Faslodex should be administered by slow intramuscular injection into the buttock.</p>
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 未承認薬 <input type="checkbox"/> 適応外薬 (剤形追加も含む) [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	記載なし	
5)	備考		

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] なし

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p>ホルモン受容体陽性の閉経後進行・再発乳癌患者における治療の目的は、病勢進行を遅らせること、緩和（QoLの改善）、生存期間の延長である。したがって、内分泌療法によるベネフィットが期待される患者には、副作用が軽度でありQoLが損なわれにくい内分泌療法を順番に使用し、化学療法剤への移行を出来る限り遅らせることが重要である。しかしながら、内分泌療法剤の種類は限られているため、既治療例に対する治療については、「初回治療に用いられなかった薬剤」という消極的な選択をせざるを得ない状況にあり、タモキシフェンやアロマターゼ阻害剤と作用機序が異なり交叉耐性を示さない新規内分泌療法剤の開発は進行・再発乳癌の治療において極めて意義が大きいと考えられる。</p> <p>フルベストラントは非臨床試験においてエストロゲン受容体（ER）への結合親和性がタモキシフェンよりも高く、アゴニスト活性を持たないことが示されている。さらに、非臨床試験及び臨床試験双方からの知見により、ERのダウンレギュレーションによってエストロゲン拮抗作用を発現すること、及びタモキシフェンやアナストロゾールと交叉耐性を示す可能性が低いことが示唆されている。したがって、フルベストラントは既存の非ステロイド系抗エストロゲン剤とは異なる薬理プロファイルを有する新しいタイプの抗エストロゲン剤として、閉経後進行・再発乳癌に対する内分泌療法において新たな選択肢の1つとなると考えられる。</p> <p>フルベストラントは米国及び欧州連合（EU）を含む世界70カ国でホルモン受容体陽性の閉経後進行・再発乳癌の適応ですでに承認されており、欧米の臨床医から実用的なガイドラインとして広く知られているNational Comprehensive Cancer Network<sup>®</sup>（NCCN）ガイドライン（V.1.2009）<sup>i</sup>においても、内分泌療法剤（抗エストロゲン剤及びアロマターゼ阻害剤）の既治療例における進行・再発乳癌の治療</p>
----	-------------------------------	---

		<p>薬として臨床的位置付けが確立されている。また、国内においても未承認にも関わらず、「科学的根拠に基づく乳癌診療ガイドライン」2007年度版<sup>ii</sup>において、「アロマターゼ阻害薬抵抗性の閉経後転移・再発乳癌症例に対する二次ホルモン療法としては、タモキシフェン、作用機序が異なるアロマターゼ阻害薬、fulvestrant（未承認）、のいずれかが推奨される」と記載されており、欧米での現状と同様に、内分泌療法の治療歴のある患者に対する治療薬として臨床的役割が期待されている。</p> <p>以上のことから、できるだけ早い時期に閉経後進行・再発乳癌の治療の選択肢として本薬を提供することは、非常に意義のあることであると考えている。</p> <p><sup>i</sup> The NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology™ Breast Cancer (Version 1.2009) © Available at: NCCN.org. Accessed [June 22, 2009]. To view the most recent and complete version of the NCCN Guidelines, go online to NCCN.org.</p> <p><sup>ii</sup> 日本乳癌学会（編），科学的根拠に基づく乳癌診療ガイドライン 1. 薬物療法，金原出版，2007年版。ISBN 978 4 307 20234 3</p>
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input checked="" type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み  <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] 平成 21 年 12 月 18 日付承認申請
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし  (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	

4. 「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

12)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <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
-----	----------------------------	--

	<p>の評価 (該当するものにチェックする)</p>	<p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない 〔特記事項〕 なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</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いる</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない 〔特記事項〕 なし</p>
13)	備 考	

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	特定非営利活動法人グループ・ネクサス		291
2)	要望された医薬品	一般名	ボリノスタット
		販売名	ゾリンザ（販売予定名）
		会社名	万有製薬株式会社
3)	要望内容	効能・効果	Treatment of cutaneous manifestations in patients with cutaneous T-cell lymphoma (CTCL) who have progressive, persistent or recurrent disease on or following two systemic therapies.
		用法・用量	400 mg orally once daily with food. If patient is intolerant to therapy, the dose may be reduced to 300 mg orally once daily with food. If necessary, the dose may be further reduced to 300 mg once daily with food for 5 consecutive days each week.
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 未承認薬 <input type="checkbox"/> 適応外薬（剤形追加も含む）  〔特記事項〕 なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 （1）適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合 ア 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患） ⇒CTCL の大半を占める菌状息肉症に対しては、ステロイド外用剤、紫外線照射、放射線治療などが行われ、これらは一時的に奏効するが治癒は困難であるとされ、化学療法の効果も不十分なために、緩慢に経過する時期を経て腫瘍期に至った多くの患者が、臓器浸潤や感染症などのために死亡する難治性疾患である。</p> <p>2. 医療上の有用性 （2）医療上の有用性が次のいずれかの場合 ア 既存の療法が国内にない ⇒厚生労働省第12回未承認薬使用問題検討会議におけるワーキンググループの報告にて、「SAHA (vorinostat)は抗悪性腫瘍薬として</p>	

		FDA が承認した初のヒストン脱アセチル化酵素阻害剤(histone deacetylase inhibitor; HDAC inhibitor)である」「全身療法を必要とする腫瘍期 CTCL 患者の多くは増悪を繰り返すために有効な治療を切望しており、本薬剤の医療上の有用性は高いと言える」とされている。
5)	備 考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p>(1) CTCL には菌状息肉症 (MF) とセザリー症候群 (SS) が含まれる。MF は紅斑期から扁平浸潤期、さらに腫瘍期と進展し、末期にはリンパ節や内臓に浸潤し、致死性となる。また、皮膚のそう痒症が最も多く見られる不快な症状のひとつであり、患者の QOL 低下の一因である。SS は、MF より悪性度が高く、早期からリンパ節や血液に浸潤し、致死性となる。従って、(1) アからウの全てに該当すると考えられる。</p> <p>(2) CTCL に対しては保険承認されていたオーガンマ® (IFNγ-n1) が 2009 年経過措置品目に移行し、2010 年 4 月には薬価削除予定である。また、第 12 回未承認薬使用問題検討会議でもその有用性が認められたのみならず、日本皮膚悪性腫瘍学会からも要望書が提出されている。PDQ のガイドラインにおいても、有効な治療選択肢として推奨されている。従って、(2) アおよびウに相当すると考えられる。</p> <p>以上から、(1) および (2) の両方に該当するため、「医療上その必要性が高い」と判断する。</p>
----	-------------------------------	--

9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input checked="" type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] 申請準備中
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	第 12 回未承認薬使用問題検討会議検討品目である。

4. 「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

12)	「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 (該当するものにチェックする)	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) <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 [特記事項] なし (2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない <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 <input checked="" type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない [特記事項] なし
13)	備 考	



『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	個人		350
2)	要望された 医薬品	一般名	レナリドミド
		販売名	レブラミドカプセル
		会社名	セルジーン株式会社
3)	要望内容	効能・効果	5q欠損染色体異常を伴う低または中等度リスク骨髄異形成症候群
		用法・用量	<米国> The recommended starting dose of REVLIMID® (lenalidomide) is 10 mg daily with water. Patients should not break, chew or open the capsules. Dosing is continued or modified based upon clinical and laboratory findings.
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 未承認薬 <input type="checkbox"/> 適応外薬 (剤形追加も含む) [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>MDSは原因不明の血球減少と前白血病状態を呈する症候群の総称とされています。高齢者に多い疾患で、貧血症状、易感染性、出血傾向で慢性に経過しますが、造血不全による合併症または急性骨髄性白血病（AML）移行により死亡する、予後不良かつ難治性の血液疾患で本邦では難病（特定疾患）指定されています。</p> <p>MDSの患者数及び死亡者数は増加傾向にあり、患者数は平成17年で約9,000人、死亡者数は平成18年で2,475人（男性1,487人、女性988人と聞いております）。</p> <p>MDSは多様な病態の集合体で不均一な症候群であるため、その治療法は多岐にわたり、全身状態や各々の病態に対して有効と思われる治療法をそれぞれ検討している状況です。比較的症状の軽い患者には輸血（赤血球・血小板の成分輸血）や支持療法（抗生物質、G-CSF投与）による治療を行うことで、ある程度の生存が可能です。しかし、AMLに近い重症患者の予後は悪く、AMLと同様の抗</p>	

		<p>がん剤（多剤併用化学療法、低用量分化誘導療法）による治療が必要ですが、生存期間の延長にはつながっておりません。</p> <p>それ以外の治療法としては、免疫抑制療法、ビタミン療法などがありますが、いずれも効果は限定的であり、標準的な治療法はありません。唯一治療が期待できるのは骨髄移植ですが、MDS 患者の多くは高齢者であり、副作用の強い骨髄移植が可能な患者は限られているのが現状です。また、国内では MDS の保健適応を有する抗がん剤はシタラビンオクホスファートのみで有効性に関するエビデンスが無いため、ほとんど使用されていません。</p> <p>MDS には重篤な貧血があり、この貧血は MDS である限り継続していきます。</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p>日本内科学会発表抄録より</p> <p>フェーズ II 臨床試験は、①5 番染色体長腕欠失を単独または他の細胞遺伝学的異常とともに伴う、②IPSS スコアで低中間 - 1 リスク、③輸血依存性または症状性貧血を伴う、という①から③までの条件を満たした日本人の MDS 患者を対象に行われた。レナリドミドは 28 日を 1 サイクルとして 1 日目から 21 日目まで 1 日当り 10mg を経口投与する。</p> <p>中間解析の結果は 11 人の登録患者を対象としたもので、平均年齢は 71.8 歳だった。試験期間の中央値は 51.0 週、脱落患者はなし、用量は 10mg が 3 人、1 段落減量した 5mg が 8 人だった。休薬は 9 人で行われた。</p> <p>投与の結果、総貧血改善率は 100%だった。輸血依存患者 5 人全例が輸血非依存、ヘモグロビン値が 1g/dl 以上上昇した。輸血非依存患者 6 人全例がヘモグロビン値が 2g/dl 超上昇した。奏効期間中央値は 41.0 週。ヘモグロビン値 (g/dl) は、基準値の中央値が 7.0(4.7-9.1)だったのが、最大中央値が 12.7 (8.9-15.6) で変化中央値は 6.0 (0.9-10.9) だった。染色体分析で陰性化した患者が 3 人、FISH 法で陰性化したのは 2 人だった。</p> <p>一方、治療薬との関連性が否定できない有害事象は、グレード 3 の好中球減少症が 27.2%、グレード 4 の好中球減少症が 63.6%、グレード 3 の白血球減少症は 45.4%、グレード 4 の白血球減少症は 9%、グレード 3 のリンパ球減少症が 27.2%、グレード 4 の血小板減少症が 9%、グレード 3 の高血圧が 9%だった。有害事象は既知かつコントロール可能で、レナリドミドが関連する重篤な有害事象は無かった。</p>
5)	備考	

2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  〔特記事項〕 なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  〔特記事項〕 なし

3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	記載なし
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input checked="" type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み  <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 〔特記事項〕 平成 21 年 10 月 28 日付承認申請
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし  (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	第 8 回未承認薬使用問題検討会議検討品目である。 希少疾病用医薬品に指定済みである。

4. 「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

12)	「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 <input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) <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  〔特記事項〕
-----	--------------------------------	---

	<p>(該当するものにチェックする)</p>	<p>なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</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いる</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項]</p> <p>なし</p>
13)	備考	

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人		359.3
2)	要望された 医薬品	一 般 名	Aldesleukin
		販 売 名	Proleukin (米国)
		会 社 名	国内開発企業なし
3)	要望内容	効能・効果	<p>&lt;米国&gt; (AHFS Drug Information 2009): IL-2 is used as monotherapy for the treatment of metastatic melanoma. The indication for use of IL-2 monotherapy for metastatic melanoma is based on evidence from uncontrolled, phase 2 studies; response rates average 16% for IL-2 as a single agent with a complete response rate of about 6%.</p> <p>転移性悪性黒色腫（第 IV 期）に対する NCI の Rosenberg らの IL-2 大量静注療法施行 270 例に関する報告（J Clin Oncol 17:2105-16, 1999）によると、生存患者の追跡期間中央値は 7 年を超え、奏効率は 16%(43 人)で、完全奏効が 17 人(6%)にみられた。全体としての生存期間中央値は 12 カ月。奏効期間は全奏効例で 8.9 カ月、部分奏効 26 例で 5.9 カ月であった。完全奏効の奏効期間中央値は少なくとも 59 カ月であった。奏効例中の 12 人（うち 2 人は部分奏効症例）は 70 カ月から 150 カ月以上の長期間、再発や進行のない状態が持続した。30 カ月以上奏効が持続した患者ではその後に再発、進行はみられなかった。以上より本治療法の奏効率は高くはないが、一旦完全奏効が得られるとそれが持続し、完治できる可能性がある。</p> <p>日本：血管肉腫、腎がん、<u>悪性黒色腫（追加希望）</u></p>
		用法・用量	<p>&lt;米国&gt; 60 万～72 万 IU/kg(15 分間で静注)、8 時間毎、5 日</p>

			間投与（適宜に支持療法を行い、高度の有害反応が生じたら、回復するまで静注の間隔をあける）。以上を1サイクルとし、10～14日休薬後、さらに1サイクル実施し、これを1コースとする。6～12週間隔で最大5コースまで。
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 未承認薬 <input type="checkbox"/> 適応外薬（剤形追加も含む） [特記事項] なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性 生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患） 厚生労働省の人口動態統計によると本邦における皮膚がん死亡数は最近30年間、右肩上がりが増え続け、年間1100人を越えるようになったが、その内のおよそ半数は悪性黒色腫が占める。人口の高齢化、紫外線の影響により今後も悪性黒色腫は増加し続けることが予測されている。</p> <p>2. 医療上の有用性 ○ウ欧米において標準的療法に位置づけられている 米国FDAの承認を受け標準治療として使われている。一方日本では悪性黒色腫に対する治療薬として承認を受けているものはDTICとinterferon-βのみであることからIL-2を導入できれば進行期悪性黒色腫患者にとって朗報であり、治療成績向上への貢献が見込まれる。</p>	
5)	備 考		

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし

3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項]
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> あり <input type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由)
11)	備 考	国内開発企業がないため、8)～10) 欄については記載なし

4. 「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

12)	「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 (該当するものにチェックする)	(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) <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 [特記事項] なし  (2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない <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 <input checked="" type="checkbox"/> ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている <input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない [特記事項] なし
-----	---	--

13)	備 考	
-----	-----	--

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人		53
2)	要望された 医薬品	一 般 名	インターフェロン アルファ-2b
		販 売 名	イントロン A 注射用
		会 社 名	シュERING・プラウ株式会社
3)	要望内容	効能・効果	<p>&lt;米国&gt; (AHFS Drug Information 2009): Adjuvant therapy; Interferon alfa-2b is labeled for use as an adjunct to surgery in adults with melanoma who are disease free but at high risk for systemic recurrence. Use of adjuvant therapy with interferon alfa following surgical resection prolongs disease-free but not overall survival in patients at high risk for recurrence of disease, particularly among patients with node-positive melanoma. Metastatic melanoma; Interferon alfa occasionally is used alone for the treatment of metastatic melanoma in selected patients. Response rates averaging about 16% (with approximately 4% complete responses) have been reported in patients with metastatic melanoma receiving interferon alfa as a single agent administered daily or 3 times per week. Most responses to interferon alfa monotherapy have occurred in patients with subcutaneous and small-volume disease. However, long-term responses have been observed in patients with visceral- and nonvisceral-dominant disease, in previously treated and untreated patients, and in those treated with monotherapy or combination drug therapy. Limited data suggest that intralesional therapy with interferon alfa has clinical activity in patients with melanoma, but efficacy of the drug given by this route has not been compared with that of systemic interferon</p>

		therapy.  日本：腎癌，慢性骨髄性白血病、多発性骨髄腫、 <u>悪性黒色腫（追加希望）</u>
	用法・用量	<米国> (AHFS Drug Information 2009) : Adjuvant therapy consisted of IV interferon alfa-2b 20 million units/m <sup>2</sup> 5 days per week for 4 weeks followed by maintenance therapy with 10 million units/m <sup>2</sup> subcutaneously 3 days per week for 48 weeks. Monotherapy with IM interferon alfa dosages ranging from 10-20 million units/m <sup>2</sup> 3 times weekly has been used in patients with metastatic melanoma.
	要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 未承認薬 <input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬 (剤形追加も含む)  [特記事項] 要望の効能・効果に対する海外承認用法・用量は、静脈内及び皮下投与であるが、国内では筋肉内投与のみが承認されている。
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	1. 適応疾病の重篤性 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患) 厚生労働省の人口動態統計によると本邦における皮膚がん死亡数は最近30年間増え続け、年間1100人を越えるようになったが、その内の約半数は悪性黒色腫が占める。人口の高齢化、紫外線の影響により今後も悪性黒色腫は増加し続けると考えられている。  2. 医療上の有用性 ○ア 既存の療法が国内にない ○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 ○ウ 欧米において標準的療法に位置付けられている 1) 悪性黒色腫の遠隔転移に対する有効な治療法が皆無であるのが現状なため、病期II、IIIのハイリスク悪性黒色腫の術後補助療法の確立が求められている。 2) 欧米において、ハイリスク悪性黒色腫に対するIFN・の術後投与は標準的治療として位置付けられている。これに対し日本ではIFNαが投与できない状況が続いており DTIC-ACNU-VCR-IFNβという日本独自の術後補助療法が長い

		<p>間習慣的に行なわれている。欧米諸国の悪性黒色腫診療ガイドラインと比較して、特にこの部分に欧米との治療法の大きな乖離がみられている。これを是正していく必要がある。</p> <p>3) 日本では悪性黒色腫に対する治療薬として承認を受けているものは DTIC と interferon-β のみであることから interferon-α を導入できれば進行期悪性黒色腫患者にとって朗報であり、治療成績向上への貢献が見込まれる。</p>
5)	備考	

## 2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 [特記事項] なし

## 3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	国内ではインターフェロン β が皮膚悪性黒色腫の適応を既に取得しており、インターフェロン α (イントロン) での同適応の取得に緊急性を要するとは判断していない。
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み <input checked="" type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止 [特記事項] なし
10)	企業の開発の意思 (該当するものにチェック)	<input type="checkbox"/> あり <input checked="" type="checkbox"/> なし (開発が困難とする場合は、その理由) 国内ではインターフェロン β が皮膚悪性黒色腫の適応を既に取得

	する)	しており、インターフェロン $\alpha$ (イントロン) での適応の取得に緊急性を要するとは判断していない。
11)	備 考	

4. 「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

12)	「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 (該当するものにチェックする)	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患)</p> <p><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</p> <p><input type="checkbox"/> ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</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いる</p> <p><input type="checkbox"/> エ 上記の基準に該当しない</p> <p>[特記事項] なし</p>
13)	備 考	

『医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議』  
「医療上の必要性に係る基準」への該当性の評価

1. 要望内容の概略

1)	要望者名		要望番号
	特定非営利活動法人パンキャンジャパン		76
2)	要望された 医薬品	一般名	エルロチニブ
		販売名	タルセバ
		会社名	中外製薬株式会社
3)	要望内容	効能・効果	膵臓がん
		用法・用量	局所進行膵臓がん、または転移性膵臓がんの場合 ファーストラインとして、ゲムシタビンとの併用において、エルロチニブ 100mg 日量を経口投与する。
		要望の分類 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 未承認薬 <input checked="" type="checkbox"/> 適応外薬 (剤形追加も含む)  〔特記事項〕 なし
4)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性についての要望者の意見	<p>1. 適応疾病の重篤性</p> <p>全国膵癌登録調査報告によると、非切除膵癌例の5年生存率は僅か1%とされている。生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）であり、かつ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であり、重篤性は非常に高いと考えられる。</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p>海外の臨床試験において有効性が既存の療法と比べて明らかに優れていること、本邦の臨床試験においても再現性が示唆されていること、欧米において標準的療法に位置付けられていること、などより、医療上の有用性は非常に高いと考えられる。</p>	
5)	備考		

2. 海外での承認等の状況

6)	海外での承認状況 (該当国にチェックする)	<input checked="" type="checkbox"/> 米国 <input checked="" type="checkbox"/> 英国 <input checked="" type="checkbox"/> 独国 <input checked="" type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] なし
7)	海外での公的保険 適応状況 (適応外薬についてのみ、該当国にチェックする)	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国  [特記事項] なし

3. 国内での開発等の状況及び企業側の意見

8)	「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する企業側の意見	<p>(1) 膵癌の重篤性はアからイの基準に照らして明確である。すなわち、生命に重大な影響がある致死的な疾患であり、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である。国内で報告されている5年生存率は6.7%ときわめて低い。</p> <p>(2) 医療上の有用性については、国内ではGEMが2001年に承認され膵癌に対する標準的な治療薬として用いられているが、承認後も膵癌が予後の極めて不良な疾患であることに変わりはない。また、テガフル・ギメラシル・オテラシルカリウム配合剤(S-1)が2006年に膵癌を適応症として承認されたが、申請に用いられた臨床試験は奏効率を主要評価項目としたものであり、生存期間に関する有効性は示されていない。したがって、現時点において生存期間でGEMを上回る成績を示した薬剤は本邦には無く、生存期間に関してベネフィットを持つ、新たな薬剤の上市が望まれている。</p> <p>そのような状況下において、本剤はGEMとの併用によりGEM単剤に比べ生存期間を延長することを無作為化比較試験で確認した初めての薬剤として2005年11月に米国で承認され、欧州においても2007年1月に承認された。これ以降も、現在まで海外において膵癌を適応症として承認された薬剤は存在しない。8-4-1)に述べたように、本剤とGEMの併用療法に関しては推奨が適切であるという点でNCCN内のコンセンサスは統一されており、本邦においても必要性の高い薬剤と考える。</p>
9)	国内開発の状況 (該当するものにチェックする)	<input type="checkbox"/> 治験開始前 <input type="checkbox"/> 治験実施中 <input checked="" type="checkbox"/> 承認審査中 <input type="checkbox"/> 承認済み  <input type="checkbox"/> 国内開発なし <input type="checkbox"/> 国内開発中止