

医療上の必要性が高いとされた品目に係る 専門作業班（WG）の検討状況

目 次

代謝、その他 WG	1	循環器 WG	7
<代謝性疾患用薬分野>		<循環器器官用薬分野>	
本邦における未承認薬	2	本邦における未承認薬	8
		本邦における適応外薬	8
<その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）>		<生殖器官用薬分野>	
本邦における未承認薬	3	本邦における適応外薬	12
本邦における適応外薬	4		
		<体内診断用薬分野>	
		本邦における未承認薬	14
		本邦における適応外薬	14

目 次（つづき）

精神・神経 WG	17	抗がん WG	27
<精神・神経用薬分野>		<抗がん剤分野>	
本邦における未承認薬.....	18	本邦における未承認薬.....	28
本邦における適応外薬.....	19	本邦における適応外薬.....	29
抗菌・抗炎症 WG	21	生物 WG	33
<抗菌薬分野>		<血液製剤分野>	
本邦における未承認薬.....	22	本邦における未承認薬.....	34
本邦における適応外薬.....	22	本邦における適応外薬.....	34
<抗炎症薬・呼吸器管用薬分野>		<ワクチン分野>	
本邦における適応外薬.....	24	本邦における未承認薬.....	35
		小児 WG	37
		本邦における未承認薬.....	38
		本邦における適応外薬.....	39

代謝、その他 WG

<代謝性疾患用薬分野>

本邦における未承認薬…………… 2

<その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）>

本邦における未承認薬…………… 3

本邦における適応外薬…………… 4

1. 代謝・その他WG
○代謝性疾患用薬分野

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に 関 係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
293	日本小児神経学会 日本先天代謝異常学会	ミグルスタット	Zavesca	アクテリオンファーマ シューティカルズジャ パン	①小児例から成人例のNiemann-Pick病C型 (ニーマン・ピック病C型)及び②酵素補充療 法が有効ではないまたは継続できない成人 のGaucher病I型(ゴーシェ病I型)	○	①については、国内患者に対する ミグルスタットの安全性と薬物動態 を検討する臨床試験等を平成22年 中に開始する予定。 ②については、平成22年中に、要 望者と相談の上、国内患者に対す るミグルスタットの適応の妥当性等 について検討を行い、方針を決定 する予定。	①について、代謝・その他WG及び小児WGは、国 内の用法・用量設定のため、日本人健康成人を対 象とした薬物動態試験が必要と考える。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

1. 代謝・その他WG

○その他分野(消化器官用薬、解毒剤、その他)

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
11	日本核医学会 日本医学放射線学会	Ca-DTPA	Ditripentat-Heyl (独)、Pentetate calcium trisodium injection(米)	日本メジフィジックス	(独)放射性金属(アメリシウム、プルトニウム、キュリウム、カリホルニウム、バークリウム)中毒の長期治療 (米)プルトニウム、アメリシウム、キュリウム体内汚染が判明した、またはその疑いのある患者の汚染物質の排泄の促進		平成22年11月頃承認申請予定。	
13	日本核医学会 日本医学放射線学会	Zn-DTPA	Zink-trinatrium- pentetat(独)、 Pentetate Zinc Trisodium Injection (米)	日本メジフィジックス	(独)放射性金属(アメリシウム、プルトニウム、キュリウム、カリホルニウム、バークリウム)中毒の長期治療 (米)プルトニウム、アメリシウム、キュリウム体内汚染が判明した、またはその疑いのある患者の汚染物質の排泄の促進		平成22年11月頃承認申請予定。	
177	個人	デクスラゾキサソ	Totect(米)、Savene (英、独、仏)	(国内関係企業なし)	アントラサイクリン系薬剤静脈内投与による 血管外漏出			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
287	日本中毒学会 財団法人日本中毒情報センター	ホメピゾール	Antizol(米、英、独)、 Fomepizole(仏)	(国内関係企業なし)	エチレングリコール中毒、及びメタノール中毒の治療			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
306	日本中毒学会 財団法人日本中毒情報センター	メチレンブルー	Methylene Blue Injection, 1%	(国内関係企業なし)	薬剤性のメトヘモグロビン血症			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
348	小児腎臓病学会 日本内分泌学会 厚生労働科学研究費補助金難 治性疾患克服研究事業ホルモ ン受容機構異常に関する調査 研究班	経ロリン酸塩製剤	Phosphate Sandoz (英)、PhosphoNeuros (仏)	ゼリア新薬工業	①原発性低リン血症性くる病、②Fanconi症 候群、③低リン血症	○	①については、原発性低リン血症 性くる病患者における用法・用量を 確認する臨床試験等を平成22年 中に開始する予定。 ②③については、原発性低リン血 症性くる病の臨床試験結果が出た 時点で、当該結果と既存情報を合 わせ、公知申請の可能性を再検討 する。 また、③については、以下の理由 から慢性低リン血症として評価し た。 低リン血症とは、単に血清の無機 リン濃度が成人および年長児まで は2.5mg/dl以下、年少児では 4.0mg/dl以下の場合を指す。この ため、消化管からの吸収不良・栄 養不良のような一過性・急性の低 リン血症も含むこととなり、医療上 の必要性について一概に評価が 不可能である。 日本内分泌学会及び厚生労働省 難治性疾患克服研究事業ホルモ ン受容機構異常に関する調査研 究班の要望書では、医療上の必要 性の論拠として、くる病・骨軟化症 といった症状の重篤性を挙げてお り、急性の低リン血症ではくる病・ 骨軟化症をきたさないことと考え合 わせると、要望書の「低リン血症」 は慢性の低リン血症を指すと考え られる。	要望内容①に関連する治験相談を実施済みであ る。
358	個人	亜セレン酸ナトリウム		(国内関係企業なし)	セレン欠乏症により生じる重篤な視力障害、 神経障害、心筋障害、毛髪変化の改善			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品であ る。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
176	日本臨床腫瘍学会 卵巢がん体験者の会スマイ リー	デキサメタゾン(4mg 錠)		(国内関係企業なし)	4mg製剤の剤形追加 [抗悪性腫瘍剤(シスプラチンなど)投与に伴 う消化器症状(悪心・嘔吐)]			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品であ る。

要望 番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
304	小児腎臓病学会	メチルプレドニゾン コハク酸エステルナ トリウム	ソル・メドロール静注 用	ファイザー	ネフローゼ症候群	○	米国においては既にネフローゼ症候群に対する効能・効果で承認されており、小児の用法・用量も設定されている。また、国内においてもステロイド抵抗性ネフローゼ症候群の治療ガイドラインに記載があるなど、医療現場でこれまでに広く患者の治療に用いられていることから、公知申請を希望する。	WGで詳細に検討中。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

循環器 WG

<循環器器官用薬分野>

本邦における未承認薬	8
本邦における適応外薬	8

<生殖器官用薬分野>

本邦における適応外薬	12
------------	----

<体内診断用薬分野>

本邦における未承認薬	14
本邦における適応外薬	14

2. 循環器WG
○循環器器官用薬分野

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
50	特定非営利法人PAHの会	イロプロスト	Ventavis	バイエル薬品	肺動脈性肺高血圧症		治験実施予定	臨床データパッケージについて、治験相談が必要。
96	日本老年精神医学会 若年認知症オアシス虹の会 社団法人 認知症の人と家族 の会 若年認知症家族会・彩星の会	ガラタミン	ラザダイン(米国)、 レミニール(英国)	ヤンセンファーマ	軽度から中等度のアルツハイマー型認知症		承認申請中	
202	日本心不全学会 日本循環器学会	トルバブタン	サムスカ錠	大塚製薬	心性浮腫		承認申請中	
203	特定非営利法人PAHの会	トレプロスチニル	リモジュリン	持田製薬	肺動脈性肺高血圧症		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
319	日本老年精神医学会 社団法人 認知症の人と家族 の会	メマンチン	ナメンダ(米)、 エビクサ(英、独、仏)	第一三共	アルツハイマー型認知症		承認申請中	
341	日本老年精神医学会 社団法人 認知症の人と家族 の会	リバスチグミン	エクセロンパッチ	ノバルティスファーマ	軽度から中等度のアルツハイマー型認知症		承認申請中	

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
27	日本心不全学会 日本循環器学会 日本心血管インターベンション 治療学会 日本不整脈学会	アミオダロン	アンカロン錠100	サノフィ・アベンティス	心不全を伴う心房細動		承認申請中	

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
33	日本小児循環器学会	アムロジピン ベシル酸塩	ノルバスク錠 アムロジン錠	ファイザー 大日本住友製薬	小児適応の追加(高血圧症)	○	海外において、小児の高血圧症患者を対象に第Ⅲ相試験を実施し、アムロジピン 1日2.5mg～5mgの有効性、及び安全性が確認され、この試験成績により、アムロジピンの小児に対する用量が承認されている。また、国内外の総説、解説記事、代表的な教科書およびガイドラインに、アムロジピンによる小児における高血圧症治療に関する記載がある。 以上のことから、公知申請を希望する。	要望者に問い合わせ中
64	日本小児腎臓病学会 日本小児循環器学会	エナラプリル マレイン酸塩	レニペース錠	萬有製薬	小児適応の追加(高血圧症)	○	小児における高血圧症の適応は、臨床試験成績に基づき、2010年5月現在、23ヵ国以上の国と地域において承認されている。また、本邦の高血圧治療ガイドライン2009(日本高血圧学会)においても、本剤は有効性・安全性が確立された第一選択薬として位置づけられている。さらに、本剤の小児への投与は保険適応が認められており、使用実績がある(審査支払機関における診療報酬請求に関する審査情報提供事例について、平成19年9月21日)。 以上のことから、公知申請を希望する。 なお、米国における添付文書では、少量投与若しくは嚥下できない患者に対しては、本剤の懸濁液の調製方法が記載されているが、調製に用いられるクエン酸緩衝液[Bicitra(登録商標)]及びシロップ[Ora-Sweet SF(登録商標)]は、本邦では入手ができない。「調剤指針(第12改訂)」等を参照すると本邦の臨床現場では、小児等のように様々な用量に調整して処方する場合や規格単位(錠剤、カプセル)に合わない場合は、調剤時に錠剤を粉砕し、自己製剤化して処方されている。したがって、これまで本邦で慣例的に行われている処方・調製の範囲で患者に合わせて用法・用量を調節することを想定している。なお、米国本社では、新たな製剤開発の計画はない。	要望者に問い合わせ中

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
65	日本心血管インターベンション 治療学会	エノキサパリンナトリ ウム	エノキサパリン	サノフィ・アベンティス	急性冠症候群におけるPCI施行時に使用			要望者、及び企業に問い合わせ中
70	日本心不全学会 日本循環器学会	エブレノン	セララ錠 25mg、 50mg、100mg	ファイザー	心筋梗塞後の心不全		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
230	日本小児腎臓病学会	バルサルタン	ディオバン錠	ノバルティス ファーマ	小児適応の追加(高血圧症) 小児用製剤の追加	○	使用実態調査、及び治験の実施 予定。	小児適応の追加(高血圧症)については、国内外 で使用されている製剤が異なることから、治験の 実施が必要であると判断。要望者に問い合わせ 中。 小児用製剤の追加については、企業に問い合わ せ中。
231	一般社団法人日本頭痛学会 日本神経学会	バルプロ酸ナトリウム	デパケン、 デパケン R	協和発酵キリン	片頭痛の予防		米国では承認されており、欧米及 び本邦における神経内科学教科 書や頭痛診療ガイドラインが、片頭 痛の予防に対してバルプロ酸の使 用を推奨している。また、外因的・ 内因的民族的要因の検討から、海 外の臨床試験成績の本邦への外 挿は可能と考えている。なお、本邦 においても、米国承認用量と類似 する範囲で、バルプロ酸の片頭痛 予防に対する有効性を示す報告が 蓄積され、国内てんかん患者及び 双極性障害患者への投与経験か ら、長期投与における安全性も確 認されている。以上より、公知申請 を希望する。	企業に問い合わせ中。
244	日本心不全学会 社団法人日本循環器学会	ビソプロロールフマル 酸塩	メインテート	田辺三菱	慢性心不全		海外での大規模プラセボ対照二重 盲検比較試験、総説、及びメタア ナリシスにおいて、その有用性が 示され、国際的標準教科書及び日 米欧の慢性心不全治療ガイドラ インで慢性心不全における標準的治 療薬として推奨されている。また、 国内慢性心不全患者における適 応外の使用実績についても学術論 文や学会報告等で多数報告されて いる。以上より、公知申請を希望す る。	企業に問い合わせ中。

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
273	日本神経学会 一般社団法人日本頭痛学会 個人	プロプラノロール塩酸 塩	インデラル	大日本住友	片頭痛の予防		欧米4カ国において承認されており、また、国際的に信頼できる学術雑誌に掲載された科学的根拠となり得る論文や国際機関で評価された総説がある。 以上のことから、公知申請を希望する。しかしながら、今後、関連学会の協力を得て、日本人での用量に関する使用実態調査等の内容を検討する。	使用実態調査の結果を踏まえて検討予定。 企業に問い合わせ中。
282	日本小児循環器学会	ベラパミル塩酸塩	①ワソラン静注5mg ②ワソラン錠40mg	エーザイ	小児適応の追加(上室性の頻脈性不整脈)	○	注射剤: 米、英及び独において承認され、小児の標準的教科書(Nelson Textbook of Pediatrics 18th edition)に小児用量が記載されている。また、国内外のオープン試験において有用性が示されている。 経口剤: 英、独及び仏において承認され、小児の標準的教科書(Nelson Textbook of Pediatrics 18th edition)に小児用量が記載されている。また、国内のオープン試験において、有効性を示す報告があり、国内の薬物治療ガイドラインで小児用量の記載がある。 以上のことから、公知申請を希望する。	企業に問い合わせ中。
331	日本小児腎臓病学会	リシノプリル	ロンゲス錠 ゼストリル錠	アストラゼネカ 塩野義製薬	小児適応の追加(高血圧症)	○	米国において小児の高血圧症に対する承認を有しており、医療における相当の使用実績がある。また、国際的に信頼できる学術雑誌に掲載された科学的根拠となり得る論文がある。 以上のことから、公知申請を希望する。	要望者に問い合わせ中。
357	日本小児循環器学会	ワルファリンカリウム	ワーファリン錠0.5mg、 1mg、5mg	エーザイ	小児適応の追加(血栓塞栓症の治療及び予防)	○	公知申請を希望する。	循環器WGは、提出された資料から、公知申請を行うことは妥当と考える(「公知申請への該当性に係る報告書(案)」参照)。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

2. 循環器WG
○生殖器官用薬分野

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
180	中枢性尿崩症(CDI)の会 個人	デスマプレシン酢酸塩	DDAVP Tablets	フェリングファーマ	中枢性尿崩症に対する経口剤の剤形追加	○	治験相談予定	治験相談利用予定あり(平成22年年9月)。
270	日本更年期医学会 日本産科婦人科学会	プロゲステロン	Utrogestan(英、仏) Prometrium(米) Utrogest(独)	国内関連企業なし(富 士製薬より開発の意 思の申し出)	子宮非摘出閉経女性におけるホルモン補充 療法(HRT)の補助に対する経口剤の剤形追 加		【開発の意思の申し出をした富士 製薬の見解】 効能・効果については、欧米4カ国 を含む世界各国において承認さ れ、多くの使用実績がある。なお、 婦人科及び内科で有名な教科書 (婦人科:Berek and Novak's Gynecology 14th edition、内科: Cecil MEDICINE 23rd edition)にお いて、経口剤の使用方法が記載さ れており、北米閉経学会、国際閉 経学会及び本邦のHRTのガイドラ インにおいても天然型プロゲステロ ンについて記載されている。また、 大規模な無作為化試験の報告、及 び総説においてもプロゲステロン 経口投与の有用性について評価さ れている。 ただし、経口剤は本邦においては 未承認である。 以上のことから、公知申請を希望 する。	当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品であ る。 当該医薬品は「新投与経路医薬品」に該当し、日 本人を対象として薬物動態を検討する臨床試験の 実施が必要と考える。
271	日本受精着床学会 NPO法人Fine	プロゲステロン	Utrogestan(英、仏) Prometrium(米) Utrogest(独)	国内関連企業なし(富 士製薬より開発の意 思の申し出)	体外受精-胚移植(IVF-ET)の際の黄体補充 に対する経腔剤の剤形追加		【開発の意思の申し出をした富士 製薬の見解】 効能・効果については、仏におい て承認されており、経腔剤の当該 効能に関する総説、メタ・アナリシ ス、無作為化比較試験が多数存在 することから多くの使用実績がある と考えられる。なお、婦人科で有名 な教科書(Berek and Novak's Gynecology 14th edition)にお いて、経腔剤の使用方法が記載され ており、米国生殖医学会及び本邦 の生殖医療ガイドラインにおいても 経腔投与について記載されてい る。 ただし、経腔剤は本邦においてが 未承認である。 以上のことから、公知申請を希望 する。	当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品であ る。 当該医薬品は「新投与経路医薬品」に該当し、日 本人を対象として薬物動態を検討する臨床試験の 実施が必要と考える。

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
363	日本産科婦人科学会	抗D(Rho)人免疫グロブリン	抗D(Rho)人免疫グロブリン-Wf	日本製薬 ベネシス	Rh(D)陰性の妊婦及び女性に対し、以下の場合に投与することにより、母体血液中での抗D(Rho)抗体の産生を抑制し、血液型不適合の成立を抑制。妊娠28週投与、検査・処置後(羊水検査、臍帯血検査、児頭外回転の実施)、流産後、子宮外妊娠後、子宮内胎児死亡後における投与		要望の効能の多くが欧米のRhIGで承認され、教科書、ガイドライン等でも本剤の投与が推奨されている。また、日本産科婦人科学会、日本産婦人科医学会が作成した産科診療ガイドラインにおいても、妊娠28週前後での投与、自然及び人工流産後、子宮外妊娠後、羊水穿刺(絨毛生検、胎児血採取)後に本剤の投与が推奨されていることから、RhIGのエビデンスレベルは高いと考える。 以上のことから、公知申請を希望する。	企業に問い合わせ中。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

2. 循環器WG

○体内診断用薬分野

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
5	(社)日本脳神経外科学会	5-アミノレプリン酸塩 酸塩	Gliolan	ノーベルファーマ	悪性神経膠腫(WHOグレードⅢ及びⅣ)に対する手術における悪性組織の視覚化		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
12	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会	Ioflupane 1123 Injection	DaTSCAN	日本メジフィジックス	特発性パーキンソン病(PD)に関連するPS、多系統萎縮症(MSA)、及び進行性核上麻痺(PSP)から本態性振戦(ET)の鑑別診断		これまでに実施した国内外の臨床試験成績を使用したデータパッケージにより、申請できると考える。	治験相談(申請前相談)利用予定あり(平成22年12月頃)。
51	一般社団法人日本核医学会 日本内分泌学会 日本医学放射線学会	インジウム(111In)ペンテトレオチド	OctreoScan	コヴィディエンジャバン	シンチグラフィによるソマトスタチン受容体を有する原発性及び転移性の神経内分泌腫瘍の診断		既に実施済みの国内臨床試験及び海外で実施された臨床試験、既存の文献及び海外のガイドライン等から、本剤の有効性・安全性などは十分に示されていると考える。	治験相談(申請前相談)利用予定あり(平成23年2月頃)。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
2	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会 日本内分泌学会	3-ヨードベンジルグアニジン(123I)	ミオMIBG-I 123注射液	富士フイルムRIファーマ	褐色細胞腫の診断		「ミオMIBG-I123注射液」と同一有効成分を含む123I-MIBG製剤が欧米4カ国等で承認されており、国内においても、(社)日本アイソトープ協会及び弊社がそれぞれ実施した実態調査で相当数の使用実績がある。さらに、本品の有効性及び安全性は、国内外の公表文献及び成書等の記載内容からも明らかである。以上のことから、公知申請を希望する。	WGで詳細に検討中。

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
55	(社)日本脳神経外科学会	インドシアニングリーン	オフサグリーン	第一三共	脳主幹動脈の血流状態観察(赤外線照射時の蛍光測定による)		本邦では医療機器の導入が先行していることから、医療機器販売企業に対して当該企業が保有するICGの実地応用における情報の提供を受けるとともに、当該医療機器を導入済の医療機関からも情報を収集することが必要と考える。現在得られている文献情報に加え、投与後の至適観察時期、血流観察に不適な部位・条件を含め海外における知見が国内における使用の実態調査の中でも再現よく確認できれば、公知申請に該当すると思う。なお、使用実態の情報を承認申請に活用するとともに、製造販売後の適正使用に反映することとする。	企業に問い合わせ中。
246	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会	ヒトチロトンペンアル ファ(遺伝子組換え)	タイロゲン筋注用 0.9mg	佐藤製薬	分化型甲状腺癌で甲状腺全摘または準全摘を施行された患者における残存甲状腺組織の放射性ヨウ素によるアブレーション(甲状腺機能廃絶)を受ける際の補助		放射性ヨウ素を用いた残存甲状腺のアブレーションは本邦において、一般的な甲状腺癌治療法であり、本剤の診断補助とアブレーション補助の作用機序は同じである。また、診断補助剤として、放射性ヨウ素の甲状腺組織への取込みを促進することが本邦において実証され、本邦における臨床試験では、海外と同様の有効性が示されている。なお、欧米の関連学会のガイドラインでは、本剤のアブレーションの補助での使用が推奨されている。したがって、海外における診断補助とアブレーション補助の用法用量が同じであること、国内外の診断補助の用法用量が同じであることから、国内においても、アブレーションの用法用量は、海外のアブレーションの用法用量が外挿できる。また、安全性は、診断補助の適応において、使用成績調査(全例)を実施しており、少数例の治験よりも多くのデータが収集できている。以上のことから、外国における資料による公知該当性を希望する。	既承認の「分化型甲状腺癌で甲状腺全摘又は準全摘術を施行された患者における、放射性ヨウ素シンテグラフィーと血清サイログロブリン(Tg)試験の併用又はTg試験単独による診断の補助」について、全例調査中であることも踏まえ、要望の適応についての臨床データパッケージの組み方等について検討する必要がある。企業に問い合わせ中。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

精神・神経 WG

<精神・神経用薬分野>

本邦における未承認薬…………… 18

本邦における適応外薬…………… 19

3. 精神・神経WG
○精神・神経用薬分野

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に 関 係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
6	日本アルコール精神医学会 日本アルコール関連問題学会 日本アルコール・薬物医学会	Acamprosate (INN)	Campral(米、英、独、 仏)、Aotal(仏)	日本新薬	アルコール依存症患者における抗酒療法		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
81	日本てんかん学会 日本小児神経学会	Oxcarbazepine (INN)	Trileptal(米、英、独、 仏)	ノバルティス ファーマ	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められ ない小児の部分発作の併用療法	○	治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
105	個人 全国多発性硬化症友の会	Glatiramer acetate (USAN)	Copaxone	テバファーマスーティ カル	多発性硬化症の再発予防		欧米において標準的治療薬として 使用されていること、本剤を個人輸 入している日本人患者の主治医か ら入手した臨床経過記録(平成22 年6月現在7例)によれば有効性及 び安全性に大きな問題が生じてい ないこと等を勘案し、本剤をでき るだけ早く我が国の患者に提供す べく告知申請を希望する。しかしな がら、日本人患者における臨床試験 の成績を得ることは重要と考え、 開始した臨床試験は継続し、その 有効性及び安全性に関する最新 のデータを適宜報告する所存であ る。なお、本剤は平成21年3月10日 付で希少疾病用医薬品に指定され ている。	当該医薬品は「新有効成分含有医薬品」に該当 し、承認申請時において日本人における当該医薬 品の有効性及び安全性をより慎重に評価する必 要があり、その際に日本人を対象とした臨床試験 成績は重要である。また、精神・神経WGは、本剤 は希少疾病用医薬品に指定されており、本邦では 集積可能な多発性硬化症患者の症例数が限られ ていることは理解するが、本剤を個人輸入してい る日本人患者の臨床経過記録等のデータのみで は日本人患者における本剤の有効性及び安全性 の評価が十分ではないと考えられることから、承 認申請時には、少なくとも、治験相談を踏まえ実 施した臨床試験成績が必要と考える。
156	日本てんかん学会 日本小児神経学会	Stiripentol (INN)	Diacomit	明治製菓	乳児重症ミオクローニーてんかん	○	治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
205	個人 全国多発性硬化症友の会	Natalizumab	Tysabri	バイオジェン・アイデッ ク・ジャパン	多発性硬化症		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
286	日本てんかん学会 日本小児神経学会	ホスフェニトインナトリ ウム水和物(JAN)	Cerebyx(米)、Pro- Epanutin(英)、Pro- Dilantin	ノーベルファーマ	てんかん重積状態、脳外科手術前・術中・術 後及び頭部外傷後にけいれん発作の出現 が濃厚に疑われる場合、並びに経口フェニ トイン製剤の投与が不可能又は不適切な場合 の代替	○	治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
349	日本てんかん学会 日本小児神経学会	Rufinamide (INN)	Inovelon(欧州)、 Banzel(米)	エーザイ	レノックス・ガストー症候群(4歳以上)に伴う 発作に対する併用療法	○	治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
352	日本てんかん学会 日本小児神経学会	レベチラセタム	Keppra	ユーシービー・ジャパン	① 4歳以上の小児てんかん患者における 部分発作に対する併用療法 ② 6歳以上(欧州では12歳以上)の特発性 全般てんかん患者における強直間代発作に 対する併用療法	○	①については、治験実施中。②に ついては、「4歳以上の強直間代発 作に対する併用療法を対象とした 臨床試験」等を2010年中に開始す る(予定)。	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。

注) 専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に 関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
9	厚生省特発性局所多汗症診療ガイドライン作成班	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注50、ボトックス注100	グラクソ・スミスクライン	腋窩多汗症		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
23	あどれす患者会	アトモキセチン塩酸塩	ストラテラカプセル	日本イーライリリー	成人期(18歳以上)における注意欠陥/多動性障害(AD/HD)の効能追加		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
89	日本てんかん学会 日本小児神経学会	ガバペンチン	ガバペン錠	ファイザー	てんかん部分発作の小児適応の追加	○	治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
193	日本てんかん学会 日本小児神経学会	トピラマート	トピナ錠	協和発酵キリン	2-16歳の小児における部分発作に対する併用療法	○	治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
199	日本線維筋痛症学会	トラマドール塩酸塩	トラマールカプセル	日本新薬	経口剤の剤型追加、効能・効果は線維筋痛症		治験実施中(対象:慢性非がん性疼痛)	治験相談利用予定あり(2010年8月頃)。
200	個人	トラマドール塩酸塩	徐放錠: Ultram ER, Ryzolt(米)、Zydol SR, Tramulief SR 他(英)、Tramal, Amadol, Tial 他(独)、Contramal, Topalgic 他(仏)	日本臓器製薬	経口徐放剤の剤型追加、効能・効果は慢性疼痛		治験実施中	治験相談利用予定あり(2010年10月頃)。
269	日本口腔顔面痛学会	ブレガバリン	リリカカプセル	ファイザー	歯科治療後神経障害性疼痛		承認申請中 (歯科治療後神経因性疼痛を含む「末梢性神経障害性疼痛」として承認申請中)	

注) 専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

抗菌・抗炎症 WG

< 抗菌薬分野 >

本邦における未承認薬…………… 22

本邦における適応外薬…………… 22

< 抗炎症薬・呼吸器管用薬分野 >

本邦における適応外薬…………… 24

4. 抗菌・抗炎症WG

○抗菌薬分野

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
20	日本エイズ学会 東京HIV診療ネットワーク	アトバコン	Mepron	グラクソ・スミスクライ ン	ニューモシスチス肺炎の治療、予防		平成23年3月頃、承認申請予定。	企業において申請準備中。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
60	日本結核病学会 社団法人 日本呼吸器学会 東京HIV診療ネットワーク	エタンプトール塩酸塩	エサンプトール エプトール	サンド 科研製薬	非結核性抗酸菌および非結核性抗酸菌症		日、米、英の非結核性抗酸菌症の 治療に対する各種学会診療ガイド ライン及び国際的に評価されてい る教科書において、本剤は推奨ま たは標準的治療薬とされている。 また、いくつかの無作為比較試 験等に関する公表論文、さらに国 内外での使用実績等も勘案し、公 知申請を希望する。	企業に問い合わせ中。
129	社団法人日本化学療法学会	コリスチンメタンスル ホン酸ナトリウム塩	Coly-Mycin M	国内関連企業なし(グ ラクソ・スミスクライ ンが開発の意思の申し 出)	注射剤の剤形追加 多剤耐性緑膿菌、多剤耐性アシネトバクター 属、その他の多剤耐性グラム陰性菌による 各種感染症		(開発の意思の申し出をしたグラク ソ・スミスクラインの見解) 平成22年10月頃、治験実施予定。	当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
313	日本感染症教育研究会 社団法人日本感染症学会 東京HIV診療ネットワーク 厚生労働科学研究費補助金・ 政策創薬総合研究事業「輸入 熱帯病・寄生虫症に対する稀 少疾病治療薬を用いた最適な 治療法による医療対応の確立 に関する研究」班	メロニダゾール	フラジール内服錠	塩野義製薬	嫌気性菌感染症、アメーバ赤痢、ランブル鞭 毛虫感染症		今回申請予定の効能・効果は、欧 米四カ国で既に承認されており、コ クランレビューあるいは各ガイド ラインにおいても記載され、科学的 根拠となりうる論文も国際的に信 頼できる学術雑誌に掲載されてい る。 国内でも診療・治療ガイドライン等 に記載され、本剤の使用が推奨さ れている。 国内患者数が非常に少ないため、 国内では比較試験等が実施され ていないものの、臨床現場では第一 選択薬として使用されている点を 併せると、臨床使用実態は充足し ていると考えられたため、公知申 請を希望する。	企業に問い合わせ中。

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
315	社団法人 日本産科婦人科学会 日本周産期新生児学会 性の健康医学財団	メトロニダゾール	フラジール内服錠・腔錠	塩野義製薬	流産・早産、産褥子宮内膜炎、帝王切開後感染症の原因となる細菌性膣症の治療		本薬の細菌性膣症に対する有効性は国外・国内ともに認められ、米国CDCの性感染症治療ガイドラインにおいても推奨療法として位置づけられている。 また、早産防止についてのエビデンスは混沌としているものの、現時点では早産ハイリスク妊婦に対する早産防止効果が強く示唆されている。 加えて、国内においては適応外であるものの、複数のガイドラインで本剤の使用が推奨されていることから医学薬学上公知であるともみなすことが出来ると考え、公知申請を希望する。	企業に問い合わせ中。
316	日本感染症教育研究会 社団法人 日本感染症学会 厚生労働科学研究費補助金・政策創薬総合研究事業「輸入熱帯病・寄生虫症に対する稀少疾病治療薬を用いた最適な治療法による医療対応の確立に関する研究」班	メトロニダゾール	Metronidazole Injection	国内関係企業なし	静注剤の剤形追加 嫌気性菌感染症、アメーバ赤痢			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
342	日本結核病学会 社団法人 日本呼吸器学会	リファンピシン	リファジン リマクタン	第一三共 サンド	非結核性抗酸菌および非結核性抗酸菌症		成書や国内外の各種ガイドラインにおいて標準的な治療薬として位置づけられている。 また、国内ではMAC症を中心とした非結核性抗酸菌症に対し、ほぼ国内外のガイドラインに準じて本剤を含む多剤併用投与が行われた結果、当該感染症に対する治療の臨床効果は認められているものと判断したため、公知申請を希望する。	企業に問い合わせ中。

注) 専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

4. 抗菌・抗炎症WG

○抗炎症薬・呼吸器官用薬分野

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
17	厚生労働省難治性血管炎に関する調査研究班	アザチオプリン	アザニン イムラン	グラクソ・スミスクライン 田辺三菱製薬	顕微鏡的多発血管炎及びWegener肉芽腫症		外国人については、無作為化比較試験により本剤の有効性が確認されている。また、国内のガイドラインにおいてもシクロホスファミドを本剤に切り代えることにより安全性上のベネフィットがある本剤が推奨されており、日本人においても同様に有効であると考えられる。本剤の安全性については、海外の無作為化比較試験により確認されており、用法・用量も国内既承認の範囲内であることから、本剤の安全性に大きな問題はないと考えられる。以上のことから、公知申請を希望する。	WGで詳細に検討中。
132	日本ハンセン病学会	サリドマイド	サレドカプセル	藤本製薬	らい性結節性紅斑		米国では、1998年にENLの承認がされており、医療における使用実績が既にある。日本においては、教科書及び学会の診療ガイドラインにも、ENLに対するサリドマイドの治療効果が有効であることが明記されている。またCochrane reviewの評価ではより質の高い規模の大きい試験でのエビデンスが必要とされているものの、8報の小規模な無作為化比較試験によりENLに対するサリドマイドの有効性は示されている。ENLに対するサリドマイドの使用量について、海外では1日100-300mgである。また、国内の使用実態より国内では1日50-300mgで使用されていた。このように海外と国内では、サリドマイド使用量に大差はなく、人種差はないと考えられる。以上のことから、公知申請を希望する。	WGで詳細に検討中。
137	日本リウマチ学会	シクロホスファミド水和物	エンドキサン錠・注射用	塩野義製薬	全身性血管炎の寛解導入効果	○	公知申請を希望する。	抗菌・抗炎症WGは、提出された資料から、公知申請を行うことは妥当と考える(「公知申請への該当性に係る報告書(案)」参照)。
138	日本リウマチ学会	シクロホスファミド水和物	エンドキサン錠・注射用	塩野義製薬	全身性エリテマトーデスの難治性病態の寛解導入効果	○	公知申請を希望する。	抗菌・抗炎症WGは、提出された資料から、公知申請を行うことは妥当と考える(「公知申請への該当性に係る報告書(案)」参照)。

要望 番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
140	厚生労働省難治性血管炎に関する調査研究班	シクロホスファミド水和物	エンドキサン錠・注射用	塩野義製薬	多発性血管炎、weganar肉芽腫症	○	公知申請を希望する。	抗菌・抗炎症WGは、提出された資料から、公知申請を行うことは妥当と考える(「公知申請への該当性に係る報告書(案)」参照)。

注) 専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

抗がん WG

<抗がん剤分野>

本邦における未承認薬	28
本邦における適応外薬	29

5. 抗がんWG
○抗がん剤分野

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注	特記事項等
15	日本臨床腫瘍学会 特定非営利活動法人血液情報 広場・つばさ 個人	アザシチジン	ビダーザ注射用	日本新薬	骨髄異形成症候群		承認申請中	
26	個人 慢性骨髄増殖性疾患患者・家 族会	アナグレリド	Xagrid(欧州) Agrimil(米国)	シャイアー ファーマ シューティカルズ ア イルランド リミテッド	本態性血小板血症の治療		治験開始前(平成22年中に治験着 手予定)	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
104	日本脳腫瘍学会	Carmustine	Gliadel Wafer(米国) Gliadel Implant(欧州)	ノーベルファーマ	悪性神経膠腫		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
157	個人	Streptozocin	Zanosar	ノーベルファーマ	転移を有する悪性内分泌腫瘍・神経内分泌 腫瘍・カルチノイド腫瘍		米国及び仏国で承認されており多 くの使用実績があること、国際的に 使用されている教科書・成書、総 説及びガイドラインに記載があり、 エビデンスレベルの高い雑誌にも 掲載されていること、国内で個人 輸入による使用経験の臨床報告 があること等を勘案し、本剤を中心 とした多剤併用療法の臨床的位置 付けは医学薬学上公知であると考 えており、公知申請することは妥当 と考えた。	当該医薬品は「新有効成分含有医薬品」に該当 し、承認申請において日本人における当該医薬品 の有効性及び安全性をより慎重に評価する必要 があり、その際に日本人を対象とした臨床試験成 績は重要である。 日本人患者における情報は、個人輸入での使用 経験に限られており、当該情報から日本人患者に おける本剤の安全性及び有効性について、評価 することは困難と考える。少なくとも、本邦にお ける製造販売後に注意・着目すべき安全性に関 する情報を承認申請前に得おく必要があり、小規 模でも日本人患者を対象とした臨床試験の実施は 必要と考える。なお、具体的な試験の実施方法等 については、機構と治験相談を実施することを推 奨する。
171	日本呼吸器内視鏡学会 社団法人日本呼吸器学会 日本臨床腫瘍学会	タルク	STERITALC	ノーベルファーマ	悪性胸水の再貯留抑制		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、 かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
182	個人	Denileukin diftitox	ONTAK(米国)	TSD Japan	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		治験開始前	治験相談利用予定あり(平成22年11月頃)。 企業見解によると、CTCLの患者数が少ないことや グローバルでの開発計画方針等から、まずCTCL とは異なる疾患を対象として開発計画が開始され る予定である。企業は、CTCLに対する開発の促 進を考慮して開発計画の再考をすべきであり、機 構との治験相談において、CTCLを対象とした開発 計画について議論することを推奨する。 なお、本薬については、企業見解において以下の 状況が説明されている。 ・米国で承認条件とされた原薬の純度改善につ いて、改善目処がついたため、新製剤への切替えに 関する協議をFDAと実施した後に本邦での開発を 開始すると説明されている。したがって、本邦での 開発着手が遅れる可能性があること ・欧州では、製剤の品質の観点、臨床試験成績の 評価について、否定的な見解が示された。このこ とから、申請を取下げた経緯があること

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
266	個人	フルベストラント	フェソロデックス筋注用	アストラゼネカ	閉経後進行・再発乳癌		承認申請中	
291	特定非営利活動法人グループ・ネクサス	ボリノスタット	ゾリンザカプセル	万有製薬	皮膚T細胞性リンパ腫		承認申請中	
359.3	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人	アルデスロイキン	Proleukin(米国)	国内関連企業なし	悪性黒色腫			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
53	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人	インターフェロン アルファ-2b	イントロンA注射用	シエリング・ブラウ	悪性黒色腫		悪性黒色腫患者に対する本剤の用法・用量(導入2000万IU/m ² 静脈内投与、維持1000万IU/m ² 皮下投与)は、本邦の最大承認用量(1000万国際単位筋肉内投与)よりも高く、かつ投与経路も異なる。日本人悪性黒色腫患者への投与経験、静脈内投与の経験、2000万IU/m ² の投与経験はないが、①本邦においてハイリスクの悪性黒色腫患者は少なく、有効性の評価を目的とした試験の実施は困難と考えること、②海外で健康成人を対象に実施した筋肉内、皮下、静脈内の3つの投与経路を比較した薬物動態試験で投与経路による安全性プロファイルに差異はないと考えられること、③国内外の薬物動態に著しい差異はないと考えられること、④国内第I相試験において2000万IU/m ² に近いと思われる用量が継続投与可能な最大用量と推定されていること、⑤海外第III相試験で導入期と維持期で安全性プロファイルに差異はないと考えられることから、日本人において新たに臨床試験を実施することなく、海外臨床試験成績を利用して告知申請することは妥当と考えた。	日本人患者において静脈内投与が行われた経験はなく、かつ静脈内投与での投与量は既承認用量を大きく上回る。また、企業見解によると、投与経路間での安全性プロファイルに大きな差異はないと説明されているが、当該検討がなされた健康成人と癌患者では薬物動態プロファイルが大きく異なることの説明も企業見解ではなされている。そのため、提出された情報から、日本人患者に高用量で静脈内投与した際の安全性担保を評価することは難しいと考える。少なくとも、本邦における製造販売後に注意・着目すべき安全性に関する情報を承認申請前には得ておく必要があり、小規模でも日本人患者を対象とした臨床試験の実施は必要と考える。なお、製造販売後も含めた長期投与時の安全性情報に関する情報収集の方法や、具体的な試験の実施方法等については、機構と治験相談を実施することを推奨する。
76	特定非営利活動法人/パンキャンジャパン	エルロチニブ	タルセバ錠	中外製薬	膵臓がん		承認申請中	

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
95	日本胃癌学会	カベシタビン	ゼローダ錠	中外製薬	進行性胃癌		公知申請を希望する。	WGは、提出された資料から、公知申請を行うことは妥当と考える(「公知申請への該当性に係る報告書(案)」参照)。
122	日本臨床腫瘍学会 卵巣がん体験者の会スマイリー	ゲムシタビン	ジェムザール注射用	日本イーライリリー	卵巣癌		公知申請を希望する。	WGは、提出された資料から、公知申請を行うことは妥当と考える(「公知申請への該当性に係る報告書(案)」参照)。
159	日本臨床腫瘍学会 日本口腔外科学会 社団法人日本耳鼻咽喉科学会	セツキシマブ	アービタックス注射液	メルクセローノ	頭頸部扁平上皮癌		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。 企業見解によると、承認申請時には、化学療法剤との併用療法に関する国内第Ⅱ相試験について、2010年10月末時点で組み入れられた症例の情報を集約した資料を含める予定である、とされている。しかし、当該試験の情報では、承認申請時点において、日本人での有効性及び安全性の説明ができるか不明であり、申請前に機構との治験相談を実施し、スムーズな審査が可能となるような対応をとる必要があると思われる。
189	日本骨髄腫患者の会	ドキシルピシン塩酸塩 リポソーム注射剤	ドキシル注	ヤンセン ファーマ	多発性骨髄腫		治験開始前	治験相談利用予定あり(平成22年9月頃) 企業見解によると、ドキシルとボルテゾミブの併用における日本人患者での忍容性を確認する目的の第Ⅰ相試験を実施予定とのことである。詳細内容は不明なため、治験相談にて十分に議論する必要があると考えるが、方針として大きな問題はないと思われる。ただし、要望の効能・効果にて欧米では2007年に承認されている一方で、国内開発が2010年時点で未着手である原因は明確にすることが望ましい。
190	日本臨床腫瘍学会	ドセタキセル	タキソテール点滴静注用	サノフィ・アベンティス	局所進行頭頸部扁平上皮癌、乳癌における1回投与量75mg/m ² への増量		承認申請中	
212	日本臨床腫瘍学会 卵巣がん体験者の会スマイリー 日本産婦人科学会、日本婦人科腫瘍学会	ノギテカン	ハイカムチン注射用	日本化薬	がん化学療法後に増悪した卵巣癌 卵巣癌 初回化学療法が無効であった再発卵巣癌		公知申請を希望する。	WGは、提出された資料から、公知申請を行うことは妥当と考える(「公知申請への該当性に係る報告書(案)」参照)。
278	有限責任中間法人日本乳癌学会 あけぼの神奈川 オリーブの会 個人	ベバシズマブ	アバスチン点滴静注用	中外製薬	乳癌		承認申請中	

要望 番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
292	特定非営利活動法人グループ・ネクサス	ボルテゾミブ	ベルケイド注射用	ヤンセン ファーマ	マントル細胞リンパ腫(MCL)		治験実施中	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。 企業見解によると、米国では第Ⅱ相試験の結果を以て「前治療回数を1回以上有するMCL」の効能・効果にて承認されている。一方、欧州では第Ⅱ相試験での主要評価項目である無増悪期間等の妥当性が指摘され、現時点で申請に至っていない状況である。企業は、初発のMCLを対象として国際共同第Ⅲ相試験が実施中であり、当該結果に基づき、日米欧での申請を予定していると説明している。
350	個人	レナリドミド	レブラミドカプセル	セルジーン	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		承認申請中	

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

生物 WG

<血液製剤分野>

本邦における未承認薬…………… 34

本邦における適応外薬…………… 34

<ワクチン分野>

本邦における未承認薬…………… 35

6. 生物WG
○血液製剤分野

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
372	日本小児感染症学会	人免疫グロブリンG	ヴィヴァグロビン (Vivaglobin)	CSLベーリング	原発性免疫不全症(PID)	○	ヴィヴァグロビンと同じ皮下注用ガンマグロブリン製剤であるIgPro20について、治験実施中。	要望内容に関連する治験相談を実施済みであり、かつ、規制当局との合意事項に基づき開発中。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
69	日本小児血液学会 日本小児がん学会	エプタコグアルファ(活性型)(遺伝子組換え)	注射用ノボセブン、ノボセブンHI静注用	ノボ ノルディスク ファーマ	血小板蛋白GP IIb-IIIa或いはHLAに対する抗体を保有するため、血小板輸血に対する治療効果が見込めないグラントマン血小板無力症患者の出血抑制	○	・国内では症例報告及び医学書において適応外使用の有効例が紹介されている。 ・海外では欧米4か国中、英、独、仏の3か国において承認を取得しており、英国ではガイドラインに記載されている。約10年に渡る各国における使用実績があり、医学書にも記載されている。 以上、上述の国内外の状況から公知性が認められると考えられることから、公知申請を希望する。	企業に問い合わせ中。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

6. 生物WG
○ワクチン分野

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
173	日本渡航医学会 日本小児感染症学会 社団法人日本感染症学会	チフス菌Vi多糖体抗原ワクチン (Typhoid Polysaccharide Vaccine)	Typhim Vi	サノフィ・アベンティス	成人及び2歳以上の小児の腸チフス感染予防	○	<p>本剤は、海外100ヶ国で数多く使用されており、安全性及び有効性に問題ないことが判明している。</p> <p>また、海外では複数のガイドラインに掲載され、渡航者等への接種が推奨されている。</p> <p>また、本邦においても、厚生労働科学研究「海外渡航者に対する予防接種のあり方に関する研究」により、日本人(191例)での安全性と有効性が検討され、海外と同じ用法・用量で、腸チフス感染症予防の安全で有効なワクチンであることが示唆された。</p> <p>本剤の作用機作及び使用目的から判断して、本剤は民族的要因を受けにくい薬剤と考えられることから、公知申請を希望する。</p>	<p>当該医薬品は「新有効成分含有医薬品」に該当し、承認申請時において日本人における当該医薬品の有効性及び安全性をより慎重に評価する必要があり、その際に日本人を対象とした臨床試験成績は重要である。</p> <p>また、生物WGは、現在得られているデータは限られた臨床研究結果のみであるため、有効性・安全性を十分に説明できないと考える。</p> <p>さらに、本剤の接種が推奨される対象は、感染蔓延国への渡航者等、一部の感染リスクの高い者に限定されているものの、有効性評価に抗体価等のサロゲートマーカーが活用できるのであれば、健康成人・小児を対象とした臨床試験の実施は不可能ではない。</p> <p>加えて、GCPに基づいて信頼性が担保された安全性情報が得られることは、本剤の承認にあたって重要であり、その点でも治験の実施が望ましいと考えられる。</p> <p>以上の理由から、本邦で臨床試験を改めて実施し、有効性(免疫原性)及び安全性を評価する必要があると考える。</p>

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	小児分野 に関係	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
374	日本渡航医学会 日本小児感染症学会 社団法人日本感染症学会	髄膜炎菌(グループ A,C,Y及びW-135)多 糖体ジフテリアトキシ ノイド結合体ワクチン (Meningococcal conjugate vaccine)	Menactra	サノフィ・アベンティス	<i>Neisseria meningitidis</i> serogroup A, C, Y and W-135による侵襲性髄膜炎菌感染症の予防 (2歳から55歳)	○	<p>本剤は、海外では複数のガイドラインに掲載され、髄膜炎菌感染予防に必須なワクチンとして標準的に使用されている。</p> <p>また、本剤と同じ莢膜多糖を含有し、世界100ヶ国以上で数多く使用されているトキソイド結合体でない髄膜炎菌多糖体ワクチンMenomuneは、安全性及び有効性に問題ないことが判明している。本邦においても、厚生労働科学研究「海外渡航者に対する予防接種の在り方に関する研究」により、日本人(197例)におけるMenomuneの有効性(免疫原性)と安全性が確認されており、欧米での臨床試験成績と免疫原性に特段の差異は認められていない。したがって、人種間、民族間で髄膜炎菌多糖体抗原に対する免疫応答に差異は無いと考えられる。</p> <p>さらに、海外でのMenactraとMenomuneの比較試験データから、本剤はMenomuneと同様の有効性・安全性を示すことが海外臨床試験で示されていること及び日本人でのMenomuneの臨床研究結果から、トキソイド結合型のMenactraが日本人においても、海外と同様の有効性・安全性を示すことが十分に期待できることから、公知申請を希望する。</p>	<p>当該医薬品は「新有効成分含有医薬品」に該当し、承認申請時において日本人における当該医薬品の有効性及び安全性をより慎重に評価する必要があり、その際に日本人を対象とした臨床試験成績は重要である。</p> <p>また、生物WGは、多糖体ワクチン(Menomune)とトキソイド結合型多糖体ワクチン(本剤)は、免疫学的作用機序が異なり、日本人における有効性(免疫原性)・安全性を評価するにあたっては、海外データ及び多糖体ワクチンのデータからの推測では不十分である可能性があること、接種対象は渡航者等の健康成人・小児であり、有効性評価に抗体価等のサロゲートマーカーが活用できるのであれば、治験の実施は不可能ではないことから、本剤そのものを用いた臨床試験を実施する必要があると考える。</p>

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

小児 WG

本邦における未承認薬	38
本邦における適応外薬	39

7. 小児WG

本邦における未承認薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	関連WG(関連分野)	開発要請に対する企業見解(概略)注)	特記事項等
42	日本先天代謝異常学会	安息香酸ナトリウム・フェニル酢酸ナトリウム配合剤	Ammonul	(国内関係企業なし)	尿素サイクル異常症患者における急性発作時の血中アンモニア濃度の低下	代謝・その他WG(代謝性疾患用薬分野)		当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
97	日本先天代謝異常学会	カルグルミック酸	Carbaglu	(国内関係企業なし)	N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症	代謝・その他WG(代謝性疾患用薬分野)		当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
142	日本小児腎臓病学会 日本先天代謝異常学会	メルカプトアミン(INN) システアミン(USAN)	Cystagon Capsule	マイラン製薬	シスチノーシス(シスチン蓄積症)	代謝・その他WG(代謝性疾患用薬分野)	国内患者を対象とした臨床試験等を平成22年中に開始する予定。	治験相談利用予定あり(平成22年8月頃)。
209	日本先天代謝異常学会	ニチシノン	Orfadin	(国内関係企業なし)	チロシン血症 I 型	代謝・その他WG(代謝性疾患用薬分野)		当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
257	日本先天代謝異常学会	フェニル酪酸ナトリウム	Buphenyl(米)、 Ammonaps(英、独、 仏)	(国内関係企業なし)	尿素サイクル異常症	代謝・その他WG(代謝性疾患用薬分野)		当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
275	日本先天代謝異常学会	ベタイン	Cystadane	(国内関係企業なし)	ホモシスチン尿症	代謝・その他WG(代謝性疾患用薬分野)		当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
238	膵嚢胞線維症の治療環境を実現する会	パングレアチン	Creon	アボット ジャパン	嚢胞線維症患者の脂肪吸収および栄養状態の改善	代謝・その他WG(その他分野(消化器官用薬、解毒剤、その他))	承認申請中	
87	一般社団法人日本リウマチ学会	カナキヌマブ	ILARIS 150 mg/mL powder for solution for injection	ノバルティスファーマ	クリオピリン関連周期熱症候群(家族性寒冷蕁麻疹症およびMuckle-Wells 症候群)患者の炎症症状の軽減	抗菌・抗炎症(抗炎症薬・呼吸器官用薬分野)	治験実施中	
94	日本未熟児新生児学会 特定非営利活動法人 神戸市難病団体連絡協議会	カフェインクエン酸塩	CAFICIT Injection、 CAFICIT Oral solution	ベーリンガーインゲル ハイム	早産児無呼吸発作の短期治療	抗菌・抗炎症(抗炎症薬・呼吸器官用薬分野)	平成23年5月頃、治験実施計画書提出予定。	治験相談利用予定あり(平成23年1月頃)。

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	関連WG(関連分野)	開発要請に対する企業見解(概略)注)	特記事項等
201	肺嚢胞線維症の治療環境を実現する会	ドルナーゼアルファ	Pulmozyme	中外製薬	嚢胞線維症患者の喀痰排泄促進作用および呼吸機能の改善	抗菌・抗炎症(抗炎症薬・呼吸器官用薬分野)	本剤は、海外での有効性及び安全性が十分に確認されており、本剤による吸入療法は民族的要因による影響を受けにくいと考える。よって、海外での承認申請の際に提出された臨床試験成績、海外公表論文、海外教科書やガイドライン等の記載状況から本剤のCF患者に対する有用性が確認でき、海外の承認状況から実医療での相当数の使用実績があり、また国内の「肺嚢胞線維症の診療の手引き」や要望者からの要望内容を総合的に勘案し、公知申請を希望する。CFは、本邦では平成16年までの過去10年間の患者数が推定38名と極めて稀な疾患であり、大半が死に至る重篤性の高い難病である。よって、投与対象となるすべての患者がその使用を待ち望んでいると推察され、一日も早い医療現場への製品供給こそが製薬企業としての責務と考える。	WGで詳細に検討中。
345	一般社団法人日本リウマチ学会	リロナセプト	Arcalyst	国内関係企業なし	クリオピリン関連周期熱症候群(家族性寒冷蕁麻疹症およびMuckle-Wells症候群)患者の炎症症状の軽減	抗菌・抗炎症(抗炎症薬・呼吸器官用薬分野)		当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。

本邦における適応外薬

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	関連WG(関連分野)	開発要請に対する企業見解(概略)注)	特記事項等
77	日本先天代謝異常学会	レボカルニチン塩化物	エルカルチン錠	大塚製薬	①エルカルチン錠について、「一次性カルニチン欠乏症及びその他の二次性カルニチン欠乏症」の適応追加 ②液剤及び静注用製剤の剤形追加	代謝・その他WG(代謝性疾患用薬分野)	①について、要請のあった効能・効果及び用法・用量について、レボカルニチン製剤が既に海外で承認され使用されていること、カルニチンとして文献等でその有効性について多数報告されていること、標準的な教科書やガイドライン等でカルニチン欠乏症の治療薬としてカルニチン補充が挙げられていること、本剤が国内で既に承認された適応症以外で使用されていること、関係学会からの要望があること等を踏まえ、公知申請を希望する。 ②について、臨床試験を実施する予定。	①について、小児WG及び代謝・その他WGは、提出された資料から、公知申請を行うことは妥当と考える(「公知申請への該当性に係る報告書(案)」参照)。 ②について、治験相談利用予定あり(平成22年11月頃)。

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	関連WG(関連分野)	開発要請に対する企業見解(概略)注)	特記事項等
255	日本 LCH 研究会 厚生労働科学研究費補助金難 治性疾患克服研究事業 乳児 ランゲルハンス細胞組織球症 の病態解明と診療研究班	ビンブラスチン塩酸塩	エクザール注射用 10mg	日本化薬	ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)	代謝・その他WG(その他分野(消化器官用薬、解毒剤、その他))	LCHにおいて本剤は、欧米4カ国で既に承認され、標準療法の基本薬剤としての相当の使用実績があり、エビデンスレベルの高い臨床試験が実施されていることから、公知申請を希望する。	WGで詳細に検討中。
318	日本未熟児新生児学会	メナテレノン	ケイツー・シロップ 0.2%	サンノーバ	新生児・乳児ビタミンK欠乏性出血症に対する予防	循環器WG(循環器器官用薬分野)	欧米4カ国において、新生児・乳児VK欠乏性出血症に対する予防投与が承認されており、標準的教科書、日本を含めた各国のガイドラインでも、VKの注射あるいは経口投与、若しくは注射及び経口投与が新生児・乳児VK欠乏性出血症の予防対策として推奨されている。国内でも、広く普及しているが、現在まで安全性上の問題は報告されていない。以上より、公知申請を希望する。	WGで詳細に検討中。
343	日本内分泌学会 日本小児内分泌学会	リュープロレリン酢酸塩	リュープリン注射用 1.88、リュープリン注射用3.75	武田薬品工業	中枢性思春期早発症の最大用量を180 μ g/kg/4週に増大	循環器WG(生殖器官用薬分野)	欧米での承認用法・用量は、今回の要望用量と同程度、あるいはそれを超える投与量であり、米国の承認用法・用量についてはNelson小児科学等の標準的教科書にも記載されている。これら海外成績を基に申請に必要な検討は可能であり、また、第3回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議にて、国立成育医療研究センター等で国内の承認用量を上回る200例を超える臨床使用実績が報告されている。以上より、公知申請を希望する。	企業に問い合わせ中。
130	膀胱線維症の治療環境を実現する会	コリスチンメタンサルホン酸ナトリウム	Colomycin Injection	国内関係企業なし	吸入用製剤の剤形追加 膀胱線維症患者の気道感染症の治療	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)		当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。

要望番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	関連WG(関連分野)	開発要請に対する企業見解(概略)注	特記事項等
195	肺嚢胞線維症の治療環境を実現する会 特定非営利活動法人 神戸市 難病団体連絡協議会	トブラマイシン	TOBI	ノバルティスファーマ	吸入用製剤の剤形追加 嚢胞線維症患者の緑膿菌気道感染症の 治療	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)	本剤の国内の使用実態としては、個人輸入している患者一名に限定されるが、過去の記録から使用経験を論述することは可能である。国内での患者数が極端に少ないこと、患者のほとんどは他の治療に参加していたり、多剤併用が必須であることから治験を行うことは難しいと考える。 また、本剤は海外にて臨床試験を実施し、既に欧米にて承認を取得済みであり、また、種々の診療ガイドラインにも記載されていることから、国外のエビデンスに不足はないと考えるため、公知申請を希望する。	WGで詳細に検討中。
264.2	日本小児血液学会／日本小児がん学会	フルコナゾール	DIFLUCAN Oral Suspension ジフルカン静注液・カプセル	ファイザー	小児用経口混濁液の剤形追加 小児適応の追加	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)	本剤は、成人においては、カンジダ及びクリプトコッカス感染症の治療薬として、国内外でその位置付けは確立されている。また、小児に対する総合的な評価としては、外国でのランダム化比較試験において、小児に対する有効性・安全性は確認されている。さらに教科書等への小児の真菌症治療薬としての記載もあり、世界中で広く使用されている。そのため、小児においても成人と同等の有効性と安全性を有すると考えて問題ないと判断したため、公知申請を希望する。	企業に問い合わせ中。
289	日本小児感染症学会	ポリコナゾール	ブイフェンド静注用・錠	ファイザー	小児適応の追加	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)	小児を対象にした、深在性真菌症に対するポリコナゾールの有効性を検証した臨床試験はごく限られているものの、単施設で十数例程度を対象とした検討や、後方視的コホート研究を含めると、アスペルギルス症をはじめ糸状菌感染症に対するポリコナゾールの有効性を報告した論文が数編ある。ただし、カンジダ症に対する有効性を示した論文は少ない。 安全性について、小児に特異的に発現する事象、もしくは成人より重篤あるいは高頻度に出現する事象は認められなかった。国内外で報告されている小児科領域の公表公刊情報は、小児におけるポリコナゾールの有効性と安全性について必要十分なエビデンスを提供していると判断し、公知申請を希望する。	小児における本剤の国内での使用経験が乏しく、本剤の予定される小児用法・用量における有効性及び安全性情報が限られていることや、本剤の予定される小児用法・用量は既承認である成人の用法・用量と比較し、高用量となることなどを踏まえると、承認申請時には、小児における本剤の有効性及び安全性をより慎重に評価する必要があると考える。そのため臨床試験の実施に際し集積可能な症例数が限られていることは理解するものの、日本人小児における有効性及び安全性を検討することを目的とした臨床試験の成績は、必要と考える。

要望 番号	要望者名	一般名	販売名	会社名	要望内容(効能効果等の概略)	関連WG (関連分野)	開発要請に対する企業見解 (概略)注)	特記事項等
16	一般社団法人日本リウマチ学会 日本小児リウマチ学会	アザチオプリン	アザニン イムラン	グラクソ・スミスクライン 田辺三菱製薬	ステロイド治療抵抗性全身性エリテマトーデス(成人、小児)	抗茵・抗炎症(抗炎症薬・呼吸器官用薬分野)	本剤は国内外の教科書及び学会等のガイドラインにおいて、既に標準治療薬の一つとして位置付けられている。SLEは重篤な疾患であり、第一選択薬のステロイド治療だけでは病態のコントロールが難しい患者が存在することや、ステロイドの大量投与による副作用も問題となっている。また、疾患活動性を抑えた後に病態を維持することも、患者の生命予後を向上させるうえで極めて重要である。しかし、現状においては有効な代替治療はなく、免疫抑制剤による治療が極めて重要な治療法となっている。その状況において、本剤は日本においても既にSLEの治療薬として広く普及しており、十分な使用経験から、有効性と安全性は確立されているものと考えられるため、公知申請を希望する。	WGで詳細に検討中。

注)専門作業班(WG)にて、提出された企業見解より適宜抜粋した。