

(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 (学会名; 日本感染症学会) <input type="checkbox"/> 患者団体 (患者団体名;) <input type="checkbox"/> 個人 (氏名;)	
優先順位	1 位 (全 8 要望中)	
要望する医薬品	成分名 (一般名)	Pyrimethamine
	販売名	Daraprim
	会社名	GlaxoSmithKline
	国内関連学会	日本エイズ学会 (選定理由) エイズに特化した学会であるため
	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。)	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発予防
	用法・用量 (要望する用法・用量について記載する。)	初日は1回 200mg、その後は1回 50-75mg/日を経口投与する
	備考 (該当する場合はチェックする。)	<input 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準」への該当性	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	

<p>(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>(上記の基準に該当すると考えた根拠) トキソプラズマ脳炎は治療をしなければ脳内の膿瘍が拡大し死にいたる疾患である</p> <p>2. 医療上の有用性</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> ア 既存の療法が国内にない</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> イ 欧米等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>ウ 欧米等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) エイズ治療薬研究班における日本人エイズトキソプラズマ脳炎に対する有効性から推測される</p>
<p>備考</p>	<p>トキソプラズマ脳炎に対して pyrimethamine + sulfadiazine + leucovorin で使用する。Leucovorin は pyrimethamine + sulfadiazine による骨髄障害を防止するために使用する。</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 checked="" 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 colspan="2">欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所に下線)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td data-bbox="406 1198 502 1243">米国</td> <td data-bbox="502 1198 1380 1243">販売名 (企業名) Daraprim (GlaxoSmithKline)</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1243 1380 1288">効能・効果 トキソプラズマ症の治療、予防</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1288 1380 1377">用法・用量 初日は1回 200mg、その後は1回 50-75mg /日</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1377 1380 1433">備考</td> </tr> <tr> <td data-bbox="406 1433 502 1478">英国</td> <td data-bbox="502 1433 1380 1478">販売名 (企業名)</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1478 1380 1523">効能・効果</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1523 1380 1568">用法・用量</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1568 1380 1624">備考</td> </tr> <tr> <td data-bbox="406 1624 502 1668">独国</td> <td data-bbox="502 1624 1380 1668">販売名 (企業名)</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1668 1380 1713">効能・効果</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1713 1380 1758">用法・用量</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1758 1380 1814">備考</td> </tr> <tr> <td data-bbox="406 1814 502 1859">仏国</td> <td data-bbox="502 1814 1380 1859">販売名 (企業名)</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1859 1380 1904">効能・効果</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1904 1380 1948">用法・用量</td> </tr> <tr> <td></td> <td data-bbox="502 1948 1380 2004">備考</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に下線)		米国	販売名 (企業名) Daraprim (GlaxoSmithKline)		効能・効果 トキソプラズマ症の治療、予防		用法・用量 初日は1回 200mg、その後は1回 50-75mg /日		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
欧米各国での承認内容 (要望内容に関連する箇所に下線)																																		
米国	販売名 (企業名) Daraprim (GlaxoSmithKline)																																	
	効能・効果 トキソプラズマ症の治療、予防																																	
	用法・用量 初日は1回 200mg、その後は1回 50-75mg /日																																	
	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	
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。)	<input checked="" 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	Guidelines for Prevention and Treatment of Opportunistic Infections in HIV-Infected Adults and Adolescents, Recommendations from CDC, the National Institutes of Health, and the HIV Medicine Association of the Infectious Diseases Society of America
		効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	10-14p
	用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	148P	
	ガイドラインの根拠論文	1. Katlama C, De Wit S, O’Doherty E, Van Glabeke M, Clumeck N. Pyrimethamine-clindamycin vs. pyrimethamine-sulfadiazine as acute and long-term therapy for toxoplasmic encephalitis in patients with AIDS. Clin Infect Dis 1996; 22:268–75. 2. Dannemann B, McCutchan JA, Israelski D, et al. Treatment of toxoplasmic encephalitis in patients with AIDS. a randomized trial comparing pyrimethamine plus clindamycin to pyrimethamine plus sulfadiazine. Ann Intern Med 1992;116:33–43. 3. Leport C, Raffi F, Matheron S, et al. Treatment of central nervous system toxoplasmosis with pyrimethamine/sulfadiazine combination in 35 patients with the acquired immunodeficiency	

		syndrome: efficacy of long-term continuous therapy. Am J Med 1988;84:94-100. 4. Luft BJ, Hafner R, Korzun AH, et al. Toxoplasmic encephalitis in patients with the acquired immunodeficiency syndrome. N Engl J Med 1993;329:995-1000.
	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) 米国 CDC のガイドラインおよび米国における標準的な内科教科書

<海外における臨床試験等>

1) 歴史的に使用されている薬剤

<日本における臨床試験等>

1) 該当なし

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

1) 該当なし

(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) Harrison's Principles of Internal Medicine 17th Edition 1305-1311

<日本における教科書等>

1) 該当なし

(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) Guidelines for Prevention and Treatment of Opportunistic Infections in HIV-Infected Adults and Adolescents, Recommendations from CDC, the National Institutes of Health, and the HIV Medicine Association of the Infectious Diseases Society of America

<日本におけるガイドライン等>

1) 該当なし

(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) 該当なし

(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) 効能・効果は既に証明されて長い歴史を持つ治療薬

<要望用法・用量について>

1) 米国における標準用法および用量

<臨床的位置づけについて>

1) 米国における標準治療薬

4. 実施すべき試験の種類とその方法案

1) なし

5. 備考

<その他>
該当なし

6. 参考文献一覧

1) 上記参照