

(別添様式)

未承認薬・適応外薬の要望

1. 要望内容に関連する事項

要望者 (該当するものにチェックする。)	<input checked="" type="checkbox"/> 学会 日本小児耳鼻咽喉科学会 (学会名;) <input type="checkbox"/> 患者団体 (患者団体名;) <input type="checkbox"/> 個人 (氏名;)	
優先順位	2 位 (全 4 要望中)	
要望する医薬品	成分名 (一般名)	シドフォビル
	販売名	ビスタイド
	会社名	ジリード サイエンス
	国内関連学会	日本小児耳鼻咽喉科学会 (選定理由)
	未承認薬・適応外薬の分類 (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
要望内容	効能・効果 (要望する効能・効果について記載する。)	<u>喉頭乳頭腫症</u>
	用法・用量 (要望する用法・用量について記載する。)	<u>生理食塩水で溶解し、2.5mg/mL 溶液を乳頭腫の基部に注入する。病変に応じて適宜繰り返す。</u>
	備考 (該当する場合はチェックする。)	<input checked="" type="checkbox"/> 小児に関する要望 (特記事項等)
「医療上の必要性に係る基	1. 適応疾病の重篤性 <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 病気の進行が可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患	

<p>準」への 該当性 (該当するものにチェックし、該当すると考えた根拠について記載する。)</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 (上記の基準に該当すると考えた根拠) 再発性喉頭喉頭乳頭腫 (RRP) による気道狭窄をきたし、重篤な呼吸困難を生じる</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p><input type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない</p> <p><input checked="" 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明らかに優れている</p> <p>ウ 欧米において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる</p> <p>(上記の基準に該当すると考えた根拠) 全米のデータによるとシドフォビル使用による完全寛解率が高いと報告されている</p>
<p>備考</p>	

2. 要望内容に係る欧米での承認等の状況

<p>欧米等6か国での承認状況 (該当国にチェックし、該当国の承認内容を記載する。)</p>	<p><input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 <input type="checkbox"/> 加国 <input type="checkbox"/> 豪州</p> <p>[欧米等6か国での承認内容]</p> <table border="1"> <thead> <tr> <th></th> <th colspan="2">欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所を下線)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td rowspan="4">米国</td> <td>販売名 (企業名)</td> <td></td> </tr> <tr> <td>効能・効果</td> <td></td> </tr> <tr> <td>用法・用量</td> <td></td> </tr> <tr> <td>備考</td> <td></td> </tr> <tr> <td rowspan="4">英国</td> <td>販売名 (企業名)</td> <td></td> </tr> <tr> <td>効能・効果</td> <td></td> </tr> <tr> <td>用法・用量</td> <td></td> </tr> <tr> <td>備考</td> <td></td> </tr> <tr> <td rowspan="4">独国</td> <td>販売名 (企業名)</td> <td></td> </tr> <tr> <td>効能・効果</td> <td></td> </tr> <tr> <td>用法・用量</td> <td></td> </tr> <tr> <td>備考</td> <td></td> </tr> </tbody> </table>		欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所を下線)		米国	販売名 (企業名)		効能・効果		用法・用量		備考		英国	販売名 (企業名)		効能・効果		用法・用量		備考		独国	販売名 (企業名)		効能・効果		用法・用量		備考	
	欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所を下線)																														
米国	販売名 (企業名)																														
	効能・効果																														
	用法・用量																														
	備考																														
英国	販売名 (企業名)																														
	効能・効果																														
	用法・用量																														
	備考																														
独国	販売名 (企業名)																														
	効能・効果																														
	用法・用量																														
	備考																														

	仏国	販売名（企業名）	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	加国	販売名（企業名）	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
	豪国	販売名（企業名）	
		効能・効果	
		用法・用量	
		備考	
<p>欧米等 6 か国での標準的使用状況 （欧米等 6 か国で要望内容に関する承認がない適応外薬についてのみ、該当国にチェックし、該当国の標準的使用内容を記載する。）</p>	<input type="checkbox"/> 米国 <input type="checkbox"/> 英国 <input type="checkbox"/> 独国 <input type="checkbox"/> 仏国 <input type="checkbox"/> 加国 <input type="checkbox"/> 豪州		
	〔欧米等 6 か国での標準的使用内容〕		
		欧米各国での標準的使用内容（要望内容に関連する箇所を下線）	
	米国	ガイドライ ン名	
		効能・効果 （または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所）	
		用法・用量 （または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所）	
		ガイドライン の根拠論文	
		備考	
	英国	ガイドライ ン名	
		効能・効果 （または効能・ 効果に関連のあ る記載箇所）	
		用法・用量 （または用法・ 用量に関連のあ る記載箇所）	
		ガイドライン の根拠論文	
備考			
独国	ガイドライ		

		ン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	仏国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
	加国	ガイドライン名	
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
		用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
		ガイドラインの根拠論文	
		備考	
豪州	ガイドライン名		

	効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
	用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
	ガイドラインの根拠論文	
	備考	

3. 要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について

(1) 無作為化比較試験、薬物動態試験等に係る公表文献としての報告状況

<文献の検索方法(検索式や検索時期等)、検索結果、文献・成書等の選定理由の概略等>

1)

<海外における臨床試験等>

- 1) Pransky(1999)が重症小児 RRP に対する有効性を報告
- 2) Schraff(2004)によると 小児 RRP の 21%で深療法を併用、そのうち48%がシドフォビルを使用しており、シドフォビル治療群の61%で著名改善または治癒、35%で改善なし、4%で悪化であった。
- 3) Chadha(2007)の全米データでは158例中57%に完全寛解、37%に部分反応、8%が無反応であった。

<日本における臨床試験等>

- 1) 臨床試験の報告はなし

(2) Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

--

(3) 教科書等への標準的治療としての記載状況

<海外における教科書等>

- 1) Pransky SM, Brewster DF, Magit AE and Kearns DB. Clinical update on

10 children treated intralesion cidofovir injections for severe recurrent respiratory papillomatosis.

Arch Otolaryngol Head Neck Surg. 126:1239-43,2000.

2) Schraff S, Derkay CS, Burke B and Lawson L. American society of pediatric otolaryngology members' experience with recurrent respiratory papillomatosis and the use of adjuvant therapy.

Ach Otolaryngol Head Neck Surg 130:1039-42, 2004.

3) Derkay CS, Wiatrak B. Recurrent respiratory pappillomatosis : a review Laryngoscope 118:1236-47,2008.

<日本における教科書等>

1) なし

(4) 学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

<海外におけるガイドライン等>

1)

<日本におけるガイドライン等>

1)

(5) 要望内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態（上記（1）以外）について

1) 小児 RRP に対してシドフォビルを使用した報告例はある。

(6) 上記の（1）から（5）を踏まえた要望の妥当性について

<要望効能・効果について>

1) 喉頭乳頭腫に対する不可逆的な状況回避にシドフォビルは有用と考えられる。

<要望用法・用量について>

1) 生理食塩水で溶解し、2.5mg/mL 溶液を乳頭腫の基部に注入する。病変に応じて適宜繰り返す。

<臨床的位置づけについて>

1) 喉頭乳頭腫症において初回時および再発時に基部に局所注射することで根治率が高まれば、第一選択になる可能性がある。

2) 海外においては既に治験が終了しており、承認を待っている状況です。

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1)

5. 備考

<その他>

1)

6. 参考文献一覧