

前回検討会議での結論に基づきワーキンググループで検討が行われた未承認薬

| No. | 成分名 | 販売名 | 効能・効果等 | 備考（欧米4カ国での承認状況等） |
|-----|---------|---------|-----------------------|------------------|
| 1 | ポリノスタット | Zolinza | 皮膚T細胞性リンパ腫(CTCL)の皮膚症状 | 米国:2006年10月6日承認 |
| 2 | テルビブジン | Tyzeka | 慢性B型肝炎 | 米国:2006年10月25日承認 |

ワーキンググループ検討結果報告書

平成 19 年 4 月 26 日

| | |
|--------|--|
| 医薬品名 | ボリノスタット (米国での販売名 : Zolinza) |
| 概要 | 抗悪性腫瘍剤 (経口剤) |
| 対象疾病 | 皮膚 T 細胞性リンパ腫 |
| 外国承認状況 | 米国 (皮膚 T 細胞性リンパ腫 (CTCL) の皮膚症状 (2つの全身療法を実施中又は実施後の進行性、持続性又は再発の場合)) |

[対象疾病について]

皮膚 T 細胞リンパ腫(cutaneous T-cell lymphoma; CTCL)は菌状息肉症とセザリ-症候群から成る、皮膚病変を主体とする T 細胞リンパ腫の一型である。CTCL の大半を占める菌状息肉症は、紅斑期、扁平浸潤期という緩慢に経過する時期を経て多発性皮膚腫瘍を主体とする腫瘍期に至る。ステロイド外用剤、紫外線照射、放射線治療などがしばしば一時的に奏効するが治癒に至ることはなく、化学療法の効果も不十分なために、腫瘍期の多くの患者が臓器浸潤、感染症などのために死亡する難治性疾患である。難治性皮膚病変が長期間持続するために、死亡に至らない患者においても社会生活上の支障が大きく、患者の QOL 確保の観点からも有効な治療導入が切望されている。わが国における CTCL の発生頻度は欧米白人の 10~20%程度と推定され、新薬開発のための臨床試験実施が困難なこともあって、欧米で汎用されている治療薬のわが国への導入が遅れ、わが国の CTCL 患者は不利益を被っている。

[本剤の医療上の有用性について]

SAHA (vorinostat)は抗悪性腫瘍薬として FDA が承認した初のヒストン脱アセチル化酵素阻害剤(histone deacetylase inhibitor; HDAC inhibitor)である。Memorial Sloan Kettering Cancer Center, MD Anderson Cancer Centerなどで実施された初期の検討を踏まえて、400 mg/day 連日経口投与の用法用量で 74 名の CTCL 患者 (前治療としての全身療法のレジメン数 : 3) を対象に第 II 相試験が米国で実施された。全奏効割合は 30% (22/74; 95% CI, 20-42%), 全 74 名の time to progression (TTP)中央値 148 日、奏効 22 名の TTP 中央値は 203.5+日という優れた治療効果が得られ、毒性は許容範囲であった(Olsen E, et al.: Proc ASCO 2006; #7500)。米国 MD Anderson Cancer Center からの最近の論文報告によると、前治療レジメン数 5 の CTCL 患者に対する単施設での第 I/II 相試験における全奏効割合は 24% (8/33)で、評価可能 31 名中 14 名(45%)に掻痒感の改善が得られた (Duvic M, et al.: Blood 2007;109:31-9)。全身療法を必要とする腫瘍期 CTCL 患者の多くは増悪を繰り返すために有効な治療を切望しており、本薬剤の医療上の有用性は高いと言える。

[検討結果]

上述した様に、CTCL 患者に対する本剤の医療上の有用性は明らかであり、再発・再燃非ホジキンリンパ腫に対して施行された国内第 I 相試験において 400 mg/day の 2 週連日、3 週毎反復経口投与の実行可能性が確認され、濾胞性リンパ腫とマントル細胞リンパ腫に奏効例が認められた(Tobinai K, et al.: Proc ASCO 2007)。しかし、本薬剤の臨床開発を行っている米国メルク社と万有製薬 (株) は、わが国では CTCL 患者が少ないことを理由に、非ホジキンリンパ腫に対する国内第 II 相試験実施には消極的であり、より患者数が多い非小細胞肺癌、急性骨髄性白血病の臨床試験を先行させようとしている。この状況では、わが国の CTCL 患者に本剤が投与可能になる時期が遅延することが懸念される。本検討会での討議がきっかけになって、CTCL を含む非ホジキンリンパ腫に対する国内第 II 相試験が 1 日でも早く実施されることを期待する。

ワーキンググループ検討結果報告書

平成 19 年 4 月 26 日

| | |
|--------|--|
| 医薬品名 | テルビブジン（米国での販売名：Tyzeka） |
| 概要 | 抗ウイルス剤（経口剤） |
| 対象疾病 | B 型慢性肝炎 |
| 外国承認状況 | 米国（慢性 B 型肝炎（ウイルス増殖を伴い、血清アミノトランスフェラーゼの持続的上昇又は組織学的に活動状態にある場合）） |

[対象疾病について]

B 型慢性肝炎は、小児期には肝炎を発症しない無症候性キャリアとして経過し、思春期になると免疫能が発達し免疫寛容状態が解除されるため肝炎が発症するが、多く（約 80%）は経過観察にて 30 歳までに臨床的治癒状態（HBe 抗原が陰性（セロコンバージョン：SC）、ウイルス増殖低下、ALT 正常）となる。一方、思春期より肝炎の増悪を繰り返し急速に肝硬変へ進展する症例や SC 後にもウイルスの急激な増殖により高度の急性増悪を来すこともあり、このような症例が治療の対象となる。治療目標は、HBV を排除するか、ウイルス増殖を抑制し ALT を正常に保つことであり、それにより、肝硬変や肝癌への進展を阻止し生命予後を改善する。

本邦では、B 型慢性肝炎に対する抗ウイルス薬として、2000 年 9 月に核酸アナログ製剤であるラミブジンが承認された。ラミブジンはウイルス増殖を効果的に抑制し忍容性に優れているが、耐性株の出現による breakthrough hepatitis が問題である。一般に、YMDD 変異株はラミブジン投与後 5-6 ヶ月以降より出現し、治療期間に伴い出現率は増加し年率 10-15% で出現する。この YMDD 変異株による breakthrough hepatitis に対して有効であるアデフォビルが 2004 年 10 月に承認され、救済処置の薬剤として使用されている（海外においてアデフォビルは単独投与可能であるが本邦においてはラミブジンとの併用のみの承認）。さらに第 3 の核酸アナログ製剤として、2006 年 7 月にエンテカビルが承認された。エンテカビルは、ラミブジンの 1500 倍もの強力な抗ウイルス効果を示す薬剤であり、臨床試験において、未治療例では 2 年間の治療中に耐性株の出現を認めないが、ラミブジン治療例のうち YMDD 変異株を有する場合は高率（2 年で 10% 程度）にエンテカビル耐性を示すことが報告されている（Hepatology 42:573A,2005）。

今回の報告時点では、未治療例に対する治療におけるエンテカビルの耐性株出現は認められていないが、恐らく今後出現すると考えられる。薬剤耐性を起こさないためには、HIV と同様な多剤併用療法が必要となることから、新たな薬剤の登場が待たれる。

[本剤の医療上の有用性について]

HBe 抗原陽性あるいは陰性の B 型慢性肝炎患者に対し、本剤 600mg またはラミブジン 100mg を 52 週投与した Phase III 試験(007 GLOBE Study)において、HBe 抗原陽性患者における HBV-DNA 低下量(本剤群：-6.45log₁₀copies/ml、ラミブジン群：-5.54log₁₀copies/ml、以下同様)、HBV-DNA 陰性化率(60%、40%)、ALT 正常化率(77%、75%)、HBe セロコンバージョン率(23%、22%)、HBe 抗原低下率(26%、23%)および肝線維化改善率(41%、46%)は両剤で同程度であった。また、HBe 抗原陰性患者における HBV-DNA 低下量(-5.23log₁₀copies/ml、-4.40log₁₀copies/ml)、HBV-DNA 陰性化率(88%、71%)、ALT 正常化率(74%、79%)および肝線維化改善率(48%、44%)も両剤において差異を認めていない。本剤群に

おける耐性株の出現頻度は1年間で5%程度であり、ラミブジン耐性と同部位(M204I)に出現する。

以上の結果から、本剤はラミブジンと同等の有効性が示され、また耐性株の頻度は年間5%とラミブジンの10-15%より低い結果であり、本剤はB型慢性肝炎患者に対し有用であると考ええる。

[検討結果]

現在、本邦ではB型慢性肝炎患者の未治療例に対しエンテカビルが第一選択薬として、また、ラミブジン耐性例に対しては、アデフォビルが第一選択薬として使用されている。本剤は、ラミブジンより有用性に優れていると考えられるが、エンテカビルあるいはアデフォビルとは直接的な比較がなされていないため判断することはできない。

現在3種類の核酸アナログ製剤が使用可能な状況下では急務とは言いがたいが、今後、B型慢性肝炎の治療には、薬剤耐性ウイルスの出現を防止するため、作用機序や耐性プロファイルの異なる薬剤を組み合わせる抗ウイルス効果を最大限に発揮する多剤併用療法が必要であると考えることから、第4の治療薬として医療上の必要性はあると考ええる。本剤について、国内での治験が開始されることが望まれる。

学会・患者団体から追加で検討要望があった未承認薬

| No. | 成分名 | 販売名 | 効能・効果等 | 要望元 | 備考（欧米4カ国での承認状況等） |
|-----|--------|-----------|----------|---------------------------------------|-----------------------|
| 1 | ビガバトリン | Sabril | てんかん | 日本小児神経学会 日本てんかん学会 ビガバトリン服用患者連絡会 | 欧州各国で承認（米国は未承認） |
| 2 | ベタイン | Cystadane | ホモシスチン尿症 | 日本先天代謝異常学会 | 米国：1998年承認 |
| 3 | システアミン | Cystagon | シスチン蓄積症 | 日本先天代謝異常学会 | 米国：1994年承認、EU：1997年承認 |

平成19年1月～3月に提出された未承認薬の早期承認に関する要望書等

| No. | 薬剤名 | 適応疾患等 | 提出者 | 備考 |
|-----|----------------------|------------------|------------------------|-------|
| 1 | インスリンデテミル(持続型インスリン) | 糖尿病 | 日本糖尿病協会 | 承認申請中 |
| 2 | サリドマイド | 骨髄腫 | 日本骨髄腫の会 | 承認申請中 |
| 3 | システアミン | シスチノーシス(シスチン蓄積症) | 日本先天代謝異常学会 | |
| 4 | シナカルセト | 副甲状腺機能亢進症 | 社団法人全国腎臓病協議会 | 承認申請中 |
| 5 | スニチニブ | 消化管間質腫瘍 腎細胞癌 | 日本癌治療学会 癌保険診療対策委員会 | 承認申請中 |
| 6 | スニチニブ | 消化管間質腫瘍 | GIST患者を支援する会 | 承認申請中 |
| 7 | スニチニブ | 消化管間質腫瘍 腎細胞癌 | GIST患者、腎細胞癌患者等(13万余署名) | 承認申請中 |
| 8 | ビガバトリン | てんかん | 日本小児神経学会 日本てんかん学会 | |
| 9 | ベタイン | ホモシスチン尿症 | 日本先天代謝異常学会 | |
| 10 | SR29142(Rasburicase) | 腫瘍崩壊症候群(TLS) | 社団法人日本小児科学会 | 治験実施中 |
| 11 | クロザピン | 非定型抗精神病 | 財団法人全国精神障害者家族会連合会 | 承認申請中 |

(参考) 効能追加等に係る早期承認に関する要望書等

| No. | 薬剤名 | 適応疾患等 | 提出者 |
|-----|-----------------|-------------------------------|---|
| 1 | アスピリン | 習慣流産 | 日本産科婦人科学会 |
| 2 | インフリキシマブ | クローン病維持療法 | 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 主任研究者 |
| 3 | エポエチン・ベータ | がん化学療法に伴う貧血 | 日本癌治療学会 癌保険診療対策委員会 |
| 4 | エリスロポエチン | がん化学療法に伴う貧血 | NPO法人 日本がん患者団体協議会 |
| 5 | 塩酸メチルフェニデート徐放剤 | 注意欠陥/多動性障害 | 日本発達障害ネットワーク |
| 6 | クロピドグレル | 急性冠症候群に対する抗血栓治療 | 日本心血管カテーテル治療学会 |
| 7 | ゲムシタピン | 膀胱癌 | 日本がん患者団体協議会 |
| 8 | ゼラチンスポンジ | 血管内投与禁忌項目削除 血管塞栓物質としての適応承認 | 日本医学放射線学会 日本インターベンショナルラジオロジー学会 日本放射線科専門医会 |
| 9 | タキソテール注 | ホルモン不応性前立腺癌 | NPO法人日本臨床腫瘍学会 |
| 10 | ドキシソルピシンリポソーム | 卵巣癌 | NPO法人 日本がん患者団体協議会 |
| 11 | マトリクス型フェンタニルパッチ | 癌性疼痛 | 有限責任中間法人日本ペインクリニック学会 |
| 12 | マトリクス型フェンタニルパッチ | 癌性疼痛 | 日本麻酔科学会 |
| 13 | マトリクス型フェンタニルパッチ | 癌性疼痛 | NPO法人 日本がん患者団体支援機構 |
| 14 | マトリクス型フェンタニルパッチ | 癌性疼痛 | 日本慢性疼痛学会 |
| 15 | リン酸ベタメタゾン注射剤 | 胎児肺成熟促進 | 日本産婦人科学会 |
| 16 | リスペリドン持効性注射剤 | 非定型抗精神病 | 財団法人全国精神障害者家族会連合会 |

平成19年1月～3月に欧米4カ国のいずれかの国で
新たに承認された医薬品（類型I）

1. 成分名： パニツムマブ (panitumumab)
販売名： Vectibix
承認国： 米国（2006年9月27日承認）
会社名： Amgen Inc.
剤形・規格： 注射剤・100mg/5mL、200mg/10mL 又は 400mg/20mL 1瓶
効能・効果： フルオロピリミジン、オキサリプラチン、イリノテカンを含む化学療法によっても進行した EGFR 陽性の転移性結腸・直腸癌
用法・用量： 2週に1回、6mg/kg を60分以上かけて点滴静注
作用機序等： EGFR に対するヒト化モノクローナル抗体

○適応疾病の重篤性について：
重篤な疾病である

○医療上の有用性について：
同種同効薬なし

○学会・患者団体からの要望：
なし

○国内状況：
治験実施中

2. 成分名： スチリペンツール (stiripentol)
販売名： Diacomit
承認国： EU（2007年1月9日承認）
会社名： Biocodex (仏)
剤形・規格： 経口剤・250mg 又は 500mg 1カプセル／1包（懸濁用散剤）
効能・効果： 乳児重症ミオクロニーてんかん患者の難治性全身強直間代発作（クロバザム及びバルプロ酸との併用）
用法・用量： 1日 50mg/kg を経口投与（導入時は3日間かけて推奨用量まで増量）
作用機序等： GABA の再取り込みの阻害、P450 の阻害による他の抗てんかん薬の代謝阻害

○適応疾病の重篤性について：
重篤な疾病である

○医療上の有用性について：
同種同効薬なし

○学会・患者団体からの要望：
関連学会より要望あり

○国内状況：
開発なし

3. 成分名： ルフィナミド (rufinamide)
販売名： Inovelon
承認国： EU (2007年2月1日承認)
会社名： Eisai Limited
剤形・規格： 経口剤・100mg、200mg 又は 400mg 1錠
効能・効果： レノックス・ガストー症候群に伴う発作の治療における補助療法(4歳以上)
用法・用量： 1日2回経口投与
 体重 30kg 以下の小児： 1日 200mg から開始し症状に合わせて増量
 30kg 以上の小児及び成人： 1日 400mg から開始し症状に合わせて増量
作用機序等： ナトリウムチャネルの調節による不活動状態の延長

- 適応疾病の重篤性について：
重篤な疾病である
- 医療上の有用性について：
同種同効薬なし
- 学会・患者団体からの要望：
なし
- 国内状況：
開発なし

4. 成分名： リスデクスアンフェタミン ジメシラート (lisdexamfetamine dimesylate)
販売名： Vyvanse
承認国： 米国 (2007年2月23日承認)
会社名： New River Pharmaceuticals Inc.
剤形・規格： 経口剤・30mg、50mg 又は 70mg 1カプセル
効能・効果： 注意欠陥・多動性障害 (ADHD)
用法・用量： 1日1回朝に経口投与。30mg から開始し症状に応じ増量
作用機序等： デキストロアンフェタミンのプロドラッグ

- 適応疾病の重篤性について：
必ずしも重篤とは言えない
- 医療上の有用性について：
同種同効薬なし
- 学会・患者団体からの要望：
なし
- 国内状況：
開発なし

5. 成分名： アリスキレン (aliskiren)
販売名： Tekturna
承認国： 米国 (2007年3月5日承認)
会社名： Novartis.
剤形・規格： 経口剤・100mg 又は 300mg 1錠
効能・効果： 高血圧
用法・用量： 1日1回 150mg を経口投与、症状に応じ 300mg まで増量
作用機序等： レニンの直接阻害

○適応疾病の重篤性について：

必ずしも重篤とは言えない

○医療上の有用性について：

新規の作用機序を有する

○学会・患者団体からの要望：

なし

○国内状況：

治験実施中

6. 成分名： ラパチニブ (lapatinib)
販売名： Tykerb
承認国： 米国 (2007年3月13日承認)
会社名： Glaxosmithkline.
剤形・規格： 経口剤・250mg 1錠
効能・効果： アントラサイクリン系、タキサン系、トラスツズマブの治療歴のある Her2 が過剰発現している転移・進行性の乳癌 (カペシタビンとの併用)
用法・用量： 1日1回 1250mg を経口投与 (1～14日はカペシタビン1日 2000mg/m² を 12 時間間隔で併用投与し、次の 15～21日はラパチニブ単独投与を行う 21日を1サイクルとする。)
作用機序等： EGFR と Her2 受容体のチロシンキナーゼ阻害

○適応疾病の重篤性について：

重篤な疾病である

○医療上の有用性について：

同種同効薬なし

○学会・患者団体からの要望：

なし

○国内状況：

承認申請中

「未承認薬使用問題検討会議」での検討結果等について

(平成19年4月26日現在)

| No | 検討会議 開催日 | 成分名 | 対象疾病 | 検討会議での主な検討結果 | 検討当時 の状況 | 現在の状況等 | 企業名 |
|----|-------------------|----------------|-----------------|---|-------------|------------------------------------|-----------------|
| 1 | 第1回 (平成17年1月) | オキサリプラチン | 結腸・直腸癌 | 承認までの間に安全性確認試験を実施すべき | 承認審査中 | 平成17年3月18日承認、4月6日薬価収載 | ヤクルト本社 |
| 2 | 第1回 (平成17年1月) | ペトレキセド | 悪性胸膜中皮腫 | 早期に治験が開始されるべき | 国内治験前 | 平成19年1月4日承認、1月19日薬価収載 | 日本イーライリリー |
| 3 | 第1回 (平成17年1月) | サリドマイド | 多発性骨髄腫 | 早期に治験が開始されるべき | 国内治験前 | 承認審査中 | 藤本製薬 |
| 4 | 第4回 (平成17年4月) | ボルテゾミブ | 多発性骨髄腫 | 早期の承認申請が行われるべき、承認までの間に安全性確認試験を実施すべき | 国内治験中 | 平成18年10月20日承認、12月1日薬価収載 | ヤンセン ファーマ |
| 5 | 第4回 (平成17年4月) | ラロニダーゼ | ムコ多糖症Ⅰ型 | 早期に治験が開始されるべき。欧米臨床データをもって承認申請を認め、審査期間中に国内治験データの中間報告を求めるなどの柔軟な対応を検討すべき | 国内治験前 | 平成18年10月20日承認、12月1日薬価収載 | ジェンザイム・ジャパン |
| 6 | 第4回 (平成17年4月) | ジアソキサイド | 高インスリン血症による低血糖症 | 早期に治験が開始されるべき | 国内治験前 | 承認審査中、安全性確認試験実施中 | シェリング・プラウ |
| 7 | 第5回 (平成17年7月) | ベバシズマブ | 転移性結腸・直腸癌 | 欧米臨床データ及び国内第Ⅰ相試験データ等を基に早期に承認申請が行われるべき。申請準備期間中及び審査期間中に安全性確認試験が実施されるべき | 国内治験中 | 平成19年4月18日承認 | 中外製薬 |
| 8 | 第5回 (平成17年7月) | セツキシマブ | 転移性結腸・直腸癌 | 併用療法による第Ⅱ相試験が早期に開始されるべき | 国内治験中 | 承認審査中 | メルク、プリストル・マイヤーズ |
| 9 | 第5回 (平成17年7月) | エルロチニブ | 非小細胞肺癌 | 進行中の治験状況を注視していくべき | 国内治験中 | 承認審査中 | 中外製薬 |
| 10 | 第5回 (平成17年7月) | テモゾロミド | 悪性神経膠腫 | 国内試験データ(退形成性星細胞腫)及び海外臨床データ(膠芽腫)等を基に早期に承認申請が行われるべき。審査期間中に安全性確認試験(膠芽腫、放射線との併用)が実施されるべき | 国内治験終了 | 平成18年7月26日承認、9月15日薬価収載 | シェリング・プラウ |
| 11 | 第5回 (平成17年7月) | ストレプトゾシン | 膵島細胞癌 | 早期に治験が開始されるべき | 国内治験前 | 治験開始の検討要請中 | (調整中) |
| 12 | 第6回 (平成17年10月) | ガルスルファーゼ | ムコ多糖症Ⅵ型 | 欧米臨床データをもって承認申請を認め、審査期間中に国内治験データの中間報告を求めるなどの柔軟な対応を検討すべき。学会等の研究班による治療研究によるデータの活用も考慮すべき | 国内治験前 | 承認申請準備中 | アンジェスMG |
| 13 | 第6回 (平成17年10月) | イブリツモマブ チウキセタン | B細胞性非ホジキンリンパ腫 | 早期に承認申請が行われるべき | 国内治験終了 | 承認審査中 | 日本シエーリング |
| 14 | 第6回 (平成17年10月) | リボソーマルドキソルビジン | 卵巣癌、AIDS関連カポジ肉腫 | 早期に承認申請が行われるべき | 国内治験中 | 平成19年1月4日承認、1月19日薬価収載(AIDS関連カポジ肉腫) | ヤンセン ファーマ |
| 15 | 第6回 (平成17年10月) | リファブチン | HIV患者のMAC感染症 | 早期に承認申請が行われるべき | 国内治験前 | 承認申請準備中 | ファイザー |

| No. | 検討会議開催日 | 成分名 | 対象疾病 | 検討会議での主な検討結果 | 検討当時の状況 | 現在の状況等 | 企業名 |
|-----|-------------------|----------------|-----------------------------------|---|---------|----------------------|-----------------|
| 16 | 第6回 (平成17年10月) | クロファラビン | 小児急性リンパ性白血病 | 早期に治験が開始されるべき | 国内治験前 | 治験開始の検討要請中 | バイオエンビジョン・ジャパン |
| 17 | 第7回 (平成18年1月) | ネララビン | T細胞性急性リンパ芽球性白血病 T細胞性リンパ芽球性リンパ腫 | 早期に治験が開始されるべき | 国内治験前 | 承認審査中、 安全性確認試験実施中 | グラクソ・スミスクライン |
| 18 | 第7回 (平成18年1月) | ベグアスパラガーゼ | ヒアスパラギナーゼに過敏症の 急性リンパ性白血病 | 早期に治験が開始されるべき | 国内治験前 | 治験開始の検討要請中 | (調整中) |
| 19 | 第7回 (平成18年1月) | フェニル酪酸ナトリウム | 尿素サイクル異常症 | 欧米臨床データ及び国内使用症例データ等を基に早期に承認申請が行われるべき。審査期間中に国内治験データ等が収集されるべき | 国内治験前 | 承認申請及び治験開始の検討要請中 | ノーベルファーマ |
| 20 | 第7回 (平成18年1月) | オクスカルバゼピン | てんかん部分発作 | 早期に治験が開始されるべき | 国内治験前 | 治験開始の検討要請中 | ノバルティスファーマ |
| 21 | 第8回 (平成18年4月) | ポサコナゾール | 侵襲性真菌感染症 | 欧州における臨床試験の状況も見つつ、選択肢を増やすという観点からも、開発が検討されるべき | 国内治験前 | 治験実施中 | シェリング・プラウ |
| 22 | 第8回 (平成18年4月) | アバタセプト | 中等度・高度の活動性関節 リウマチ | 進行中の治験を見守るべき | 国内治験中 | 治験実施中 | ブリistol・マイヤーズ |
| 23 | 第8回 (平成18年4月) | レナリドミド | 骨髄異形成症候群による貧血 | 早期に治験が開始されるべき。その際には、妊婦・妊娠可能な女性には使用されないようにするなど十分に留意すべき | 国内治験前 | 治験実施中 | セルジーン |
| 24 | 第8回 (平成18年4月) | コニバブタン | 低ナトリウム血症 | 我が国における有効性、安全性を注意深く検討しつつ開発を進めるべき | 国内治験前 | 治験開始の検討要請中 | アステラス製薬 |
| 25 | 第8回 (平成18年4月) | ニチシノン | 遺伝性高チロシン血症Ⅰ型 | 欧米臨床データをもって承認申請を認め、長期の製造販売後調査等で国内情報を収集すべき | 国内治験前 | 承認申請の検討要請中 | スウェーデン オーファン |
| 26 | 第8回 (平成18年4月) | アルグルコシダーゼ アルファ | 糖尿病Ⅱ型(ボンベ病) | 日本人患者データを含む欧米臨床データをもって承認申請を認め、長期の製造販売後調査等で国内情報を収集すべき | 国内治験前 | 平成19年4月18日承認 | ジェンザイム・ ジャパン |
| 27 | 第9回 (平成18年7月) | スニチニブ | 消化管間質腫瘍(イマチニブ耐性)、進行性腎細胞癌 | 欧米臨床データ及び国内第Ⅱ相試験データ等を基に早期に承認申請が行われるべき | 国内治験中 | 承認審査中 | ファイザー |
| 28 | 第9回 (平成18年7月) | ソラフェニブ | 進行性腎細胞癌 | 迅速な審査が望まれる | 承認審査中 | 承認審査中 | バイエル薬品 |
| 29 | 第9回 (平成18年7月) | フォスフェニトイン | てんかん様重積症他 | 早期に治験が開始されるべき | 国内治験前 | 治験開始の検討要請中 | ファイザー |
| 30 | 第9回 (平成18年7月) | デフェラシロックス | 輸血による慢性鉄過剰 | 外国臨床データの活用も考慮した上で、早期に承認申請が行われるべき | 国内治験中 | 承認審査中 | ノバルティス ファーマ |

未承認薬使用問題検討会議
ワーキンググループ専門家リスト

安藤 正志 国立がんセンター中央病院 第一領域外来部 医師
奥山 虎之 国立成育医療センター 遺伝診療科医長
川上 由育 独立行政法人広島大学病院 臨床試験部 医師
島田 安博 国立がんセンター中央病院 第一領域外来部 胃科医長
中村 秀文 国立成育医療センター 治験管理室長
藤原 康弘 国立がんセンター中央病院 臨床検査部長

(50音順、敬称略)

「未承認薬使用問題検討会議」開催要綱

1. 目的

- 欧米諸国で承認されているが、国内では未承認の医薬品（以下「未承認薬」という。）について、
 - ・ 欧米諸国での承認状況及び学会・患者要望を定期的に把握し、
 - ・ 臨床上の必要性と使用の妥当性を科学的に検証する
- とともに、
- ・ 当該未承認薬について確実な治験実施につなげる
- ことにより、その使用機会の提供と安全確保を図ることを目的とする。

2. 検討事項

- (1) 欧米諸国での承認状況の定期的な把握
- (2) 学会及び患者の要望の定期的な把握
- (3) 未承認薬の臨床上の必要性と使用の妥当性に関する科学的検証
- (4) 「企業依頼」及び「医師主導」の治験への振り分けと確実な実施
- (5) 安全性確認試験の確実な実施 等

3. 構成員

- 検討会議の構成員は、がんや循環器等の重篤な疾患領域における薬物療法に関する医学的・薬学的な学識経験を有する者で構成する。
- 検討会議は、構成員のうち1人を座長として選出する。

4. 運営

- 検討会議は、年4回定期的に開催するが、必要に応じて随時開催することができる。
- 検討会議は、知的財産権等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成・公表する。
- 検討会議は、必要に応じて、個別検討事項に係る専門家からなる専門作業班を招集することができる。

5. 庶務

- 検討会議の庶務は医薬食品局で行い、医政局及び保険局がこれに協力する。

「未承認薬使用問題検討会議」

構 成 員

- 有吉 寛 愛知県がんセンター愛知病院名誉院長
- 岩砂 和雄 日本医師会治験促進センター長
- 大澤 真木子 東京女子医科大学医学部教授
- 川西 徹 国立医薬品食品衛生研究所薬品部長
- 栗山 喬之 千葉大学医学部教授
- 後藤 元 杏林大学医学部教授
- 篠山 重威 同志社大学心臓バイオメカニクスセンター教授
- 浜田 知久馬 東京理科大学工学部助教授
- 林 昌洋 虎の門病院薬剤部長
- 堀田 知光 独立行政法人国立病院機構名古屋医療センター院長
- 堀内 龍也 群馬大学医学部附属病院薬剤部長
- 吉田 茂昭 青森県立中央病院院長

(※ 他の専門分野は、必要に応じて適宜参考人として出席を要請。)

「未承認薬使用問題検討会議」における対象医薬品

| 類型 | 概要 |
|-----|---|
| I | 平成17年4月以降に欧米4か国(米・英・独・仏)のいずれかの国で承認されたもの |
| II | 過去5年間に学会・患者団体からの要望があり、かつ平成17年3月以前に欧米4か国のいずれかの国で承認されたもの |
| III | 学会・患者団体からの要望はないが、過去2年間に欧米4か国のいずれかの国で承認され、かつ医療上の有用性が高いと考えられるもの |

未承認薬を治験対象とする場合の考え方

医療上特に必要性が高いと認められるもの

考え方

適応疾病の重篤性と医療上の有用性とを総合的に評価して選定

(1) 適応疾病の重篤性

以下に分類

- ① 生命に重大な影響がある疾患(致死的な疾患)
- ② 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 等

(2) 医療上の有用性

- ① 既存の治療法・予防法がない
- ② 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の治療法・予防法と比べて明らかに優れている
- ③ 欧米において標準的治療法に位置付けられている 等

ワーキンググループの設置について

- ・ ワーキンググループは、がん、小児、循環器の3領域の専門家で構成し、その他の領域(例:精神・神経、臓器移植など)については、品目に応じて、随時専門家を選定する。
- ・ ワーキンググループの専門家は、各領域における医薬品の研究開発及び治験制度に精通した者を座長が指名し、検討会議に報告する。
- ・ メンバーは、検討品目に関して関与又は特別の利害関係を有する場合は座長に申し出ることとし、関与等がある場合は、当該品目について発言することができない。