

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.	医薬品名	販売名	効能・効果等	備考（欧米4カ国での承認状況等）
1	プレリキサフォル	MOZOBIL	非ホジキンリンパ腫, 多発性骨髄腫	米国で承認(2008年12月)

ワーキンググループ検討結果報告書

平成 21 年 6 月 10 日

医薬品名	プレリキサフォル（米での販売名：MOZOBIL）
概要	CXC chemokine receptor 4 antagonist（造血幹細胞動員作用）
対象疾病	非ホジキンリンパ腫，多発性骨髄腫
外国承認状況	米国（2008年12月15日承認）
<p>[対象疾病について]</p> <p>非ホジキンリンパ腫，多発性骨髄腫に対する治療として、自家末梢血幹細胞移植を施行する目的で自己末梢血幹細胞採取を行う症例が本剤の適応となる。本剤は顆粒球コロニー刺激因子（G-CSF）と併用投与することにより、患者骨髄より末梢血中に造血幹細胞を効率よく動員する薬剤である。対象疾病である非ホジキンリンパ腫および多発性骨髄腫の我が国における年間発症率は人口 10 万人あたり、それぞれ約 7 人および 3 人である。</p> <p>非ホジキンリンパ腫では再発時に、多発性骨髄腫では寛解導入療法後に引き続いて自家末梢血幹細胞移植が行なわれる。悪性リンパ腫あるいは多発性骨髄腫の治療のために自家末梢血幹細胞移植を受けた患者数は、日本造血細胞移植学会の全国調査報告書によると 2007 年の 1 年間でそれぞれ 707 例、534 例である。</p> <p>[本剤の医療上の有用性について]</p> <p>造血幹細胞はその細胞表面に発現している CXCR4 というケモカインレセプターが骨髄間質細胞などに発現している SDF-1 と結合することにより、骨髄に定着していると考えられている。本剤は CXCR4 のアンタゴニストであり、造血幹細胞の CXCR4 と骨髄間質細胞の SDF-1 との結合を阻害することにより、造血幹細胞を骨髄から末梢血中に多数動員させる作用を有する。</p> <p>本剤の有用性を評価する目的で、自家末梢血幹細胞移植を予定されている非ホジキンリンパ腫および多発性骨髄腫患者を対象とした、無作為二重盲検プラセボ対照試験（第Ⅲ相試験）が米国で施行されている。</p> <p>非ホジキンリンパ腫 298 例を対象として施行された臨床試験においては、4 回以下のアフエレーシスで $2 \times 10^6/\text{kg}$ 以上の CD34 陽性細胞を採取できた患者の割合は G-CSF と本剤投与群で 87%、G-CSF とプラセボ投与群で 47% であり、本剤投与群の方が有意に高かった ($p < 0.001$, Pearson's Chi-Squared test) (米国 FDA Home Page, Drug@FDA, Summary Review, application No. NDA022311)。また、4 回以下のアフエレーシスで $5 \times 10^6/\text{kg}$ 以上の CD34 陽性細胞を採取できた患者の割合は G-CSF と本剤投与群で 59%、G-CSF とプラセボ投与群で 20% であり、本剤投与群の方が有意に高かった ($p < 0.001$)。G-CSF と本剤投与群では 90.0%、G-CSF とプラセボ投与群では 55.4% が初回の採取後に移植を受けた。好中球の生着率は両群ともに 100% であり、血小板の生着率は両群ともに 98% であった。移植後の好中球および血小板の生着日の中央値は両群ともに、それぞれ移植 10 日後、20 日後であった。</p> <p>多発性骨髄腫 302 例を対象として施行された臨床試験においては、4 回以下のアフエレーシスで $2 \times 10^6/\text{kg}$ 以上の CD34 陽性細胞を採取できた患者の割合は G-CSF と本剤投与群で 95%、G-CSF とプラセボ投与群で 88% であり、本剤投与群の方が有意に高かった ($p = 0.028$) (Blood. 113, 5720, 2009)。また、2 回以下のアフエレーシスで $6 \times 10^6/\text{kg}$ 以上の CD34 陽性細胞を採取できた患者の割合は G-CSF と本剤投与群で 72%、G-CSF とプラセボ投与群で 34% であり、本剤投与群の方が有意に高</p>	

かった ($p < 0.001$)。G-CSF と本剤投与群では 95.9%、G-CSF とプラセボ投与群では 88.3%が移植を受けた。好中球の生着率は G-CSF と本剤投与群では 99%、G-CSF とプラセボ投与群では 100%であり、血小板の生着率は両群ともに 99.3%であった。移植後の好中球および血小板の生着日の中央値は両群ともに、それぞれ移植 11 日後、18 日後であった。

上記 2 つの臨床試験において本剤投与群で高頻度 (5%以上) にみられた有害事象は消化器症状 (下痢、悪心、嘔吐、腹部膨満感) 疲労感、注射部位の反応 (紅斑など)、頭痛、関節痛、めまい、不眠であり、本剤投与に関連した死亡例の報告はない。

これら第Ⅲ相臨床試験の結果から、本剤と G-CSF の併用投与は G-CSF 単独投与に比べ、末梢血造血幹細胞の採取量を有意に増加させると考えられる。

また、compassionate use program (Bone Marrow Transplant. 41:331, 2008) において、従来の採取法で poor mobilizer であった患者に対して、本剤と G-CSF 併用投与による再採取を行うと、半数以上の患者で必要量の末梢血幹細胞採取ができるとの報告がなされている。

[検討結果]

現在、非ホジキンリンパ腫および骨髄腫患者に対する自家末梢血幹細胞採取には G-CSF が使用されている。いわゆる poor mobilizer の割合については、過去の治療歴に大きく影響されるため報告により大きく異なるが、大規模な報告 (非ホジキンリンパ腫 467 例、骨髄腫 384 例) によると、G-CSF 単独投与による poor mobilizer は非ホジキンリンパ腫で 26.8%、骨髄腫で 6%と報告されている (Biol Blood Marrow Transplant. 14:1045, 2008)。Poor mobilizer では末梢血幹細胞採取が再度施行されるが、最終的に必要な末梢血幹細胞が採取できず、移植を断念せざるを得ない患者も存在する。

本剤を G-CSF と併用投与することにより、G-CSF 単独投与では poor mobilizer である患者の多くが移植可能となるものと考えられ、患者の負担の軽減および予後の改善が期待できる。また、poor mobilizer でない患者においても本剤投与により、必要なアフエレーシスの回数が減少し、患者の負担が軽減すると考えられる。さらに、一般的に、CD34 陽性細胞採取量が多いと、移植後の速やかな血球の回復が期待される (J Clin Oncol. 18:1360, 2000) ため、本剤による末梢血幹細胞の採取量の増加が同様の効果につながることを期待できる。

以上より、本剤は自家末梢血幹細胞採取における有益な薬剤と考えられ、我が国においても国内での治験が早期に開始されるべきと考えられる。ただし、米国で行われた第Ⅲ相試験は、G-CSF 単独投与と本剤併用投与との比較試験であり、化学療法後の G-CSF 投与時に本剤を投与した場合の有用性については、今後検討すべき課題である。また、本剤投与により、腫瘍細胞も末梢血中に動員され、採取された検体に腫瘍細胞が混入する可能性があり、この点についても今後の検討が必要である。

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
- 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
- 寺村 正尚 東京女子医科大学病院 血液内科 准教授
- 中村 秀文 国立成育医療センター 治験管理室長
- 山本 晴子 国立循環器病センター 臨床研究開発部 臨床試験室長

(50音順、敬称略)

平成21年2月～4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： アゴメラチン (agomelatine)
 販売名： Valdoxan、Thymanax
 承認国： 欧州（2009年2月19日承認）
 会社名： Les Laboratoires Servier (Valdoxan), Servier (Ireland) Industries Ltd.
 (Thymanax)
 剤形・規格： 25mg フィルムコート錠
 効能・効果： 成人における大うつ病エピソード
 用法・用量： 推奨用量： 本剤 25mg を1日1回、就寝時に経口投与。
 作用機序等： メラトニン（MT1、MT2）受容体に作用。一方、セロトニン（5-HT_{2C}）受容体のアンタゴニストとしても作用
 ○適応疾病の重篤性について：
 必ずしも致命的な疾病ではない
 ○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：
 なし

2. 成分名： プラスグレレル (prasugrel)
 販売名： Eflient
 承認国： 欧州（2009年2月25日承認）
 会社名： Eli Lilly Nederland B. V.
 剤形・規格： 5mg フィルムコート錠（5mg、10mg フィルムコート錠）
 効能・効果： 経皮的冠動脈形成術を受けている急性冠症候群（ACS）患者のアテローム血栓予防。（acetylsalicylic acid（ASA）と併用）
 用法・用量： 開始用量 60mg を単回負荷用量として、その後 10mg を1日1回、ASA 75mg～325mg 毎日投与の併用で、12ヵ月間までの投与が推奨
 作用機序等： チェノピリジン系としてADPによる受容体を介したアデニールサイクラーゼの活性抑制を阻害することにより、血小板内のcAMPを増加させる。増加したcAMPは血小板内の遊離カルシウムイオン濃度上昇を抑制して血小板凝集抑制作用を呈する。さらに、細胞膜GPⅡbⅢa受容体へのフィブリノーゲンの結合を抑制することによっても血小板凝集を抑制する。
 ○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：
 同種同効薬あり
 ○学会・患者団体からの要望：
 なし
 ○国内状況：
 Phase Ⅱ（第一三共）

3. 成分名 : アーテメター・ルメファントリン (artemether/lumefantrine)
 販売名 : COARTEM
 承認国 : 米国 (2009年4月7日承認)
 会社名 : Novartis Pharms
 剤形・規格 : (20mg/120mg) 錠剤
 効能・効果 : 合併症を伴わない急性マラリア感染。体重 5kg 以上の患者対象。
 用法・用量 : 食後服用。小児を含む患者に対して、服用直前に、錠剤を砕きティースプーン 1~2 杯の水に溶いて服薬。3 日間で 6 回投与。(小児用換算表あり)。
 作用機序等 : artemether : ヨモギ属のクソニンジンから分離抽出。血中半減期は数時間と短い。Lumefantrine : 原虫のヘムポリメラーゼを阻害すると考えられている。半減期は 4~6 日
- 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 :
 同種同効薬あるが、小児に用法用量が定められたものはなし
- 学会・患者団体からの要望 :
 国内なし
- 国内状況 :
 なし
4. 成分名 : ゴリムマブ (golimumab)
 販売名 : SIMPONI
 承認国 : 米国 (2009年4月24日承認)
 会社名 : Centocor Ortho Biotech Inc
 剤形・規格 : 50mg 皮下注射液
 効能・効果 : 成人における中等度~重度の活動性関節リウマチに対してメトトレキサートと併用
 成人における活動性乾癬性関節炎に対して単独またはメトトレキサートと併用
 成人における活動性強直性脊椎炎
 用法・用量 : 月 1 回 50mg を皮下投与。
 作用機序等 : TNF- α を標的とした完全ヒト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 :
 同種同効薬あり
- 学会・患者団体からの要望 :
 なし
- 国内状況 :
 関節リウマチ : Phase III (ヤンセンファーマ、田辺三菱)
 潰瘍性大腸炎 : Phase III (ヤンセンファーマ)
 強直性脊椎炎 : なし

5. 成分名 : ラソフォキシフェン酒石酸塩 (lasofoxifene tartrate)
販売名 : Fablyn
承認国 : 欧州 (2009年4月24日承認)
会社名 : Pfizer Limited
剤形・規格 : 500 μ g フィルムコート錠
効能・効果 : 骨折リスクの増加した閉経後女性における骨粗鬆症治療
用法・用量 : 1日1錠 (500 μ g)。飲食を考慮せず服用可能。ダイエットのため日常の食事摂取が不十分な場合はカルシウム、ビタミンDを追加すること。閉経後女性のカルシウムの必要量は平均 1500mg/日。推奨されるビタミンD摂取量は 400~800IU/日。
作用機序等 : 選択的エストロゲン受容体調節作用。
○適応疾病の重篤性について :
重篤な疾病でない
○医療上の有用性について :
同種同効薬あり
○学会・患者団体からの要望 :
なし
○国内状況 :
Phase II/III (ファイザー)
6. 成分名 : ミファミルチド (mifamurtide)
販売名 : Mepact
承認国 : 欧州 (2009年3月6日承認)
会社名 : IDM Pharma S.A.
剤形・規格 : 4 mg 粉末
効能・効果 : 小児、青少年、および若年成人の切除可能な非転移性高悪性度骨肉腫における肉眼的外科的完全切除後の治療に適応される。術後多剤併用化学療法との併用で用いられる。
用法・用量 : すべての患者に 2 mg/m² (体表面積) として投薬量を設定。切除術後の補助療法として、12週間にわたり少なくとも3日おきに週2回投与し、その後24週間にわたり週1回投与、36週間で合計48回投与する。調製後、付属のフィルターを用いて濾過し、さらに希釈した上で1時間かけて静脈内投与する。
作用機序等 : マクロファージや単球を活性化させ癌細胞を死滅させる免疫療法。
○適応疾病の重篤性について :
重篤な疾患である
○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 :
開発検討中 (武田薬品工業)
○その他 : IDM Pharma のホームページによると、米国では、2007年8月に、有効性を立証するには追加の臨床試験データが必要であるとして FDA が not approvable letter を発出。

平成21年3月～5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	ガラタミン	認知症	認知症の人と家族の会 若年認知症家族会・彩星の会 若年認知症オアシス虹の会	アルツハイマー型認知症について申請準備中
2	メマンチン	認知症	認知症の人と家族の会 若年認知症家族会・彩星の会 若年認知症オアシス虹の会	アルツハイマー型認知症について申請準備中
3	リバスチグミン	認知症	認知症の人と家族の会 若年認知症家族会・彩星の会 若年認知症オアシス虹の会	アルツハイマー型認知症について治験実施中
4	アバタセプト	関節リウマチ	日本リウマチ学会 日本リウマチ友の会	承認審査中 (2008年9月申請) (第8回検討済)
5	5-ALA	脳腫瘍摘出術補助薬(腫瘍細胞の蛍光標識)	日本脳神経外科学会	(検討中)
6	セルトリズマブ・ペゴル	クローン病	特定非営利活動法人 JAPAN IBD	申請準備中
7	テリパラチド	骨粗鬆症	日本整形外科学会	承認審査中 (2009年4月申請)
8	子宮頸がんワクチン	子宮頸がんの予防	公明党、同東京都本部女性局 いすみ市議会他	承認審査中 (①2007年9月申請、 ②2007年11月申請)
9	7価結合型肺炎球菌ワクチン	細菌性髄膜炎の予防	日本小児科学会 日本小児保健協会 日本小児科医会	承認審査中 (2007年9月申請)

(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	要望の概要	現在の効能・効果	提出者	備考
1	インフリキシマブ	乾癬	関節リウマチ等	日本乾癬学会	承認審査中 (2008年2月申請)
2	アダリムマブ	乾癬	関節リウマチ	日本乾癬学会	承認審査中 (2008年5月申請)
3	アダリムマブ	強直性脊椎炎	関節リウマチ	日本リウマチ学会	治験実施中
4	アダリムマブ	クローン病	関節リウマチ	特定非営利活動法人 JAPAN IBD	治験実施中
5	セルセプトカプセル	同種造血細胞移植後のGVHD抑制	免疫抑制剤、腎移植後の難治性拒絶反応等	日本造血細胞移植学会	欧米でも未承認
6	ネクサバール	肝細胞癌	腎細胞癌	NPO法人周南いのちを考える会ら・ビユーの集い	2009年5月承認済
7	ボトックス	小児における上肢痙縮、脳性麻痺以外による下肢痙縮の追加	2歳以上の小児脳性麻痺患者における下肢痙縮に伴う尖足等	日本脳性麻痺研究会	現在の効能効果は小児薬物療法検討会議の検討結果に基づくもの
8	β 遮断薬(カルベジロール、ビソプロロール、アテノロール)	心房細動	高血圧症等	循環器関連健保協議会 日本心電学会 日本循環器学会 日本心臓病学会 日本不整脈学会 日本心不全学会	(検討中)
9	ボセentan	軽度の肺動脈性肺高血圧の追加	肺動脈性肺高血圧症(WHO機能分類クラスIII及びIVに限る)	循環器関連健保協議会 日本循環器学会 日本心不全学会 日本心臓病学会	治験計画等検討中(治験計画を作成中)
10	ブデソニド・ホルモテロール配合の吸入剤	ホルモテロール吸入剤、配合剤の追加	気管支喘息	日本呼吸器学会 日本アレルギー学会 NPO法人 環境汚染から呼吸器疾患病患者を守る会	承認審査中 (2007年5月申請)
11	トリアムシロンアセトニド	硝子体手術時の硝子体構造可視化	(ステロイド剤)	日本眼科学会 日本眼科医会	申請準備中
12	メトトレキサート	高用量追加	関節リウマチ等	日本リウマチ学会	(検討中)

「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21年6月5日現在)

N o.	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)	ペメトレキセド	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	平成20年10月16日承認、12月10日薬価収載	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と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	平成20年4月16日承認、6月13日薬価収載	シェリング・ブラウ
7	第5回 (平成17年7月)	ペバシズマブ	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、6月8日薬価収載	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	平成20年7月16日承認、9月12日薬価収載	メルク
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	平成19年10月19日承認、12月14日薬価収載	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・ブラウ
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	治験計画等検討中(ライセンス交渉中)	(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と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	平成20年3月28日承認、4月11日薬価収載	アンジェスMG

開発企業募集中 3品目
 治験計画等検討中 9品目
 治験実施中 9品目
 申請準備中 0品目
 審査中 2品目
 承認済み 21品目
 計 44品目

「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21年6月5日現在)

N o.	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
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	平成20年1月25日承認、6月13日薬価収載	バイエル薬品
14	第6回 (平成17年10月)	リボソーマルドキソルピシシ	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	・AIDS関連カポジ肉腫 平成19年1月4日承認、1月19日薬価収載 ・卵巣癌 平成21年4月22日承認	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	国内治験中	平成20年7月16日承認、9月12日薬価収載	ファイザー
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	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	ジェンザイム・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	平成19年10月19日承認、12月14日薬価収載	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	治験計画等検討中(導入先と協議中。厚生労働 省からも、導入先に早期開発への協力を依頼)	(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	治験計画等検討中(国内企業と交渉中。希少疾 病用医薬品に指定)	ユーサイクリッド・ファーマ社(米 国)
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	治験実施中	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・ブラウ
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	承認審査中	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)	アルグルコシダーゼ アルファ	糖原病Ⅱ型(ポンベ病)	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、6月8日薬価収載	ジェンザイム・ジャパン

開発企業募集中 3品目
 治験計画等検討中 9品目
 治験実施中 9品目
 申請準備中 0品目
 審査中 2品目
 承認済み 21品目
 計 44品目

「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21年6月5日現在)

N o.	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
25	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)、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	平成20年4月16日承認、6月13日薬価収載	ファイザー
26	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	平成20年1月25日承認、4月18日薬価収載	バイエル薬品
27	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	治験実施中	ノーベルファーマ
28	第9回 (平成18年7月)	デフェラシロクス	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	平成20年4月16日承認、6月13日薬価収載	ノバルティス ファーマ
29	第10回 (平成18年10月)	デンタピン	骨髄異形成症候群	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験実施中	ヤンセン ファーマ
30	第10回 (平成18年10月)	ダサチニブ	成人慢性骨髄性白血病、成人急性リンパ性白血病	外国臨床データ及び国内第Ⅰ/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	平成21年1月22日承認、3月13日薬価収載予定	ブリistol・マイヤーズ
31	第10回 (平成18年10月)	イデュルスルファーゼ	ムコ多糖症Ⅱ型(ハンター症候群)	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10月4日承認、10月17日薬価収載	ジェンザイム・ジャパン
32	第11回 (平成19年1月)	アレムツズマブ	B細胞性慢性リンパ性白血病	B細胞性慢性リンパ性白血病に対する治験が早期に開始されるべき	国内治験前	治験実施中	バイエル薬品
33	第11回 (平成19年1月)	タルク	悪性胸水	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験実施中(医師主導治験)	ノーベルファーマ
34	第12回 (平成19年4月)	ポリノスタット	皮膚T細胞性リンパ腫	皮膚T細胞性リンパ腫に対する治験が早期に開始されるべき	国内治験前	治験実施中	萬有製薬
35	第12回 (平成19年4月)	システアミン	システノーシス	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	開発企業募集中	(募集中)
36	第12回 (平成19年4月)	ベタイン	ホモシチン尿症	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	開発企業募集中	(募集中)

開発企業募集中 3品目
 治験計画等検討中 9品目
 治験実施中 9品目
 申請準備中 0品目
 審査中 2品目
 承認済み 21品目
 計 44品目

「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21年6月5日現在)

N o.	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
37	第13回 (平成19年7月)	スチリベントール	乳児重症ミオクロニーてんかん	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	Biocodex SA (国内連絡先: 明治製薬)
38	第13回 (平成19年7月)	経口リン酸塩製剤	原発性低リン血症性クurl病	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	開発企業募集中	(募集中)
39	第14回 (平成19年10月)	ルフィナマイド	レノックス・ガストー症候群	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	エーザイ
40	第14回 (平成19年10月)	オキシコドン注射剤	がん性疼痛	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	治験実施中	塩野義製薬
41	第14回 (平成19年10月)	メサドン	がん性疼痛	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	帝國製薬
42	第14回 (平成19年10月)	エクリズマブ	発作性夜間血色素尿症	早期に治験が開始されるべき	国内治験前	承認審査中	アレクシオンファーマ
43	第16回 (平成20年3月)	ヒトヘミン	ポルフィリン症	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(治験計画を作成中)	シミック
44	第19回 (平成20年12月)	テトラベナジン	ハンチントン舞踏病	早期に国内開発が開始されるべき	国内治験前	治験計画等検討中(ライセンス交渉中)	(調整中)

開発企業募集中 3品目
 治験計画等検討中 9品目
 治験実施中 9品目
 申請準備中 0品目
 審査中 2品目
 承認済み 21品目
 計 44品目