

## 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

第1回（平成22年5月21日）開発要請品目等（前回会議時に検討中であったもの）

### 目次

代謝・その他 <b>WG</b> .....	1	抗菌・抗炎症 <b>WG</b> .....	7
<その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）>		<抗菌薬分野>	
本邦における適応外薬.....	2	本邦における適応外薬.....	8
<b>循環器 WG</b> .....	3	<抗炎症薬・呼吸器管用薬分野>	
<循環器器官用薬分野>		本邦における適応外薬.....	9
本邦における適応外薬.....	4	<b>小児 WG</b> .....	11
<体内診断用薬分野>		本邦における未承認薬.....	12
本邦における適応外薬.....	6	本邦における適応外薬.....	13

注）今回、新たに報告する箇所は、網掛けで示した。



# 代謝、その他 WG

<その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）>

本邦における適応外薬…………… 2

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 卵巣がん体験者の会スマイリー	デキサメタゾン(4mg錠)	①デカドロン錠0.5mg錠 ②レナデックス錠4mg	①日医工 ②セルジーン	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)		①平成23年1月頃から製剤開発に着手し、品質に関する試験及び生物学的同等性試験等を実施する予定。 ②海外製造元との契約上の理由から、直ちに具体的な開発方針の検討に着手することは困難。	

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>

本邦における適応外薬…………… 4

## <体内診断用薬分野>

本邦における適応外薬…………… 6

2. 循環器WG  
○循環器器官用薬分野

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
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	小児における用法及び用量の追加	○	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。	使用実態調査の結果を踏まえて検討予定。
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	レニベース錠	MSD	小児における用法及び用量の追加	○	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か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。	使用実態調査の結果を踏まえて検討予定。

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
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	小児における用法及び用量の追加	○	使用実態調査、及び治験の実施予定。	循環器WGは、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。
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。
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。	使用実態調査の結果を踏まえて検討予定。

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
55	(社)日本脳神経外科学会	インドシアニングリー ン	ジアグノグリーン注射 用25mg	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 考える。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。	使用実態調査の結果を踏まえて検討予定。

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>

本邦における適応外薬…………… 8

## <抗炎症薬・呼吸器管用薬分野>

本邦における適応外薬…………… 9

### 3. 抗菌・抗炎症WG

#### ○抗菌薬分野

#### 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) <sup>注</sup>	特記事項等
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	メトロニダゾール	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、クロストリディウム・ディフィ シル関連腸炎		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。	使用実態調査の結果を踏まえて検討予定。
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・陰 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陰症の治療		本薬の細菌性陰症に対する有効 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 からも医学薬学上公知であるとみ なすことが出来ると考え、公知申 請を希望する。	使用実態調査の結果を踏まえて、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。

3. 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) <sup>注)</sup>	特記事項等
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		<p>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。</p> <p>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。</p>	<p>本剤は、再審査期間中であり、かつ、サリドマイド製剤安全管理手順(TERMS)により管理され、ENLに対し国内で適応外使用できない状況であることから、検討会議において、有効性及び安全性の観点から医学薬学上公知とは言えないと判断せざるを得ないが、今回提出された使用実態調査の結果等から日本人に対する有効性・安全性について一定のエビデンスはあると考えられること、患者数が極めて少ないこと等を踏まえると、既存の情報を精査し、今後の方針を検討すべきと考える。</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	12
本邦における適応外薬	13

#### 4. 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
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せ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)	<p>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。</p> <p>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嚢胞線維症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。</p> <p>嚢胞線維症は、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。</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る、公知申請に該当すると判断することは困難である。しかし、本疾病の重篤性や、患者数が極端に少ないこと等を踏まえ、欧米での臨床試験データを用いて承認申請資料をとりまとめることを検討すべきである。また、国内の使用症例について、その有効性・安全性の情報を可能な限り収集し活用するべきである。

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
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。	日本未熟児新生児学会から要望された用法・用量は、「出生後、数回の哺乳により、その確立したことを確かめてから2mgを経口投与、ついで2回目として生後1週又は産科退院時のいずれか早い時期に2mgを経口投与する。その後、生後3か月まで1回2mgを週1回経口投与する。ただし、1か月健診の時点で人工栄養の場合は、それ以降の投与を中止してよい。」である。現在、生後1ヶ月までに計3回の投与が広く実施されていると考えられるが、当該投与方法が生後3か月までの週1回投与と有効性及び安全性が異なることを明確に示すエビデンスはないと考える。また、生後3か月までの週1回投与については、本邦における承認申請のためのエビデンスは得られていないため、臨床試験の実施が必要と考えられることから、本邦における使用実態を踏まえ、今後の方針を検討すべきと考える。 なお、新生児・乳児が複数の医療機関や診療科に跨って受診することも想定されるため、医療機関等の中での情報共有の在り方など、適正使用のための方策について検討される必要があると考える。
195	肺炎球菌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 肺炎球菌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療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。	当該医薬品は「新投与経路医薬品」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る、公知申請に該当すると判断することは困難である。しかし、本疾病の重篤性や、患者数が極端に少ないこと等を踏まえ、欧米での臨床試験データを用いて承認申請資料をとりまとめることを検討すべきである。また、国内の使用症例について、その有効性・安全性の情報を可能な限り収集し活用すべきである。

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
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	①小児の用法・用量の追加 ②小児用経口混濁液の剤形追加	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)	①について、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。  ②について、①に対する承認申請後、速やかに承認申請予定。	①について、小児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(「公知申請への妥当性に係る報告書(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。