

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2回、第3回（平成22年12月13日、平成23年5月13日）開発要請品目等

目次

代謝、その他 WG	1	循環器 WG	5
<代謝性疾患用薬分野>		<循環器器官用薬分野>	
本邦における適応外薬.....	2	本邦における適応外薬.....	6
<その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）>		<体内診断用薬分野>	
本邦における適応外薬.....	3	本邦における未承認薬.....	7

注）今回、新たに報告する箇所は、網掛けで示した。

目次（つづき）

精神・神経 WG	9	抗がん WG	19
<精神・神経用薬分野>		<抗がん剤分野>	
本邦における未承認薬.....	10	本邦における未承認薬.....	20
本邦における適応外薬.....	10	本邦における適応外薬.....	21
抗菌・抗炎症 WG	13	生物 WG	27
<抗菌薬分野>		<ワクチン分野>	
本邦における未承認薬.....	14	本邦における適応外薬.....	28
本邦における適応外薬.....	14		
<抗炎症薬・呼吸器管用薬分野>		小児 WG	29
本邦における未承認薬.....	18	本邦における適応外薬.....	30
本邦における適応外薬.....	18		

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

<代謝性疾患用薬分野>

本邦における適応外薬…………… 2

<その他分野（消化器官用薬、解毒剤、その他）>

本邦における適応外薬…………… 3

1. 代謝・その他WG
○代謝性疾患用薬分野

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
301	①日本内分泌学会・日本小児 内分泌学会 ②日本小児内分泌学会	メチラポン	メトピロンカプセル 250mg	ノバルティス ファーマ	①難治性クッシング症候群(クッシング病、 クッシング症候群、異所性ACTH症候群、副 腎癌)、高コルチゾール血症の是正 ②成人及び小児患者における手術前、また は外科手術にて根治不能、コントロール困 難なクッシング症候群のコルチゾール過剰 産生を抑制	○	国内外の臨床試験において、少数 例かつ非対照ではあるものの有効 性及び安全性が確認されており、 国内外で大きな差異は認められな かった。また、国内外の教科書及 び総説において、薬物療法が適応 となる患者において他のステロイド 合成阻害薬とともに投与が推奨さ れており、ガイドラインの記載及び 症例報告で国内における使用実 績が確認できたことから、公知申 請を希望する。	平成23年4月18日 第7回検討会議にて、公知申請 の該当性に係る報告書を取りまとめ済み。承認申 請中。
308	日本小児内分泌学会 日本内分泌学会・日本小児内 分泌学会	メトホルミン塩酸塩	メトグルコ錠250mg	大日本住友製薬	2型糖尿病に対する小児用法・用量の追加	○	平成23年4月頃、治験実施計画書 提出予定。	要望内容に関連する面談結果を踏まえ、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。

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
107	日本医学放射線学会 日本放射線腫瘍学会	グラニセトロン塩酸塩	カイトリル錠、カイトリル細粒、カイトリル注、カイトリル点滴静注バッグ	中外製薬	放射線照射に伴う消化器症状(悪心、嘔吐)		本剤は「放射線照射に伴う悪心、嘔吐の予防」を適応として、米国では経口剤において、英国では経口剤並びに注射剤において適応を取得していること、MASCC2004、ASCO2006、NCCN2010、PDQ2010の各種ガイドライン中で推奨されており、日本癌治療学会編「制吐薬適正使用ガイドライン2010年5月(第1版)」でも取り上げられていること、日本と欧米とで用法・用量に大きな違いが認められておらず、海外の有効性並びに安全性プロファイルを参考とし、国内において適正に使用できると考えられることから、本剤は経口剤及び注射剤とも「放射線照射に伴う悪心、嘔吐の予防」の治療選択肢の一つであり、公知申請を希望する。	平成23年6月29日 第8回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめ済み。承認申請中。
126	日本移植学会 日本移植者協議会	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用25mg	ジェンザイム・ジャパン	腎移植後の急性拒絶反応の治療		平成23年4月22日承認済み。	
139	小児腎臓病学会	シクロホスファミド	エンドキサン錠50mg	塩野義製薬	小児微小変型ネフローゼ症候群	○	本剤のネフローゼ症候群に対する適応は海外[米国(小児のみ)、独国、仏国]において要望内容に沿った用法・用量で承認されており、国内外の教科書やガイドラインでも治療選択肢の一つとして記載され、推奨されている。また、海外の文献において、要望内容に沿った用法・用量での本剤の有効性、安全性が確認され、国内の文献において臨床での使用実態が認められ、海外で得られた効果を否定するものではなかったことから、ネフローゼ症候群に対しステロイド及び本剤を用いた治療法が用いられていることが確認できたと考え、公知申請を希望する。	平成23年4月18日 第7回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめ済み。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
260	日本消化器病学会 厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患克服研究事業 難治性炎症性腸管障害に関する調査研究	ブデソニド(経口剤)	Entocort EC(米) Entocort CR 3mg(英) Entocort(独) Entocort 3mg(仏)	アストラゼネカ	経口剤の剤形追加、効能効果は「回腸又は上行結腸に病変を有する軽度から中等度の活動期クローン病」		平成23年中に臨床試験を開始予定。	要望内容に関連する面談結果を踏まえ、規制当局との合意事項に基づき開発中。
265	日本医学放射線学会 日本核医学会 日本中毒学会・日本中毒情報センター	ヘキサシアノ鉄(II)酸鉄(III)水和物	ラディオガルダーゼカ プセル500mg	日本メジフィジックス	タリウム中毒の治療		平成23年中に承認申請のための文献調査を開始する。	企業において申請準備中。 なお、放射性セシウムによる体内汚染の軽減の適応については承認済み。
295	小児腎臓病学会	ミコフェノール酸 モフェチル	セルセプトカプセル 250	中外製薬	腎移植における拒絶反応の抑制に対する小児用法・用量の追加	○	要望の効能について、欧米4カ国で小児の用法・用量が承認されており、欧米の小児腎移植ガイドラインに本剤を用いた免疫抑制療法の記載がある。また、複数の海外臨床試験及び国内外の文献において本剤の有効性が示唆されており、国内の厚生労働科学研究及び成人の効能追加に伴う市販後調査において、小児に対しても本剤の効果が期待され、安全性についても特段の問題は認められなかったことから、公知申請を希望する。	平成23年4月18日 第7回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめ済み。承認申請中。
336	日本移植者協議会	リツキシマブ(遺伝子組換え)	リツキサン注	全薬工業	ABO血液型不適合の腎移植における液性拒絶反応の抑制		平成23年9月頃、治験実施計画書提出予定。	治験相談実施済み(平成23年6月)。

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…………… 6

<体内診断用薬分野>

本邦における未承認薬…………… 7

2. 循環器WG
○循環器器器官用薬分野

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
112.2	日本心血管インターベンション 治療学会	クロビドグレル硫酸塩	プラビックス錠25mg、 プラビックス錠75mg	サノフィ・アベンティス	以下のアテローム血栓症イベントの抑制 末梢動脈疾患の効能追加		臨床試験を現在実施中	
112.3					経皮的冠動脈インターベンション(PCI)が適 用されるST上昇型心筋梗塞(STEMI)の効能 追加	海外臨床試験よりSTEMIに対する 有用性が示されており、海外では STEMIに対する承認を有している。 また、国内においても学術集会等 よりSTEMIに対する使用例が報告 されている。国内外のガイドライン にも、本剤をSTEMIに対して使用 することが記載されている。以上よ り、公知申請を希望する。	再審査期間中であることを踏まえると、本剤の有 効性及び安全性は医学薬学上公知とは言えない と判断せざるを得ないが、海外のみならず、本邦 においても本剤が既に標準的治療薬として広く使 用されていること、本要望に関する本邦の類薬の 臨床試験において、対照薬として設定されている こと、及び本邦においては、PCIが適用される急性 冠症候群のうち、本要望の対象疾患であるST上 昇心筋梗塞以外の、不安定狭心症、非ST上昇心 筋梗塞については既に承認されていること等の現 状を踏まえると、使用実態調査を実施したうえで、 国内で新たに臨床試験を実施せずに既存の情報 を用いて申請可能か検討する必要があると考える。	
274.1	日本小児循環器学会	プロプラノロール塩酸 塩	インデラル錠10mg、 20mg	大日本住友製薬	小児に関わる不整脈(期外収縮(上室性、心 室性)、発作性頻拍の予防、頻拍性心房細 動(徐脈効果)、洞性頻脈、新鮮心房細動、 発作性心房細動の予防)	○	国内外の代表的教科書において、 プロプラノロールが、期外収縮(上 室性/心室性)、発作性頻拍(上室 性/心室性)、心房細動に対して有 効である旨が記載されており、英 国、米国のガイドラインにも小児不 整脈に対するプロプラノロールの 用量が記載されている。国内症例 報告及び研究報告においても、プ ロプラノロールが小児不整脈に対 して有効であることが報告されて いる。以上より、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(「公知申請への妥当性に 係る報告書(案)」参照)。
362	一般社団法人日本脳卒中学 会	血栓溶解剤(rt-PA製 剤)	①グルトバ注600万、 同注1200万、同注 2400万 ②アクチバシ注、 600万、同注1200万、 同注2400万	①田辺三菱製薬 ②協和発酵キリン	虚血性脳血管障害急性期に伴う機能障害 の改善の適応を発症後3時間以内から発症 後4.5時間以内に変更		発症後3時間超4.5時間以内の虚 血性脳血管障害に対する本剤の 有用性は、海外臨床試験により検 証されており、また、メタ・アナリシ スによる発症後4.5時間までの投 与における有用性の報告、及び国 際的教科書への記載があること、 欧米のガイドラインで推奨されてい ることから、国際的な標準的治療 に位置づけられており、また、国内 においても一定の使用経験がある ことから、有効性が期待され、許容 可能な安全性が示されていると判 断し得る。以上より、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。

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
12.2	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会	Ioflupane I123 Injection	DaTSCAN	日本メジフィジックス	レビー小体型認知症(DLB)と推定される病態とアルツハイマー型認知症(AD)の識別診断		臨床試験実施予定	治験相談実施済み(平成23年2月)。

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	10
本邦における適応外薬	10

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
1	個人	3、4-ジアミノピリジン	Firdapse(欧州)	(国内関係企業なし)	Lambert-Eaton筋無力症候群による筋力低下の改善			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
217	日本緩和医療学会 日本緩和医療薬学会	Hydromorphone Hydrochloride	Palladone、Dillaudid、 Dillaudid-HP	ムンディファーマ	癌性疼痛		治験実施予定	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(2011年8月23日に治験相談を実施し、現在、規制当局との合意に向けて開発計画を検討中)。
243	日本てんかん学会 日本小児神経学会	ピガバトリン	Sabril	サノフィ・アベンティス	点頭てんかん(West症候群)	○	治験実施予定	治験相談利用予定あり(2011年9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
8	日本眼科学会 日本弱視斜視学会	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	斜視		治験実施予定(2011年11月頃治験計画届書提出予定)	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。
80	日本緩和医療学会 日本緩和医療薬学会	オキシコドン塩酸塩	オキシコンチン錠、オキノーム散	塩野義製薬	中等度から高度の慢性疼痛における鎮痛		治験実施予定(2011年12月頃治験計画届書提出予定)	治験相談利用予定あり。
114	日本睡眠学会	クロミプラミン塩酸塩	アナフラニール錠	アルフレッサファーマ	ナルコレプシーに伴う情動脱力発作		要望内容に関連する効能・効果は海外(英国、独国)で承認されており、国際的な診断治療ガイドラインや教科書等にも記載されている。また、本剤の効果については、1960年代より知られており(Expert Opin Emerging Drugs, 15:139-58, 2010)、多くの総説等に記載されているが、国内使用実態については現時点で十分に把握できていないため、今後、関連学会の協力を得て、要望内容に係る日本人の使用実態調査等を実施し、日本人における本剤の安全性及び有効性等について確認し、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。
186	日本線維筋痛症学会	デュロキセチン塩酸塩	サインバルタカプセル	塩野義製薬	線維筋痛症		治験実施予定(2011年12月頃治験計画届書提出予定)	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(2011年8月30日に治験相談を実施し、現在、規制当局との合意に向けて開発計画を検討中)。

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
250	日本神経学会	ヒト免疫グロブリン	献血用ヴェノグロブリンIH5%静注	ベネシス	重症筋無力症急性増悪に対する免疫グロブリン大量療法		承認申請中(献血用ヴェノグロブリンIH5%静注)	平成23年1月24日付で要望者である日本神経学会より、要望製剤を「献血用ヴェノグロブリンIH5%静注(ベネシス)、献血ベニロン-I 静注用(化学及血清療法研究所)、献血グロベニン-I 静注用(日本製薬)」から「献血用ヴェノグロブリンIH5%静注」のみに変更する旨の文書が提出されたため、平成23年3月7日付で「献血ベニロン-I 静注用」及び「献血グロベニン-I 静注用」の開発要請が取り下げられた(平成23年3月7日付 医政研発0307第1号及び薬食審査発0307第3号 厚生労働省医政局研究開発振興課長及び医薬食品局審査管理課長通知)。
262	日本うつ病学会	クエチアピン fumarate	セロクエル錠またはセロクエル徐放化錠(徐放化錠は未承認)	アステラス製薬	双極性障害におけるうつ状態		治験実施予定(大うつ病性障害患者を対象とした第Ⅲ相試験結果を踏まえ、双極性障害のうつ状態に対する臨床試験を2011年11月頃実施予定)	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。
268	日本小児心身医学会	フルボキサミン	ルボックス錠、デプロメール錠	アボットジャパン、Meiji Seika ファルマ	小児における強迫性障害	○	要望学会等と協力し、追加臨床試験の実施可能性の調査等を行った後、それを踏まえた治験実施計画について検討する。	治験相談利用予定あり。
297	全国多発性硬化症友の会 個人	ミトキサントロン塩酸塩	ノバントロン注	ファイザー	多発性硬化症		要望内容に関連する効能・効果については海外(米国、独国、仏国)で承認されており、国際的な治療ガイドラインや教科書等にも記載されている。本邦では適応外使用となるため、その使用頻度は多くないが、日本人多発性硬化症患者においても同様の有効性が報告されている。また、本剤の予想される副作用は、多くの日本人がん患者から報告されており、その種類及び取扱いが、がん患者を対象とした国内外の添付文書及び多発性硬化症患者を対象とした海外の添付文書上で同様であることから、日本人の多発性硬化症患者で予想される副作用も同様と考える。以上のことから、本剤の多発性硬化症に対する効能追加について公知申請を希望する。	本剤は心不全や急性白血病等の重篤な副作用が知られている。また、海外(米国、独国、仏国)での多発性硬化症患者に対する本剤(もしくはミトキサントロン製剤)の承認用法・用量項には、投与間隔、投与可能な累積生涯投与量も記載されているが、各国で承認されている投与間隔、累積生涯投与量等が異なっている。また、多発性硬化症治療ガイドライン2010(日本神経学会、日本神経免疫学会、日本神経治療学会)において、本剤については、「総投与量」項にて、「欧米では140mg/m ² をめぐとしているが、日本人では白血球数の回復が次第に鈍くなるためそこまで投与することはできない。参考までに、宇多野病院では2007年現在、70mg/m ² を目途としている。」と記載されている。さらに、国立病院機構 宇多野病院のホームページには、「MS(多発性硬化症)に対するミトキサントロン治療」項に、「日本人では体表面積当たりの投与量で設定しても、白血球数減少が強く、ヨーロッパ人並みの総投与量は期待できない。白血球数の回復の悪さが作用の強さを物語っているとすれば、総投与量に比して、欧米からの報告以上の効果を期待できるかもしれないが、現時点では不明と言わざるを得ない」と記載されている。多発性硬化症については、本剤の民族差が懸念されるため、多発性硬化症の効能・効果に係る承認申請時において日本人の多発性硬化症患者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、その際に日本人の多発性硬化症患者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、現時点で日本人の多発性硬化症患者における本剤の有効性及び安全性等について評価可能なデータが十分ではないと考えられることから、承認申請時には、少なくとも日本人の多発性硬化症患者対象の臨床試験成績が必要と考える。なお、具体的な臨床試験の実施方法などについては、機構と治験相談を実施することを推奨する。

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
305	日本神経学会	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	ファイザー	多発性硬化症の急性期および急性増悪・再燃時の治療		要望内容に関連する効能・効果については海外(米国、英国、仏国)で承認されており、国際的な治療ガイドラインや教科書等にも記載されている。また、本剤の効果については、多くの総説等に記載されており、本邦においても標準的治療法として広く行われているもの、国内使用実態に関するエビデンスは不足している。今後、関連学会の協力を得て、要望内容に係る日本人の使用実態調査等を実施し、日本人における本剤の安全性及び有効性等について確認し、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。
327	日本定位・機能神経外科学会 日本ニューロモデュレーション学会 国立がんセンター研究所・東京女子医科大学合同髄腔内薬物投与疼痛治療チーム 長崎緩和医療創薬開発・利用促進連携グループ	モルヒネ塩酸塩水和物	モルヒネ塩酸塩水和物くも膜下投与用製剤	(国内関係企業なし)	下記における体内植え込み型薬剤投与とポンプを用いた脊髄くも膜下腔内持続投与 ① 中等度から高度の疼痛をともなう各種癌における鎮痛 ② 難治性慢性疼痛に対する鎮痛			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
329	日本てんかん学会 日本脳神経外科学会 日本小児神経学会	ラモトリギン	ラミクタール錠	グラクソ・スミスクライン	①成人における部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する単剤療法 ②成人における強直間代発作に対する単剤療法 ③小児における定型欠神に対する単剤療法	○	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。
332	日本小児神経学会 日本小児心身医学会	リスベリドン	リスバダール錠、OD錠、細粒、内用液	ヤンセン ファーマ	小児における自閉症・Disruptive Behavior Disorders (DBD:破壊的行動障害)	○	治験実施予定(関係学会にて、開発が必要な適応症に関する合意を得た後に、治験相談を利用予定。なお、関係学会における合意は2011年9月までに得られる見込みであるが、合意の時期が変更となった場合、治験相談の利用予定時期も同様に変更があり得る。)	治験相談利用予定あり(2011年12月頃)。
355	日本てんかん学会 日本小児神経学会	ロラゼパム	Ativan	ファイザー	注射剤の剤型追加、てんかん重積状態	○	治験実施予定(現在、予備検討用製剤にて安定性予試験を実施中)	治験相談利用予定あり(2012年3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。

抗菌・抗炎症 WG

< 抗菌薬分野 >

本邦における未承認薬…………… 14

本邦における適応外薬…………… 14

< 抗炎症薬・呼吸器管用薬分野 >

本邦における未承認薬…………… 18

本邦における適応外薬…………… 18

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
22	「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	アトバコン・塩酸プロゲアニル	Malarone	グラクソ・スミスクライン	薬剤耐性熱帯熱マラリアを含むマラリアの治療及び予防		平成24年3月頃、承認申請予定。	企業において申請準備中。
206	日本感染症教育研究会 社団法人 日本感染症学会	ナフシリン	NAFCILLIN	国内関連企業なし	ペニシリンアゼ産生ブドウ球菌による感染症			当該医薬品は、開発企業を募集する医薬品である。
237	社団法人 日本感染症学会 「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	パロモマイシン	Humatin	ファイザー	腸管アメーバ症		平成23年11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
124	日本感染症教育研究会 社団法人 日本感染症学会	ゲンタマイシン硫酸塩	ゲンタシン注	MSD	最大投与量の変更		平成23年10月頃、治験実施計画書提出予定。	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。
125	社団法人 日本感染症学会 社団法人 日本化学療法学会 東京HIV診療ネットワーク 厚生労働省難治性血管炎に関する調査研究班	スルファメトキサゾール・トリメトプリム	バクタ配合錠・配合顆粒 バクトラム配合錠・配合顆粒	塩野義製薬 中外製薬	ニューモシスチス肺炎、免疫抑制薬使用下の肺炎の治療及び予防		海外では、既に「ニューモシスチス肺炎に対する予防及び治療」について、本剤の要望内容に沿った用法・用量で承認されており、国内外で教科書やガイドラインでも第一選択薬として記載されている。また、海外の文献では予防及び治療に対する有効性及び安全性が無作為比較試験で検証され、本邦の文献では臨床使用実態も認められていることから、公知を希望する。	使用実態調査の結果を踏まえて検討中。

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
152	社団法人 日本化学療法学会	シプロフロキサシン	シプロキサシ注	バイエル薬品	最大投与量の変更		海外においては、複数の臨床試験、メタアナリシスにおいて本剤400mg 1日2-3回投与の有効性が検証されており、世界的に承認・市販されている用法・用量である。教科書及び国外ガイドラインにおいても緑膿菌を含むグラム陰性菌感染症には第一選択薬として推奨されている。一方で、国内においては、国外同様に緑膿菌を含むグラム陰性菌感染症には第一選択薬として推奨されているものの、その用法・用量は、国内承認用法・用量である300mg 1日2回となっており、文献検索においても400mg 1日2-3回の有効性の報告はみられなかった。しかしながら、PK-PD理論より、増量することによって既承認用法・用量よりも高い有効性が期待できる。また、これまで集積された情報から安全性にも問題は認められないため、公知申請を希望する。	WGで詳細に検討中。
168	社団法人 日本化学療法学会	タゾバクタムナトリウム・ピペラシリンナトリウム	ゾシン静注用	大鵬薬品工業	発熱性好中球減少症		本剤の個別患者レベルでのベネフィットとしては、より広範な原因菌に対してPK-PD理論に基づいた優れた効果が期待できることである。また、その臨床効果については、海外における多くの臨床使用経験にもとづき、57カ国で成人と小児における発熱性好中球減少症の適応を取得するとともに、ガイドライン及び教科書に推奨薬として記載されるなど、豊富なエビデンスが存在する。国内の発熱性好中球減少症患者における本剤の使用実績は豊富とはいえないが、PK-PD解析から本剤の要望に対する有効性は期待できる。また、安全性についても、現在得られている情報から日本人に特有の副作用の発現は認められておらず、副作用を十分コントロールできる薬剤であり、大きな問題はないと考えられるため、公知を希望する。	発熱性好中球減少症患者に対する本剤の使用について、海外におけるエビデンスがあり、ガイドラインにおいても推奨されていることは理解するものの、国内における使用実績は十分には得られていないと考える。このため、日本人患者に対する本剤の有効性及び安全性を確認するための臨床試験を実施する必要があると考える。

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
239	日本感染症教育研究会 社団法人 日本感染症学会	バンコマイシン塩酸塩	塩酸バンコマイシン点 滴静注用	塩野義製薬	<適応菌種> メチシリン耐性コアグラセ陰性ブドウ球 菌、ペニシリン耐性腸球菌 <適応症> 好中球減少時の発熱 等		有効性及び安全性について総合 評価を行ったところ、外国人と日本 人で異なる点もなく、本剤は要望 疾患に対する治療薬として臨床現 場で用いられていることを確認し た。また、要望内容について、既に 海外で承認され、国内外の治療ガ イドラインにも記載されていること、 更に、教科書に加え使用実態を示 す信頼できる海外文献も多数ある ことから、公知申請を希望する。 しかし、本剤は重症感染症に対す る最後の砦となる治療薬であるこ と、耐性菌拡大の懸念は医療現場 でも大きいと推察されることから、 耐性菌拡大防止のためのガイド ラインを策定し、適正使用が厳格に 推進される環境が整備されること が要望された効能を追加する承認 申請の前提となる。	WGで詳細に検討中。
251	日本感染症教育研究会 社団法人 日本感染症学会 社団法人 日本化学療法学会	ピペラシリンナトリウ ム	ペントシリン注射用	富山化学工業	最大投与量の変更		平成23年11月頃、治験実施計画 書提出予定。	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。
276	日本感染症教育研究会 社団法人 日本感染症学会	ベンジルペニシリンカ リウム	注射用ペニシリンGカ リウム	Meiji Seika ファルマ	静脈内投与の追加 <適応微生物> 梅毒トレポネーマ <適応症> 梅毒、感染性心内膜炎、化膿性 髄膜炎		国内外のガイドラインでは、梅毒、 感染性心内膜炎、化膿性髄膜炎 に対して本剤の静脈内投与が推 奨されている。また、文献等の報 告から、本剤の有効性及び安全性 に大きな問題はなかった。このよ うな国内外の情報から、公知申請を 希望する。	平成23年6月29日第8回検討会議にて、公知申請 の該当性に係る報告書を取りまとめ済み。承認申 請中。
285	日本造血細胞移植学会	ホスカルネットナトリウ ム水和物	点滴静注用ホスカピ ル注	アストラゼネカ	造血幹細胞移植患者におけるサイトメガロ ウイルス(CMV)血症及びCMV感染症		平成23年5月20日承認済。 (承認された効能・効果は、「造血 幹細胞移植患者におけるサイトメ ガロウイルス血症及びサイトメガロ ウイルス感染症」)	

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
314.2	日本緩和医療学会 日本緩和医療薬学会	メトロニダゾール	METROGEL	ガルデルマ	外用剤の剤形追加 がん性悪臭の軽減		メトロニダゾールの外用剤については英国で承認されており、本要望への使用について、WHOや米国臨床腫瘍学会でも推奨されている。本邦においては、本剤を使用した臨床試験の報告はないが、国内のメトロニダゾールを外用剤として院内で調製し使用した症例報告において、多くの症例で有効性が認められたと報告されており、本剤の作用について、病変部の嫌気性菌に直接作用し効果を発現することから、民族差・人種差に影響される要因が見当たらないことを踏まえて総合的に判断すると、本剤は、海外同様に日本人でのがん性悪臭に対しても一定の有効性を期待できる薬剤であり、安全性についても海外と同様大きな問題は認められないと考えられるため、公知申請を希望する。	本剤は、「新投与経路医薬品」に該当し、国内使用実績は得られていないと考える。このため、少なくとも日本人に本剤を塗布した際の安全性について確認する臨床試験は必要と考える。
353	日本結核病学会 社団法人 日本呼吸器学会	レボフロキサシン水和物	クラビット	第一三共	多剤耐性結核		国内外において、ロシアで多剤耐性結核の適応を有する以外は、要望された効能又は効果の承認は有していない。本邦でも試験は行われておらず、文献報告はレトロスペクティブ調査がほとんどであるが、国内外の医療現場において結核治療のガイドラインに従った相当の使用実績があり、国際的に信頼される学術雑誌に掲載された科学的根拠となる論文又は総説等があることから、公知申請を希望する。	再審査期間中であることを踏まえると、本剤の有効性及び安全性は医学薬学上公知とは言えないと判断せざるを得ないが、国内外の結核診療ガイドラインにおいて、本剤は二次抗結核薬として位置づけられている現状等を踏まえ、使用実態調査を実施したうえで既存の情報を精査し、今後の方針を検討すべきと考える。

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。

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
250.2	日本ヒドロキシシクロロキン研究会	ヒドロキシシクロロキン	Plaquenil	サノフィ・アベンティス	慢性円板状エリテマトーデス、全身性エリテマトーデス		平成23年11月頃、治験実施計画書提出予定。	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
19.1	日本緩和医療学会 日本緩和医療薬学会	アセトアミノフェン	Perfalgan Acetavance	テルモ	点滴静注製剤の剤形追加 軽度から中程度の急性疼痛、発熱	○	平成23年4月、治験実施計画書提出済み。	治験相談利用予定あり。
57.1	「ペーチェット病に関する調査研究」班 北海道ペーチェット病友の会 ペーチェット病友の会 個人	インフリキシマブ	レミケード点滴静注用	田辺三菱製薬	ペーチェット病の特殊型(腸管型、神経型、血管型)		ペーチェット病は、地中海沿岸地域から極東地域を結ぶシルクロードに沿った地域に多く欧米では少ない疾患であり、病態が多様であることから、無作為化比較試験や大規模臨床試験の実施は容易ではない。国内外の文献情報は豊富とは言えないが、海外オープンラベル試験や国内外の症例報告及び国内研究班による調査において、特殊型のペーチェット病やその他の難治性症状に対する本剤の有効性・安全性が確認されており、国際的な教科書や診療ガイドラインで本剤の使用が推奨されている。また、本邦で行われている600例を超える「ペーチェット病による難治性網膜ぶどう膜炎」の使用成績調査より、腸管、神経、血管症状など眼外症状を合併するペーチェット病患者に対しても本剤が使用され、各症状の改善が示唆される症例が認められたことから、公知申請を希望する。	要望されている効能・効果に対する本剤の有効性を評価することを目的とした国内外の臨床試験は行われておらず、教科書・ガイドライン等においては、腸管型・神経型に対しては本剤が有効であるとの記載も認められるものの、明確なエビデンスに基づいた記載ではない。また、国際的に信頼できる学会雑誌に掲載された科学的根拠となり得る論文数も限られている。 ペーチェット病は、多様な病態を呈する疾患であること、中近東・東アジアで高い有病率を示すが欧米での有病率は低いことから、無作為化比較試験等によるエビデンスの蓄積が行われてこなかったものと考えられる。 これらのことから、疾患の特性上、比較試験の実施は困難であるものの、日本人患者における有効性及び安全性を確認することを目的とした臨床試験の成績が、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。

抗がん WG

<抗がん剤分野>

本邦における未承認薬	20
本邦における適応外薬	21

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
75	日本小児血液学会 日本小児がん学会	エルウィニア L-アス バラギナーゼ	Erwinase	大原薬品工業	急性リンパ性白血病、悪性リンパ腫	○	治験開始前	<p>治験相談実施済み(2011年8月)。</p> <p>企業見解によると、小児急性リンパ性白血病患者を対象とした国内試験を実施する予定であり、得られた結果について米国で実施された試験成績と比較検討するとのことである。</p> <p>実施予定の試験について、対象患者や評価項目の詳細が不明であること、用法・用量の設定経緯・根拠が不明であること等、現時点において、当該試験デザインの妥当性を判断することは難しい。国内試験を開始する前に、当該試験計画については、開発計画全体を含めて機構と治験相談にて相談することを推奨する。なお、小児患者のみを対象とした開発が計画されているようであるが、既存のL-アスバラギナーゼに過敏症を呈した患者に対する治療薬としての使用が要望されており、既存のL-アスバラギナーゼの使用対象と同様に成人についても開発を検討する必要があると考える。</p>
178	個人	デシタピン	DACOGEN	ヤンセン ファーマ	骨髄異形成症候群		治験実施中	<p>治験相談利用予定あり(2011年8月頃)。</p> <p>企業見解によると、現在、国内第Ⅰ/Ⅱ相試験が実施中であるとのことである。</p> <p>「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)の評価として記載したとおり、本薬は、現在実施中の国内試験とは異なるレジメンにおいてBSCに対して生存期間に有意差が認められない結果が得られているため、現在開発中のレジメンでの有効性を検証した成績は必要と考える。したがって、国内第Ⅰ/Ⅱ相試験成績が得られた段階で、今後の開発計画については検討する必要があると考える。</p>

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
35	有限責任中間法人 日本乳癌学会 個人	パクリタキセル注射剤 (アルブミン懸濁型)	アブラキサン	大鵬薬品工業	乳癌に対する毎週1回投与(3週投与1週休薬)の用法・用量の追加		本剤の有効成分はパクリタキセルであり、パクリタキセルの乳癌への毎週投与法は国内外の医療現場で使用実績が蓄積されている。また、本剤は国内外で3週ごと投与法で承認されており、既に本剤の日本人に対する一定の有効性及び安全性は認められていると考えられる。加えて、本剤の毎週投与法について、国内外で未承認ではあるものの、海外のガイドラインでは治療選択肢の一つとされており、使用経験も蓄積されているものと考えられる。以上より、公知申請を希望する。	本剤は、本邦において2010年7月に承認されており、承認されて間もない状況である。また、審査報告書には既存のパクリタキセル製剤と比べて高い割合で発現する傾向を示す有害事象が見られていることに加えて国内投与症例が非常に限られていることから、製造販売開始後の一定期間は本剤を使用した全症例を対象とした製造販売後調査を実施すべきとされている (http://www.info.pmda.go.jp/shinyaku/P201000049/400107000_22200AMX00876000_A100_1.pdf)。以上のとおり、日本人患者に本剤を投与した際の情報は非常に限られている。加えて、公知申請への該当性に係る企業見解で示されている臨床試験成績はどれも第Ⅱ相試験での探索的検討結果に留まっており、これらの検討結果のみを以て本剤の毎週投与法の有効性及び安全性が評価可能であるか否かといった点についても慎重な検討が必要と考える。 上記の内容を踏まえると、本剤の毎週投与法について、現時点で公知申請することは適当ではないと考える。更なる試験の実施の必要性も含めて、今後の開発計画については機構と治験相談を実施することを推奨する。
46	日本小児血液学会 日本小児がん学会	イホスファミド	注射用イホマイド	塩野義製薬	小児悪性リンパ腫	○	公知申請を希望する。	抗がん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)。
47	日本臨床腫瘍学会	イマチニブ	グリベック錠	ノバルティス ファーマ	FIP1L1-PDGFR α 陽性の慢性好酸球性白血病(CEL)及び好酸球増多症候群(HES)		公知申請を希望する。	4月18日第7回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめたもの。承認申請中。
62	日本産科婦人科学会、日本婦人科腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 卵巣がん体験者の会スマイリー	エトポシド	ベブシドカプセル(ブリストル・マイヤーズ)、ラステットSカプセル(日本化薬)	ブリストル・マイヤーズ 日本化薬	卵巣癌		公知申請を希望する。	6月29日第8回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめたもの。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
78	日本胃癌学会	オキサリプラチン	エルプラット	ヤクルト本社	切除不能進行・再発胃癌		海外の教科書、ガイドラインにおいて、海外第Ⅲ相試験2試験の結果より本薬はシスプラチンとの置き換えが可能と記載されている。一方、国内ではS-1とシスプラチンの併用療法(SP療法)が標準治療と位置付けられており、上記海外第Ⅲ相試験成績を勘案すると、SP療法のシスプラチンを本薬に置き換えた併用療法(SOX療法)の有用性が類推される。また、SOX療法の有効性及び安全性はこれまでに国内第Ⅱ相試験にて確認されており、現在、SP療法に対する本薬とシスプラチンの併用療法の非劣性を検証する国内第Ⅲ相試験が実施中であることから、今後更なるエビデンスの蓄積が可能と考える。以上より、公知申請を希望する。	シスプラチンとの置き換えが可能との記載の根拠となった第Ⅲ相試験の成績について、1試験は国内で用いられていないレジメンでの試験、1試験は仮説の検証がなされていない試験である。また、企業見解によると、現在、国内で標準治療とされているSP療法に対する非劣性を検証する第Ⅲ相比較試験が実施中であるとのことである。本試験デザインに関する治験相談が複数回実施されているようであるが(企業より提出された未承認薬等の要望に対する追加の見解に添付された参考文献より)、現在実施中の当該試験の詳細なデザインは不明であり、試験デザインの適否について、現時点では判断できない。以上より、当該試験成績を踏まえて、承認申請の可否等を治験相談にて機構と相談することを推奨する。
82	厚生労働科学研究費補助金(難治性疾患克服研究事業)「わが国における多発性内分泌腫瘍症の診療実態把握とエビデンスに基づく診療指針の作成」研究班	オクトレオチド	サンドスタチンLAR筋注用	ノバルティス ファーマ	カルチノイド腫瘍のうち、無症候性かつ切除不能な転移性腫瘍		公知申請を希望する。	4月18日第7回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめたもの。承認申請中。
100	有限責任中間法人日本乳癌学会 日本臨床腫瘍学会 あけぼの神奈川 個人	カルボプラチン	パラプラチン注射液	ブリストル・マイヤーズ	乳癌		公知申請を希望する。	4月18日第7回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめたもの。承認申請中。
143	日本胆道学会、日本癌治療学会 日本外科学会、厚生労働省厚生労働科学研究費補助金が臨床研究事業(第3次対がん総合戦略研究事業)「切除不能胆道がんに対する治療法の確立に関する研究」研究班、胆嚢友の会 日本臨床腫瘍学会 東北大学病院腫瘍内科、東北大学加齢医学研究所・癌化学療法研究分野 個人	シスプラチン	プリプラチン注射液(ブリストル・マイヤーズ)、 ランダ注(日本化薬)	ブリストル・マイヤーズ 日本化薬	胆道癌		公知申請を希望する。	6月29日第8回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめたもの。承認申請中。
148	日本内分泌外科学会及び日本甲状腺外科学会 日本内分泌学会	シナカルセト	レグパラ錠	協和発酵キリン	副甲状腺癌に伴う高カルシウム血症		治験開始前	治験相談実施済み(2011年2月)。 治験相談を踏まえて開発計画について、検討中。
196	有限責任中間法人日本乳癌学会	トラスツズマブ	ハーセプチン注射用	中外製薬	HER2過剰発現が確認された乳癌における術前補助化学療法		公知申請を希望する。	4月18日第7回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめたもの。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
197	有限責任中間法人日本乳癌学会	トラスツズマブ	ハーセプチン注射用	中外製薬	HER2過剰発現が確認された転移性乳癌について、3週間1回投与の用法・用量の追加		公知申請を希望する。	4月18日第7回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめたもの。承認申請中。
213	日本産科婦人科学会、日本婦人科腫瘍学会	ノギテカン	ハイカムテン注射用	日本化薬	進行・再発子宮頸癌		①海外第Ⅲ相試験において本薬とシスプラチンの併用療法での有効性及び安全性が確認され海外各国で承認されていること、②教科書やガイドラインに本薬とシスプラチンの併用療法が治療選択肢として記載されていること、③日本人子宮頸癌患者に対する本薬とシスプラチンの併用療法での試験成績はないものの、日本人小細胞肺癌患者を対象とした試験成績から、日本人子宮頸癌患者に投与した際の安全性については推測可能と考えること(ただし、子宮頸癌患者における用法・用量と若干異なる用法・用量での検討である。)、から公知申請を希望する。	企業は、小細胞肺癌患者を対象とした試験成績から、日本人子宮頸癌患者に対する安全性について推測可能と説明している。しかし、子宮頸癌患者に対する要望用量は、当該試験の結果より得られた本薬の最大耐用量を超えている(ただし、本薬と併用されるシスプラチンの用量は、子宮頸癌患者で用いられる用量より高用量であった。)。また、疾患の特徴を考慮すると、子宮頸癌では放射線照射を実施しているため副作用の発現状況が小細胞肺癌と変わる可能性も考えられる。 以上より、現時点で得られている情報のみから、日本人子宮頸癌患者の安全性を説明することは難しく、当該安全性情報を説明できるような試験の実施が最低限必要と考える。詳細な試験計画については、これまでに得られた情報を整理した上で、機構と治験相談を実施することを推奨する。
218	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人	バクリタキセル	タキソール注射液	ブリistol・マイヤーズ	血管肉腫		公知申請を希望する。	抗がん剤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)。
219	日本食道学会 日本臨床腫瘍学会	バクリタキセル	タキソール注射液	ブリistol・マイヤーズ	食道癌		公知申請を希望する。	抗がん剤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)。
220	社団法人 日本耳鼻咽喉科学会 日本臨床腫瘍学会	バクリタキセル	タキソール注射液	ブリistol・マイヤーズ	頭頸部癌		公知申請を希望する。	抗がん剤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)。
221	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会	バクリタキセル	タキソール注射液	ブリistol・マイヤーズ	子宮頸癌		公知申請を希望する。	抗がん剤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)。
222	日本臨床腫瘍学会 特定非営利活動法人 婦人科悪性腫瘍化学療法研究機構 卵巢がん体験者の会スマイリー	バクリタキセル	タキソール注射液	ブリistol・マイヤーズ	卵巣癌の週1回投与の用法・用量の追加		公知申請を希望する。	抗がん剤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)。

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
277	卵巣がん体験者の会スマイリー	ペバシズマブ	アバステン点滴静注用	中外製薬	卵巣癌		<p>未治療卵巣癌患者に対し、海外第Ⅲ相試験2試験(本薬の投与量は両試験で異なる)より、標準療法への本薬の併用及び維持投与で無増悪生存期間の延長が認められ、現在米国では申請準備中、欧州では審査中である。これらのうち、1試験には国内からも参加しており、日本人患者においても有効性及び安全性は期待できると考える。また、本薬は本邦では2007年に承認された薬剤であるものの、国内において他癌腫での相当の使用実績があると考え。一方、これらの試験の全生存期間のデータを待つて承認申請を行ったり、国内で追加試験が要求された場合には、ドラッグラグが生じると考える。加えて、通常どおりCTDを作成して申請した場合には薬理試験の実施が必要になること、CTD作成のための時間を要する等、ドラッグラグが生じるため、患者さんの立場に立ち、公知申請が認められるべきと考える。</p> <p>また、再発卵巣癌患者に対し、本薬単独投与はゲムシタピンと同時期にNCCNガイドラインに掲載されており、長い歴史を持つ確立された治療法と考える。なお、現在、他剤との併用での第Ⅲ相試験が実施されており、欧米ではこれらの試験成績が得られた後に二次治療例に対する申請を検討する予定であるが、本邦からは第Ⅲ相試験に参加しておらず、当該データが利用できない場合にはドラッグラグが生じること、当該第Ⅲ相試験成績を待つて通常申請を計画したにも関わらず、当該試験成績がネガティブだった場合には本薬単独投与の公知申請の可能性を改めて検討する必要性が生じてしまう等の問題があると考え。</p> <p>以上より、本薬の卵巣癌に対する公知申請を希望する。</p>	<p>本薬の卵巣癌への適応追加については、近年得られた試験成績に基づき、海外では審査中又は申請準備中の状況である。本薬の2つの第Ⅲ相試験成績に基づく評価について、試験により本薬の用量が異なる点、本薬併用群では無増悪生存期間の延長が認められていない点等、公知申請の企業見解には記載しきれない詳細な情報も含めて、十分な議論がなされるべきと考える。</p> <p>また、再発卵巣癌患者を対象とした海外第Ⅱ相試験において消化管穿孔が高い割合で発現したことを理由に卵巣癌に対する企業による開発は一時中止されていた事実もあり、安全性については様々な情報を精査し、申請前に十分に検討される必要があると考える。本薬の卵巣癌患者に投与した際の安全性については、他癌腫での製造販売後の安全性情報が蓄積されつつあるので、その情報も活用し、慎重な議論が必要と考える。</p> <p>なお、企業は、公知申請が認められるべきと主張しているが、上記のような問題点があるため、慎重な議論が速やかに実施されるような開発計画を速やかに立案するべきと考える。</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
283	日本臨床腫瘍学会 特定非営利活動法人グルー プ・ネクサス	ベンダムスチン	トレアキシ点滴静注 用	シンバイオ製薬	①慢性リンパ性白血病 ②多発性骨髄腫		①医薬品医療機器総合機構との 治験相談(平成23年5月頃予定)を 踏まえて、開発方針を決定する予 定 ②治験実施中	①について 企業見解によると、国内における慢性リンパ性白 血病(CLL)患者数が少ないため、CLL患者を対象 とした国内試験を実施せずに海外試験成績を主 要な試験成績として承認申請することを考えてい るとのことである。海外試験成績、国内で得られて いる情報を整理し、国内試験の必要性について、 機構と治験相談にて相談することを推奨する。 ②について 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。 なお、再発又は難治性の低悪性度B細胞性非ホ ジキンリンパ腫及びマンタル細胞リンパ腫の適応 については承認済み。
328	個人	ラパチニブ	タイケルブ錠	グラクソ・スミスクライ ン	乳癌の用法・用量の追加: ①トラスツズマブ併用 ②ホルモン剤併用		治験実施中	①について 治験相談実施済み(2011年3月) ②について 治験相談実施済み(2011年4月)

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

<ワクチン分野>

本邦における適応外薬…………… 28

6. 生物WG
○ワクチン分野

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
376	日本渡航医学会 厚生労働省科学研究補助金 肝炎等克服緊急対策研究事 業「経口感染する肝炎ウイル ス(A型、E型)の感染防止、 遺伝的多様性、および治療に 関する研究班」	乾燥組織培養不活化 A型肝炎ワクチン	エイムゲン	一般財団法人 化学 及血清療法研究所	A型肝炎の予防(16歳未満)	○	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。

小児 WG

本邦における適応外薬…………… 30

7. 小児WG

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
34	社団法人 日本化学療法学会	アモキシシリン水和物	パセトシン細粒 サワシリン細粒	協和発酵キリン アステラス製薬	ペニシリン耐性肺炎球菌による小児感染症 に対する最大投与量の変更	抗菌・抗 炎症WG (抗菌薬 分野)	アモキシシリンとクラバン酸との 配合製剤であるクラバモックス®小 児用配合ドライシロップが本邦に おいて承認されており、本剤 90mg/kg/day投与における有効性 及び安全性は確立されているもの と考えられる。また、本剤の高用量 投与に関するこれまでの報告か ら、高用量投与時の安全性に大き な問題はなく、また有効性に関し てもペニシリン低感受性あるいは抵 抗性の肺炎球菌に対して十分な臨 床効果が期待できると考えられる ことから、公知申請を希望する。	平成23年6月29日第8回検討会議にて、公知申請 の該当性に係る報告書を取りまとめ済み。承認申 請中。
43	社団法人 日本感染症学会	アンピシリンナトリウ ム	注射用ピクシリン	Meiji Seika ファルマ	小児用法・用量の追加	抗菌・抗 炎症WG (抗菌薬 分野)	本剤の有効性に関する文献は国 内外を問わず多数存在し、また、 ネルソンやサンフォード等の教科 書でも小児感染症への本剤による対 処法が推奨されている。国内にお いてもガイドラインやマニュアルが 発表されており、用法用量につい ても詳細な記載がある。また、国 内において、本剤を含む配合剤が 既に小児適応を取得して使用され ていることも有効性及び安全性を 補足するものとする。以上より、 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。	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)。
151	社団法人 日本感染症学会	シプロフロキサシン	シプロキサシ注	バイエル薬品	小児に対するβラクタム系無効の尿路感染 症(複雑性膀胱炎、腎盂腎炎)及び嚢胞性 線維症	抗菌・抗 炎症WG (抗菌薬 分野)	海外において小児複雑性尿路感 染症または腎盂腎炎感染症を対 象とした無作為化二重盲検試験が 実施され、本剤の対照群との非劣 性が示されている。また、国内外 教科書及びガイドラインにおい ても、小児の臨床成績は限られて いること及び非臨床試験成績より小 児での関節障害など安全性の観 点から使用は限定すべきとされて いるものの、他剤無効の緑膿菌を 含むグラム陰性菌感染症に対する 使用は推奨されている。また、要 望されている疾患が希少疾患であ ることを勘案し、これまで得られて いる国内外の情報より公知申請を 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)	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
161	社団法人 日本感染症学会	セフトキシムナトリウム	クラフォラン注射用	サノフィ・アベンティス	化膿性髄膜炎の最大投与量の変更	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)	国内外での本邦の既承認用量を超える高用量を用いた小児の臨床試験及び薬物動態試験において、臨床的意義が示され、安全性にも大きな問題は見られなかった。フランスでは300mg/kg/dayの最大用量は既に承認されている。また、サンフォードやマンデルなどの教科書、国内外ガイドラインなどでも推奨されている。さらに、本邦における小児化膿性髄膜炎の動向調査からも、既に国内承認用量を超える高用量が治療優先の観点から初期治療として一般的に投与されている実態も明らかになった。以上のことを踏まえ、公知申請を希望する。	平成23年6月29日第8回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめ済み。承認申請中。
228	日本小児感染症学会	バラシクロビル塩酸塩	バルトレックス錠・顆粒	グラクソ・スミスクライン	単純疱疹、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、帯状疱疹、性器ヘルペスの再発抑制の小児適応の追加	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)	海外においては本剤の小児用製剤が存在しないため、有効性及び安全性に関する外国人小児でのエビデンスはほとんど存在しない。しかし、有効性に関しては、本剤はアシクロビル製剤の経口吸収性を大幅に改善したプロドラッグであることから、今回開発要請を受けた4つの効能・効果においても、成人で蓄積された各種のデータ、日本人小児水痘患者で実施した薬物動態データと抗ウイルス活性に基づくPK-PD理論(AUEC%)に基づいて、経口アシクロビル製剤と比較して同等以上の有効性であることが担保できる薬剤である。また、安全性においても、本邦で2007年に承認された「小児水痘」における十分な使用経験から、安全性はすでに確立している薬剤であると考えられるため、公知申請を希望する。	造血幹細胞移植における単純ヘルペスウイルス感染症については、成人でも適応症を取得していないことから、成人も含めた臨床試験の実施が必要と考える。その他の要望されている各種効能・効果に対しても、国内外の小児臨床試験成績も全く得られておらず、教科書・ガイドライン等においても明確な記載はなく、また国際的に信頼できる学会雑誌に掲載された科学的根拠となり得る論文数も少ない。また、本剤の予定される小児用法・用量は、本剤の既承認の小児水痘に対する用法・用量を基本に、PK-PD解析から推察し、設定されたものであり、この推察された用法・用量での国内での使用実態は不明である。上記のような状況では、公知として取り扱うことは困難であり、日本人小児における有効性及び安全性を確認することを目的とした臨床試験の成績は、必要と考える。
229	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	バリビズマブ	シナジス筋注用	アボットジャパン	24ヶ月齢以下の免疫不全児(臓器移植後、骨髄移植後、化学療法施行中)におけるRSウイルス感染症の発症抑制	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)	平成23年6月、治験実施計画書提出済み。	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。

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
264.1	社団法人 日本感染症学会	フルコナゾール	ジフルカン静注液・カプセル	ファイザー	造血幹細胞移植を施行する患者の真菌感染症予防	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)	本剤は、各種カンジダ感染症、クリプトコッカス症等の治療薬としてだけでなく、真菌感染症予防薬として、外国でのランダム化比較試験等において有効性は確認され、世界中で広く使用され、その治療の位置付けが確立されている。本邦における真菌症患者に対する臨床試験成績は海外と同様であったこと、また、本邦におけるガイドライン、教科書がカンジダ症、クリプトコッカス症に対しての治療だけでなく予防に対しても使用を推奨し、現在までに有効性・安全性に問題が生じていないことから、公知申請を希望する。	平成23年4月18日 第7回検討会議にて、公知申請の該当性に係る報告書を取りまとめ済み。承認申請中。
340	日本小児感染症学会 社団法人 日本感染症学会	リネゾリド	ザイボックス錠・注射液	ファイザー	小児の用法・用量の追加	抗菌・抗炎症WG(抗菌薬分野)	成人における有効性及び安全性は国内外で確立しており、小児用量が承認されている米国では、小児における有効性及び安全性も確立しているものと考ええる。また、各種教科書及びガイドラインにおいて小児MRSA感染症に対する標準治療薬と位置づけられている。収集されたエビデンスは国内外のデータを網羅しており、国内外の小児における有効性及び安全性は十分と考え、公知申請を希望する。	使用実態調査の結果を踏まえて検討予定。
56	日本小児リウマチ学会	インフリキシマブ	レミケード点滴静注用	田辺三菱製薬	大量ガンマグロブリン治療に抵抗を示す重症川崎病	抗菌・抗炎症薬・呼吸器官薬分野)	IVIG不応例に対する本剤の無作為化比較試験は海外1試験のみである。しかしながら、川崎病では標準療法であるIVIG療法の奏功率が非常に高いことから本剤の対象となる患者は少なく、かつ、乳幼児に好発する疾患であることから臨床試験の実施は難しいと考えられる。従って、国内の使用実態調査結果を含めて、本剤の有効性及び安全性について検討することは妥当と考ええる。国内では日本川崎病学会・厚生労働科学研究班合同の使用実態調査が行われ、有効性及び安全性に関して検討されている。また、研究班では本剤の使用指針案も既に策定されており、本剤はIVIG療法に不応な重症患者に対する治療法の一つとして位置付けられ、使用実態調査から相当数の医療機関にて使用されていることも確認されており、公知申請を希望する。	要望されている効能・効果に対する国内外の小児臨床試験成績はほとんど得られておらず、教科書・ガイドライン等においても明確な記載はない。また国際的に信頼できる学会雑誌に掲載された科学的根拠となり得る論文数も限られている。上記のような状況では、公知として取り扱うことは困難であり、大量ガンマグロブリン治療に抵抗を示す重症川崎病患者における有効性及び安全性を確認することを目的とした既存治療との比較臨床試験の実施が必要と考ええる。

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。