

「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

<小児 WG>

目次

<抗菌薬分野>

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における適応外薬

シプロフロキサシン（要望番号；151）	1
バラシクロビル塩酸塩（要望番号；228）	5
パリビズマブ（要望番号；229）	11

<抗炎症薬・呼吸器官用分野>

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

本邦における適応外薬

インフリキシマブ（要望番号；56）	15
-------------------	----

『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
	社団法人日本感染症学会		151
2)	要望された医薬品	一般名	シプロフロキサシン
		販売名	シプロキサシン注
		会社名	バイエル薬品株式会社
3)	要望内容	効能・効果	β-ラクタム系薬無効の小児重症感染症 尿路感染症（複雑性膀胱炎、腎盂腎炎）及び嚢胞性線維症
		用法・用量	18～30mg/kg/day 分 2～3（最大用量 400mg/dose）
		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>近年小児市中感染症の主要原因菌である肺炎球菌、インフルエンザ菌においてはペニシリン耐性肺炎球菌（PRSP）やβ-ラクタマーゼ非産生アンピシリン耐性インフルエンザ菌（BLNAR）、黄色ブドウ球菌においてはメチシリン耐性黄色ブドウ球菌（MRSA）による市中感染が問題となっている。また小児の尿路感染症の主要原因菌である大腸菌をはじめとする腸内細菌においては、拡張型β-ラクタマーゼ産生菌の増加が、院内感染で問題となる緑膿菌においてはメタロβ-ラクタマーゼ産生菌の増加がそれぞれ問題となっている。これらの耐性菌はいずれもβ-ラクタム系薬に対する感受性が低下しているため、治療上の観点から、β-ラクタム剤と全く異なる作用機序を有し、β-ラクタム剤耐性菌に対しても高い臨床効果が期待できるニューキノロン系薬の小児に対する適応の拡大が望まれている。特に生命に重大な影響があるような重症感染症においては注射用製剤が必要となる。</p> <p>(2) 医療上の有用性</p> <p>β-ラクタム系薬が無効の小児の重症感染症、β-ラクタム系薬が使用できない小児の重症感染症に対して、治療の選択肢が広がる。</p>	

		一方承認後は厳重な適正使用が求められる。
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 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>日本感染症学会から要望のあった小児複雑性尿路感染症、腎盂腎炎、ならびに緑膿菌感染による嚢胞性線維症の急性増悪に関するシプロフロキサシン注射剤（以下、本薬）の医療上の必要性は以下に述べる点から高いと判断した。</p> <p>(1) 適応疾病の重篤性</p> <p>一般に小児の尿路感染症は、抗菌薬に対する反応性並びに予後は良好であり、The American Academy of Pediatrics/ Committee on Infectious DiseasesのPolicy statementにおいても、フルオロキノロンの使用は、緑膿菌性または、他の多剤耐性グラム陰性菌性尿路感染症に限定されるべきであるとしている。</p> <p>尿路奇形を背景とした複雑性尿路感染症や、尿道カテーテル留置などリスク因子合併時の院内感染症などは、感染の反復ならびに、重症化・長期化を呈し持続的腎機能低下などの後遺障害の原因となる。また重症化すると敗血症など全身への感染の波及も生じえる。尿路感染症は大部分が上行性感感染で原因菌は主に腸内細菌のグラム陰性桿菌が占める。なかでも、大腸菌の分離頻度が最も高く、多少の幅はあるものの、その頻度は60-90%弱と報告されている。複雑性尿路感染症では、その他のクレブシエラ、緑膿菌、MRSAなどが原因菌として検出されることがある。また、近年、単純性尿路感染の主たる原因菌である大腸菌のなかにも基質拡張型β-ラクタマーゼ産</p>
----	-------------------------------	---

	<p>生株の検出が報告されるようになっており、その薬剤耐性機構の変化が注目されている。現時点では、特に単純性尿路感染症に対しては第2世代セフェムで治療開始することが適切と考えられるが、今後第3世代セフェムに対する耐性をも獲得したESBL産生株が増加するようなことがあれば、臨床背景や薬剤耐性化の動向を踏まえた抗菌薬の選択肢の必要性は増すものと考えられる。</p> <p>嚢胞性線維症（CF）はアジア人では稀である。多臓器、全身粘膜腺が影響をうけるが、臨床症状として肺・呼吸器症状が認められることが多い。CFの気道・肺病変は徐々に呼吸機能を悪化させる慢性炎症と、喀痰、咳漱の増強がみられる急性増悪の反復が特徴とされる。CF患者の気道は緑膿菌に感染しやすく、緑膿菌感染は乳児期からすでに認められ、緑膿菌感染症の罹患率は年齢と共に増加する。6歳以下の幼児では下気道に緑膿菌とブドウ球菌の重感染が認められ、相加的に炎症を引き起こしており、呼吸機能予後を悪化させる。以上の点を考慮すると、今回要望にある適応症は、「イ 病気の進行が不可逆で、日常生活を著しい影響を及ぼす疾患」「ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患」に該当すると考えられる。</p> <p>(2) 医療上の有用性</p> <p>上述のように The American Academy of Pediatrics/ Committee on Infectious Diseases の Policy statement において、緑膿菌性または、多剤耐性グラム陰性菌性尿路感染症ならびに緑膿菌が定着している CF 患者における肺感染症の急性増悪を外来治療する場合に対する、フルオロキノロンの有益性が述べられており、本薬は「ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている」薬に該当すると考えられる。また、国外で実施された小児複雑性尿路感染あるいは腎盂腎炎患者を対象とした臨床試験、小児嚢胞線維症を対象とした臨床試験で、それぞれ、標準薬と比較して遜色ない本薬の有効性ならびに安全性が示されている。</p> <p>本薬は欧米において小児尿路感染症ならびに緑膿菌が定着している CF 患者における肺感染症の急性増悪に対して適応を有する唯一のニューキノロン系抗菌注射剤であり、β-ラクタマーゼ阻害薬とは異なる作用機序を有し、かつニューキノロン系抗菌薬の中でも特に緑膿菌を含むグラム陰性菌に対し優れた抗菌力を示し、組織移行性も良好なことから、上述の感染症において有効性が期待できる。一方で、小児への投与経験は限られたものであり、リスクベネフィットを十分に考慮し使用する必要がある、また耐性菌の発現を抑制する上でも本薬の広範な使用は慎むべきである。すなわち、本薬を含</p>
--	---

		めフルオロキノロンの対象は重症・難治例の患児に限定するべきと考えられ、全身状態の悪い症例へ投与される場合を考慮すると、非経口投与が可能な注射薬である本薬の有用性は高いと考えられる。
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 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> <input 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 checked="" 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
		<p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <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
	日本小児感染症学会		228
2)	要望された医薬品	一般名	バラシクロビル塩酸塩
		販売名	バルトレックス錠・顆粒
		会社名	グラクソ・スミスクライン株式会社
3)	要望内容	効能・効果	①単純疱疹 ②造血幹細胞移植における単純ヘルペスウイルス感染症（単純疱疹）の発症抑制 ③帯状疱疹 ④性器ヘルペスの再発抑制
		用法・用量	25mg/kg/回、1日3回 疾患・年齢により適宜減量する。 最高投与量は成人量を超えない。
		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	(1) 適応疾病の重篤性 ①単純疱疹 ウ：その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患 最も症例数の多い病型としては口唇ヘルペス、性器ヘルペスがあげられるが、主に小児の初感染時にみられる病型としてヘルペス性歯肉口内炎がある。口唇や口腔粘膜に小水疱が多発し、舌、咽頭、口蓋、頬粘膜、歯肉にはびらんがみられる。所属リンパ節は腫脹し、発熱や全身倦怠感を伴う病型であり口腔内の痛みのため哺乳や摂食を嫌がり、脱水や栄養障害を伴うこともあるなど、重症感が強い。また、アトピー性皮膚炎などの皮膚病変に経皮的に接種されて拡大するカポジ水痘様発疹症も重症感の強い病型である。幼児ではごく稀にウイルス血症を起こし、肺炎、肝炎など全身感染を起こして死亡することもあり、抗ウイルス薬による治療が必要である。 ②造血幹細胞移植における単純ヘルペスウイルス感染症（単純疱	

	<p>疹)の発症抑制</p> <p>ア:生命に重大な影響がある疾患(致死的な疾患)</p> <p>造血幹細胞移植前後は高度の免疫抑制状態となる。このため日和見感染症による死亡率が高く、感染症予防対策は大きな課題である。特にヘルペス群ウイルスはすでに体内に潜伏感染している場合が多く、免疫低下時の再活性化による発症は外部からの感染源の侵入防止では抑制できないため、単純ヘルペスウイルス(HSV)感染症に対する発症予防はその重篤性に鑑みても重要である。</p> <p>③帯状疱疹</p> <p>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>水痘・帯状疱疹ウイルス(VZV)が水痘として初感染した後に神経節に潜伏感染したVZVが再活性化し発症する疾患で、疱疹が一定の神経支配領域の皮膚に帯状に配列し、通常左右どちらか一方の領域にみられるという極めて特徴的な症状を呈する。健康小児の帯状疱疹は一般に軽症であるといわれるが、基礎疾患などにより免疫機能が低下している場合や、顔面・頭部に発症し眼合併症や顔面神経麻痺(Ramsay Hunt症候群)が危惧される場合には、失明や顔面神経麻痺などの後遺症が残ることもあるため、成人と同様に抗ウイルス薬による適切な治療が必要である。</p> <p>④性器ヘルペスの再発抑制</p> <p>ウ:その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患</p> <p>HSVは一旦感染するとウイルスは神経節に潜伏感染してしまい、潜伏感染したHSVを体内から除去する治療法は現在のところ知られていない。特にHSV-2による性器ヘルペスは再発頻度が高いことが知られている。初交年齢の低下、および性感染症(STI)の低年齢化が著しい昨今、感染し再発を繰り返した場合の正常な日常活動の確保という観点から、13-15歳の中学生に対しても標準的な治療法である再発抑制療法を適正に行えるようにしておくべきである。</p> <p>(2)医療上の有用性</p> <p>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>上記の疾患・病型の治療にはこれまでACV経口剤が用いられてきた。しかしACVは経口吸収性が悪いことから、1日4~5回の服薬が必要であり、服薬にかかる患児・保護者の負担は大きかった。VACVはACVの経口吸収性を改善したプロドラッグであるため1</p>
--	---

		<p>日投与回数が少なく済み、体内で ACV に変換されて抗ウイルス作用を発揮する。よりよい生体内利用率とコンプライアンスより、VACV の効果は ACV よりも劣ることはなく、かつ安全性においてもこれまでの使用経験において特段の問題は発生していないことから、VACV は小児のヘルペスウイルス感染症の治療に有用であると考えられる。</p> <p>なお、ACV が評価された第 6 回小児薬物療法検討会議において、ACV の投与回数の多さが小児に負担であることから、投与回数が少なくコンプライアンスのよい VACV も必要である旨の意見が出された。しかし、欧米 4 カ国での承認がないことから小児薬物療法検討会議では検討が見送られた。今般、米国の VACV の公的医療保険適用が確認されたため、当該要望書を提出するものである。</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 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 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

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>ACV の小児での投与回数は 1 日 4 回と多く、経口吸収性が悪い特徴から 1 回服用せずに 1 日 3 回投与となっただけで有効な血中濃度が保てない。しかし、小さな幼児に毎日きちんと 1 日 4 回を服用させることは非常な困難を伴う（眠ってしまった、機嫌が悪いなど）。とくに「造血幹細胞移植における単純ヘルペスウイルス感染症（単純疱疹）の発症抑制」のように、コンプライアンスを守ってきちんと服用させ発症を抑制しなければならない場合は、投与回数の多さは大きな欠点である。</p> <p>このことから HSV 感染症に対して 1 日 2 回の投与により ACV 1 日 4 回投与と同等かそれ以上の効果が期待できる VACV が小児にと</p>
----	-------------------------------	---

		<p>ってはとくに必要である。</p> <p>各適応の医療上の必要性は、ACV と同様であるので ACV の小児薬物療法検討会議報告書から抜粋し、判断基準への該当性は以下のとおりと考える。</p> <p>①単純疱疹 (1) ウ (2) イ、ウ 小児における代表的な病型である歯肉口内炎は、口唇や口腔粘膜に小水疱が多発し、発熱や全身倦怠感を伴う。痛みのため摂食障害や脱水を伴うなど重症感の強い病型であり、治療が必要である。</p> <p>②造血幹細胞移植における単純ヘルペスウイルス感染症(単純疱疹)の発症抑制 (1) ア (2) イ、ウ 造血幹細胞移植前後は高度の免疫抑制状態となるため、日和見感染症としてのHSV感染症の発症を抑制することが必要である。</p> <p>③帯状疱疹 (1) イ (2) イ、ウ 健康小児の帯状疱疹は軽症であるといわれるが、眼合併症などが危惧される場合には、失明などのリスクを考慮して治療を適正に行えるようにしておくべきである。</p> <p>④性器ヘルペスの再発抑制 (1) ウ (2) イ、ウ 性感染症の低年齢化が危惧される昨今、感染し再発を繰り返した場合の正常な日常活動の確保という観点から、13-15歳の中学生に対しても標準的な治療法である再発抑制療法を適正に行えるようにしておくべきである。</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 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)	<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> <ul style="list-style-type: none"> <input 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 checked="" 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 <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> <ul style="list-style-type: none"> <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 <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
	日本小児リウマチ学会 日本小児血液学会／日本小児がん学会		229
2)	要望された 医薬品	一般名	パリビズマブ
		販売名	シナジス筋注用
		会社名	アボットジャパン株式会社
3)	要望内容	効能・効果	下記の新生児、乳児及び幼児における RS ウイルス感染による重篤な下気道疾患の発症抑制 RS ウイルス流行初期において <ul style="list-style-type: none"> ・ 在胎期間 28 週以下の早産で、12 ヶ月齢以下の新生児および乳児 ・ 在胎期間 29 週～35 週の早産で、6 ヶ月齢以下の新生児および乳児 ・ 過去 6 ヶ月以内に肺異形成症（BPD）の治療を受けた 24 ヶ月齢以下の新生児、乳児及び幼児 ・ <u>24 ヶ月齢以下の重度の免疫不全児（重症複合型免疫不全症、HIV感染、骨髄移植後、化学療法施工中、大量ステロイド療法施工中 等）</u> 下線部：要望に該当する部分
		用法・用量	パリビズマブとして 15mg/kg を RS 流行期を通して月 1 回筋肉内に投与する。なお、注射量が 1mL を超える場合には分割して投与する。
		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	<日本小児リウマチ学会> (1) 適応疾病の重篤性 パリビズマブの適応拡大の候補として、原発性（重症複合型免疫不全症等）、および続発性免疫不全症（HIV 感染、化学療法、骨髄移植、大量ステロイド治療等）がある。 易感染性小児では、RSV 感染症が重症化するリスクが高く、ウ	

	<p>ウイルスの滞在も長くなることがあるため、院内感染のリスクも考慮する必要がある。RS ウイルスに感染し重症化した場合、呼吸管理などの対症療法のみで有効な治療法がなく、ときに致死的な疾患である。</p> <p>(2) 医療上の有用性</p> <p>RSV に対するワクチンや治療薬が存在しない現状においては、パリビズマブが唯一の重症化予防の手段である。</p> <p>易感染性の児は、RS ウイルス感染症のハイリスク集団であることは明らかであり、原疾患に対し様々な治療を行い状態が安定しても、RS ウイルス感染症により致死的な経過をたどることがあることより、RS ウイルス感染予防は極めて重要である。</p> <p>すみやかに、本剤の使用が可能になることを希望する。</p> <p><日本小児血液学会／日本小児がん学会></p> <p>(1) 適応疾病の重篤性</p> <p>ア 生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）</p> <p>骨髄移植をした小児では、RSV 感染で肺炎になった時の死亡率は 50-70%と高い。</p> <p>本邦においても、2008 年度に 4 歳未満の児を対象に RS ウイルス感染症の入院実態調査のためのアンケートが実施し、日本小児科学会薬事委員会より、白血病・移植後症例の RS ウイルス感染による死亡例が 2 例報告されている。</p> <p>易感染性小児（白血病に対する化学療法、移植後、HIV 感染、複合免疫不全症等）では、RSV 感染症が重症化するリスクが高く、ウイルスの滞在も長くなることがあるため、院内感染のリスクも考慮する必要がある。</p> <p>RS ウイルスに感染し重症化した場合、呼吸管理などの対症療法のみで有効な治療法がなく、ときに致死的な疾患である。</p> <p>(2) 医療上の有用性</p> <p>ア 既存の治療が国内にない</p> <p>本邦においては、小児の臓器移植が禁止されていたが、2009 年 7 月に法案が通り、脳死と判定された小児からの臓器提供が可能になった。臓器移植後に免疫抑制状態にある小児では、重度の RSV 感染が現れるおそれがある。</p> <p>RSV に対するワクチンや治療薬が存在しない現状においては、パリビズマブが唯一の重症化予防の手段である。</p> <p>移植後、化学療法施行中の児は、RS ウイルス感染症のハイリス</p>
--	---

		ク集団であることは明らかであり、原疾患に対し様々な治療を行い状態が安定しても、RS ウイルス感染症により致命的な経過をたどることがあることより、RS ウイルス感染予防は極めて重要である。 すみやかに、本剤の使用が可能になることを希望する。
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 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 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

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>学会の意見に賛同します。</p> <p>(1) 適応疾病の重篤性 易感染性小児では、RSV 感染症が重症化するリスクが高く、ウイルスの滞在も長くなることがあるため、院内感染のリスクも考慮する必要がある。RS ウイルスに感染し重症化した場合、呼吸管理などの対症療法のみで有効な治療法がなく、ときに致命的な疾患である。</p> <p>(2) 医療上の有用性 RSV に対するワクチンや治療薬が存在しない現状においては、パリビズマブが唯一の重症化予防の手段である。 易感染性の児は、RS ウイルス感染症のハイリスク集団であることは明らかであり、原疾患に対し様々な治療を行い状態が安定しても、RS ウイルス感染症により致命的な経過をたどることがあることより、RS ウイルス感染予防は極めて重要である。 すみやかに、本剤の使用が可能になることを希望する。</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 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 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 checked="" 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 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
	日本小児リウマチ学会		56
2)	要望された 医薬品	一般名	インフリキシマブ
		販売名	レミケード点滴静注用
		会社名	田辺三菱製薬株式会社
3)	要望内容	効能・効果	大量ガンマグロブリン治療に抵抗を示す重症川崎病
		用法・用量	通常、5mg/kg を1回の投与量とし点滴静注する。投与回数は原則として病勢期に1回のみとする。
		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>ア 生命に重大な影響がある疾患 (致死的な疾患)</p> <p>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>(2) 医療上の有用性</p> <p>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>	
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 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 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

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>初回 IVIG 療法に不応の川崎病患儿の場合、現在は IVIG を追加投与することが一般的な対処法となっております。初回 IVIG には約 13.5%、追加 IVIG には約 17.7%の患儿が不応であるとされていることから、全体で 2.4%程度（年間 200-300 例）が IVIG 不応となります。</p> <p>現時点ではこのような患儿には確立された治療法が存在しません。また、IVIG 不応例では冠動脈瘤が既に発生している、あるいは発生しやすいことが一般に知られており、巨大冠動脈瘤発現例においてはその破裂や心筋梗塞等により致命的な転帰に至るケースも少数ではありますが存在します。致命的な転帰を辿らない場合であっても、冠動脈瘤が消失せず長期に渡る経過観察や運動制限を要する患儿もいます。</p> <p>なお、そもそも標準治療に位置づけられている IVIG においても、12-24 時間かけて点滴静注する使用法となっており、患儿等に身体的・精神的負担を強いることから、必ずしも最適化された治療法では無いと考えられます（他方、他疾患における本剤の点滴時間は 2 時間）。</p> <p>以上より、医療上の重篤性及び本剤の有用性としては以下の区分に該当すると考えられることから、「IVIG 治療をしても効果が認められない患儿」においては、本剤の医療上の必要性はあると思われまます。</p> <p>(1) 適応疾病の重篤性 ア 生命に重篤な影響がある疾患（致死的な疾患） 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>(2) 医療上の有用性 ア 既存の療法が国内にない</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 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 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] なし</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性</p> <p><input checked="" 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 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	