

# 第Ⅰ～Ⅲ回要望に係るWGの検討状況(医療上の必要性)

第52回会議(8/31)前

| 要望数 |      |         | 832件 |
|-----|------|---------|------|
| WG  | 検討中  |         | 9件   |
|     | 検討済  | 必要性高い   | 346件 |
|     |      | 必要性高くない | 187件 |
| 対象外 | 既開発中 |         | 21件  |
|     | 取下げ等 |         | 269件 |
| 本会議 | 検討済  | 必要性高い   | 345件 |
|     |      | 必要性高くない | 186件 |



第52回会議後(~12/1)

| 要望数 |      |         | 832件 |
|-----|------|---------|------|
| WG  | 検討中  |         | 9件   |
|     | 検討済  | 必要性高い   | 346件 |
|     |      | 必要性高くない | 187件 |
| 対象外 | 既開発中 |         | 21件  |
|     | 取下げ等 |         | 269件 |
| 本会議 | 検討済  | 必要性高い   | 346件 |
|     |      | 必要性高くない | 187件 |



今回会議(12/21)前

| 要望数 |      |         | 832件 |
|-----|------|---------|------|
| WG  | 検討中  |         | 9件   |
|     | 検討済  | 必要性高い   | 346件 |
|     |      | 必要性高くない | 187件 |
| 対象外 | 既開発中 |         | 21件  |
|     | 取下げ等 |         | 269件 |
| 本会議 | 検討済  | 必要性高い   | 346件 |
|     |      | 必要性高くない | 187件 |

- 第52回会議で2件の要望について「医療上の必要性が高い」と評価
- 第52回会議で1件の要望について「医療上の必要性が高くない」と再評価

## <WGで検討中の9品目の内訳(12/21時点)>

| 要望内容 | 代謝・その他WG | 循環器WG | 精神・神経WG | 抗菌・抗炎症WG | 抗がんWG | 生物WG |
|------|----------|-------|---------|----------|-------|------|
| 未承認薬 | 0        | 0     | 0       | 0        | 0     | 0    |
| 適応外  | 2 (1)    | 0     | 0       | 5 (5)    | 1 (1) | 1    |

※ 括弧内は小児WG検討対象品目

※ 詳細は別添1を参照

# 第Ⅰ～Ⅲ回要望に係るWGの検討状況(公知該当性)

第52回会議(8/31)前

|                  |     |               |             |
|------------------|-----|---------------|-------------|
| 医療上の必要性が高いとされた要望 |     |               | 345件 / 832件 |
| 開発要望※1           | WG  | 公知該当性等をWGで検討中 | 7件          |
|                  |     | 公知申請が妥当       | 125件        |
|                  |     | 治験開始済み        | 166件        |
| 開発企業を公募※2        |     |               | 40件         |
| 検討対象外：取下げ等       |     |               | 7件          |
|                  | 本会議 | 公知申請が妥当       | 125件        |

第52回会議後(~12/1)

|                  |     |               |             |
|------------------|-----|---------------|-------------|
| 医療上の必要性が高いとされた要望 |     |               | 346件 / 832件 |
| 開発要望※1           | WG  | 公知該当性等をWGで検討中 | 9件          |
|                  |     | 公知申請が妥当       | 125件        |
|                  |     | 治験開始済み        | 166件        |
| 開発企業を公募※2        |     |               | 39件         |
| 検討対象外：取下げ等       |     |               | 7件          |
|                  | 本会議 | 公知申請が妥当       | 125件        |

今回会議(12/21)前

|                  |     |               |             |
|------------------|-----|---------------|-------------|
| 医療上の必要性が高いとされた要望 |     |               | 346件 / 832件 |
| 開発要望             | WG  | 公知該当性等をWGで検討中 | 9件          |
|                  |     | 公知申請が妥当       | 125件        |
|                  |     | 治験開始済み        | 166件        |
| 開発企業を公募          |     |               | 39件         |
| 検討対象外：取下げ等       |     |               | 7件          |
|                  | 本会議 | 公知申請が妥当       | 125件        |

- ※1 開発企業公募後に開発要望したものを含む。
- ※2 開発要望後に開発企業を公募したものを含む。

- 第52回会議で2件の要望について「医療上の必要性が高い」と評価
- 第52回会議で1件の要望について「医療上の必要性が高くない」と再評価

<WGで検討中の9品目の内訳(12/21時点)>

| 要望内容 | 代謝・その他WG | 循環器WG | 精神・神経WG | 抗菌・抗炎症WG | 抗がんWG | 生物WG |
|------|----------|-------|---------|----------|-------|------|
| 未承認薬 | 0        | 0     | 0       | 0        | 0     | 0    |
| 適応外  | 3 (1)    | 1 (1) | 0       | 4 (2)    | 1     | 0    |

- ※ 括弧内は小児WG検討対象品目
- ※ 詳細は別添2を参照

専門作業班にて、「医療上の必要性に係る基準」への該当性等を検討中の要望一覧

| No.                     | 要望番号   | 成分名                   | 要望効能・効果                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     | 要望用法・用量                                                                                              | 要望者                                 | 会社名       | 未承認薬<br>適応外薬<br>の分類 | 小児WG | 検討状況等                    |
|-------------------------|--------|-----------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------|-----------|---------------------|------|--------------------------|
| <b>&lt;代謝・その他WG&gt;</b> |        |                       |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             |                                                                                                      |                                     |           |                     |      |                          |
| 1                       | Ⅲ-④-17 | 抗ヒト胸腺細胞ウ<br>サギ免疫グロブリン | 腎移植の急性拒絶反応の抑制                                                                                                                                                                                                                                                                                                               | サイモグロブリン 1.0～1.5 mg/kg/日を3～7 日間投与する。                                                                 | 日本移植学会                              | サノフィ株式会社  | 適応外薬                |      | 要望者が要望の範囲を検討中            |
| 2                       | Ⅲ-④-18 | 抗ヒト胸腺細胞ウ<br>サギ免疫グロブリン | 小児腎移植の急性拒絶反応の抑制                                                                                                                                                                                                                                                                                                             | サイモグロブリン 1.0～1.5 mg/kg/日を3～7 日間投与する。                                                                 | 日本移植学会                              | サノフィ株式会社  | 適応外薬                | ○    | 要望者が要望の範囲を検討中            |
| <b>&lt;抗菌・抗炎症WG&gt;</b> |        |                       |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             |                                                                                                      |                                     |           |                     |      |                          |
| 3                       | Ⅲ-④-12 | メロニダゾール               | 成人における既承認効能・効果に対する小児に関する要望<br>1. 嫌気性菌感染症<br><適応菌種><br>本剤に感性的のペプトストレプトコッカス属、バクテロイデス属、プレボテラ属、ポルフィロモナス属、フソバクテリウム属、クロストリジウム属、ユーバクテリウム属<br><適応症><br>・敗血症・深在性皮膚感染症・外傷・熱傷及び手術創等の二次感染・骨髄炎・肺炎、肺膿瘍、臍胸・骨盤内炎症性疾患・腹膜炎、腹腔内膿瘍・胆嚢炎、肝膿瘍・化膿性髄膜炎・脳膿瘍<br>2. 感染性腸炎<br><適応菌種><br>本剤に感性的のクロストリジウム・ディフィシル<br><適応症><br>感染性腸炎(偽膜性大腸炎を含む)<br>3. アメーバ赤痢 | 7.5mg/kgを8時間おきに20分以上かけて点滴静注する。最大投与量は成人の最大投与量を超えない。                                                   | 日本小児感染症学会                           | ファイザー株式会社 | 適応外薬                | ○    | 抗菌・抗炎症WG(小児WG) 今後の方針を検討中 |
| 4                       | Ⅲ-④-13 | メロニダゾール               | 小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助<br>※下線部分が要望内容                                                                                                                                                                                                                                                                                  | 小児(12歳以上)にはメロニダゾールとして1回250mg、アモキシシリンとし1回25mg/kg(力価)及びプロトンポンフィンヒターの3剤を同時に1日2回、7日間経口投与する<br>※下線部分が要望内容 | 日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会 | 塩野義製薬株式会社 | 適応外薬                | ○    | 今後の方針を検討中                |

| No.                  | 要望番号     | 成分名            | 要望効能・効果                                            | 要望用法・用量                                                                                                                                                                                                   | 要望者                                 | 会社名                | 未承認薬<br>適応外薬<br>の分類 | 小児WG | 検討状況等                  |
|----------------------|----------|----------------|----------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------|--------------------|---------------------|------|------------------------|
| 5                    | Ⅲ-④-14   | ラベプラゾールナトリウム   | 小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリ除菌の補助<br>※下線部分が要望内容          | ラベプラゾール(RPZ)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。 <u>30kg未満はRPZ5mg、30kg以上はRPZ10mgで成人量と同様である。</u> この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。<br>※下線部分が要望内容                | 日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会 | エーザイ株式会社           | 適応外薬                | ○    | 今後の方針を検討中              |
| 6                    | Ⅲ-④-15   | オメプラゾール        | 小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリ除菌の補助<br>※下線部分が要望内容          | オメプラゾール(OMP)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。 <u>15-30kg未満はOMP10mg、30-40kg未満はOMP20mg、40kg以上は成人量と同様である。</u> この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。<br>※下線部分が要望内容  | 日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会 | アストラゼネカ株式会社        | 適応外薬                | ○    | 今後の方針を検討中              |
| 7                    | Ⅲ-④-16   | ランソプラゾール       | 小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリ除菌の補助<br>※下線部分が要望内容          | ランソプラゾール(LPZ)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。 <u>15-30kg未満はLPZ15mg、30-40kg未満はLPZ30mg、40kg以上は成人量と同様である。</u> この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。<br>※下線部分が要望内容 | 日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会 | 武田薬品工業株式会社         | 適応外薬                | ○    | 今後の方針を検討中              |
| <b>&lt;抗がんWG&gt;</b> |          |                |                                                    |                                                                                                                                                                                                           |                                     |                    |                     |      |                        |
| 8                    | Ⅲ-①-73   | リツキシマブ(遺伝子組換え) | 小児のCD20陽性のB細胞性非ホジキンリンパ腫(バーキットリンパ腫、前駆Bリンパ球性リンパ腫を含む) | 通常成人には、リツキシマブ(遺伝子組換え)として1回量375mg/m <sup>2</sup> を1週間間隔で点滴静注する。最大投与回数は8回とする。<br>(下線部を削除)                                                                                                                   | 日本小児血液・がん学会                         | 全薬工業株式会社           | 適応外薬                | ○    | 使用実態調査中<br>抗がんWG(小児WG) |
| <b>&lt;生物WG&gt;</b>  |          |                |                                                    |                                                                                                                                                                                                           |                                     |                    |                     |      |                        |
| 9                    | Ⅲ-①-29.1 | 乾燥人フィブリノゲン     | 大量出血に伴う後天性低フィブリノゲン血症の出血傾向の改善                       | 注射用水に溶解し、静脈内に注入する。通常1回3gを用いる。なお、年齢・症状により適宜増減する。                                                                                                                                                           | 日本麻酔科学会                             | 一般社団法人<br>日本血液製剤機構 | 適応外薬                |      | 要望者と要望内容について検討中。       |
|                      | 日本外傷学会   |                |                                                    |                                                                                                                                                                                                           |                                     |                    |                     |      |                        |
|                      | 日本血栓止血学会 |                |                                                    |                                                                                                                                                                                                           |                                     |                    |                     |      |                        |

|      |   |
|------|---|
| 未承認薬 | 0 |
| 適応外薬 | 9 |
| 合計   | 9 |

## 専門作業班にて、実施が必要な試験等を検討中の要望一覧

| No.                     | 要望番号               | 成分名                          | 要請内容                                                      | 要望者                    | 会社名                 | 未承認薬<br>適応外薬<br>の分類 | 小児WG | 開発要請に対する企業見解<br>(概略)注    | 検討状況等                                                       |
|-------------------------|--------------------|------------------------------|-----------------------------------------------------------|------------------------|---------------------|---------------------|------|--------------------------|-------------------------------------------------------------|
| <b>&lt;代謝・その他WG&gt;</b> |                    |                              |                                                           |                        |                     |                     |      |                          |                                                             |
| 1                       | Ⅲ-①-78             | リツキシマブ(遺伝子組換え)               | 既存治療で効果不十分なループス腎炎                                         | 一般社団法人日本リウマチ学会         | 全薬工業株式会社            | 適応外薬                |      | 公知申請を希望する。               | 代謝・その他WG検討予定                                                |
| 2                       | Ⅲ-①-49             | バシリキシマブ(遺伝子組換え)              | 肝移植後の急性拒絶反応の抑制                                            | 日本移植学会                 | ノバルティスファーマ株式会社      | 適応外薬                |      | 現在計画中の使用実態調査の結果を踏まえて検討予定 | 治験相談実施済み<br>国内使用実態調査、海外臨床試験の結果等を利用した申請を検討予定                 |
| 3                       | Ⅲ-①-50             | バシリキシマブ(遺伝子組換え)              | 肝移植後の急性拒絶反応の抑制                                            | 日本移植学会                 | ノバルティスファーマ株式会社      | 適応外薬                | ○    | 現在計画中の使用実態調査の結果を踏まえて検討予定 | 治験相談実施済み<br>国内使用実態調査、海外臨床試験の結果等を利用した申請を検討予定                 |
| <b>&lt;循環器WG&gt;</b>    |                    |                              |                                                           |                        |                     |                     |      |                          |                                                             |
| 4                       | Ⅱ-17               | アドレナリン                       | 0.01%注射液の剤形追加<br>心停止の補助治療、各種疾患もしくは状態に伴う急性低血圧またはショック時の補助治療 | 小児救急医学会                | 第一三共株式会社            | 適応外薬                | ○    |                          | プレフィルドシリンジの要望について、要望者と対応協議中<br>学会のレジストリ結果公表待ち               |
| <b>&lt;抗菌・抗炎症WG&gt;</b> |                    |                              |                                                           |                        |                     |                     |      |                          |                                                             |
| 5                       | Ⅱ-45               | エタンプトール塩酸塩                   | 肺結核およびその他の結核症の小児用法・用量の追加                                  | 日本小児呼吸器疾患学会            | サンド株式会社<br>科研製薬株式会社 | 適応外薬                | ○    | 公知申請を希望する。               | リファンピシンとの併用剤<br>企業見解確認中                                     |
| 6                       | Ⅱ-72               | クリンダマイシンリン酸エステル及びクリンダマイシン塩酸塩 | 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                          | 日本感染症学会                | ファイザー株式会社           | 適応外薬                |      | 公知申請を希望する。               | 公募品目スルファジアジン(Ⅱ-111)を含む併用療法で用いられる各薬剤の用法・用量等について検討中<br>対面助言実施 |
| 7                       | Ⅱ-223              | ホリナートカルシウム                   | 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                          | 日本感染症学会                | ファイザー株式会社           | 適応外薬                |      | 公知申請を希望する。               | 公募品目スルファジアジン(Ⅱ-111)を含む併用療法で用いられる各薬剤の用法・用量等について検討中<br>対面助言実施 |
| 8                       | Ⅱ-272.1<br>Ⅱ-272.2 | リファンピシン                      | 肺結核およびその他の結核症の小児用法・用量の追加                                  | 日本小児呼吸器疾患学会<br>日本感染症学会 | 第一三共株式会社<br>サンド株式会社 | 適応外薬                | ○    | 公知申請を希望する。               | 企業見解確認中                                                     |

| No.                  | 要望番号  | 成分名   | 要請内容            | 要望者    | 会社名      | 未承認薬<br>適応外薬<br>の分類 | 小児WG | 開発要請に対する企業見解<br>(概略) <sup>注</sup> | 検討状況等     |
|----------------------|-------|-------|-----------------|--------|----------|---------------------|------|-----------------------------------|-----------|
| <b>&lt;抗がんWG&gt;</b> |       |       |                 |        |          |                     |      |                                   |           |
| 9                    | Ⅲ-②-2 | 三酸化ヒ素 | 初発を含む急性前骨髄球性白血病 | 日本血液学会 | 日本新薬株式会社 | 適応外薬                |      | 公知申請を希望する。                        | 使用実態調査依頼中 |

注) 提出された企業見解より適宜抜粋した。

|      |   |
|------|---|
| 未承認薬 | 0 |
| 適応外薬 | 9 |
| 合計   | 9 |