

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する
 専門作業班（WG）の評価

＜抗がん WG＞

目 次

＜抗がん剤分野＞

【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】

アレムツズマブ（遺伝子組換え）（要望番号；IV-83）	1	フルオロウラシル（要望番号；IV-173）……	8
オキサリプラチン（要望番号；IV-92）……	2	レボホリナートカルシウム水和物（要望番号；IV-174）……	9
テモゾロミド（要望番号；IV-137）……	3	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物（要望番号；IV-179）……	10
テモゾロミド（要望番号；IV-158）……	4	Naxitamab-gqgk [Naxitamab, ナキシタマブ]（要望番号；IV-183）……	11
ドセタキセル水和物（要望番号；IV-159）……	5	ペムブロリズマブ（遺伝子組換え）（要望番号；IV-190）……	13
オキサリプラチン（要望番号；IV-171）……	6	メルファラン（要望番号；IVS-25）……	14
イリノテカン塩酸塩水和物（要望番号；IV-172）……	7		

要望番号	IV-83	要望者名	日本リンパ網内系学会
要望された医薬品	一般名	アレムツズマブ（遺伝子組換え）	
	会社名	サノフィ株式会社	
要望内容	効能・効果	T細胞性前リンパ球性白血病	
	用法・用量	アレムツズマブ（遺伝子組換え）として1日1回3mgの連日点滴静注から開始し、1日1回10mgを連日点滴静注した後、1日1回30mgを週3回隔日に点滴静注する。ただし、投与開始から12週間までの投与とする。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>T細胞性前リンパ球性白血病は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等6カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドラインにおいてT細胞性前リンパ球性白血病に対する初回治療での使用が推奨されており、欧米等において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	IV-92	要望者名	日本リンパ網内系学会
要望された医薬品	一般名	オキサリプラチン	
	会社名	株式会社ヤクルト本社	
要望内容	効能・効果	再発・難治性非ホジキンリンパ腫	
	用法・用量	<p>B法：他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはオキサリプラチンとして 130 mg/m²（体表面積）を1日1回静脈内に2時間で点滴投与し、少なくとも20日間休薬する。これを1サイクルとして投与を繰り返す。</p> <p>C法：他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはオキサリプラチンとして 100 mg/m²（体表面積）を1日1回静脈内に2時間で点滴投与し、少なくとも13日間休薬する。これを1サイクルとして投与を繰り返す。</p>	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>再発・難治性非ホジキンリンパ腫は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等6カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドラインにおいて他の抗悪性腫瘍剤との併用により再発・難治性非ホジキンリンパ腫に対する使用が推奨されており、欧米等において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	IV-137	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	テモゾロミド	
	会社名	MSD 株式会社 日本化薬株式会社	
要望内容	効能・効果	再発・難治性神経芽腫	
	用法・用量	<p><テモダールカプセル 20 mg、同カプセル 100 mg、テモゾロミド錠 20 mg 「NK」、同錠 100 mg 「NK」 > 再発又は難治性神経芽腫の場合：イリノテカンとの併用において、通常、テモゾロミドとして 1 回 100 mg/m² を 1 日 1 回連日 5 日間、経口投与し、16 日間以上休薬する これを 1 クールとし、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。</p> <p><テモダール点滴静注用 100 mg > 再発又は難治性神経芽腫の場合：イリノテカンとの併用において、通常、テモゾロミドとして 1 回 100 mg/m² を 1 日 1 回連日 5 日間投与し、16 日間以上休薬する。 これを 1 クールとし、投与を反復する。なお、患者の状態により適宜減量する。</p>	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項] 再発・難治性神経芽腫は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項] 要望内容について欧米等 6 カ国では承認されていないものの、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに国内外の臨床試験成績等から、テモゾロミドとイリノテカン塩酸塩水和物との併用投与は、再発・難治性神経芽腫患者に対して欧米等において標準的治療に位置付けられており、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	IV-158	要望者名	日本間脳下垂体腫瘍学会
要望された医薬品	一般名	テモゾロミド	
	会社名	MSD 株式会社、日本化薬株式会社	
要望内容	効能・効果	悪性下垂体腺腫（下垂体癌と難治性下垂体腺腫*） *標準治療（外科手術、薬物治療、放射線治療）に抵抗性で再発を繰り返す下垂体腺腫	
	用法・用量	<p>1. 放射線治療を併用する場合 放射線照射との併用にて、通常、テモゾロミドとして1回 75 mg/m²（体表面積）を1日1回連日42日間、経口投与し、4週間休薬する。その後、本剤単独にて、テモゾロミドとして1回 150 mg/m²を1日1回連日5日間、経口投与し、23日間休薬する。この28日を1クールとし、次クールでは1回 200 mg/m²に増量することができる。</p> <p>2. 放射線治療を併用しない場合 通常、テモゾロミドとして1回 150 mg/m²（体表面積）を1日1回連日5日間、経口投与し、23日間休薬する。この28日を1クールとし、次クールで1回 200 mg/m²に増量することができる。</p>	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア] [特記事項] 悪性下垂体腺腫は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア] [特記事項] 欧米等6カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドラインにおいて、下垂体癌及び難治性下垂体腺腫に対し、テモゾロミドの単独投与及びテモゾロミドと放射線療法の併用投与が推奨されている。また、本邦においては、悪性下垂体腺腫に係る効能・効果で承認されている医薬品はなく、既存の療法が国内にないと考えられる。したがって、「ア」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	IV-159	要望者名	一般社団法人 日本乳癌学会
要望された医薬品	一般名	ドセタキセル水和物	
	会社名	サノフィ株式会社	
要望内容	効能・効果	乳癌	
	用法・用量	通常、成人に1日1回、ドセタキセルとして60 mg/m ² (体表面積) を1時間以上かけて3~4週間間隔で点滴静注する。なお、患者の状態により適宜増減すること。ただし、1回最高用量は100 mg/m ² とする。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>乳癌は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>ドセタキセル水和物 (以下、「ドセタキセル」) は、欧米等において、乳癌に対する単独投与又は併用投与時に1回最高用量として100 mg/m² で承認されている。また、海外診療ガイドライン及び海外における教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績から、乳癌に対するドセタキセルの単独投与又は併用投与時の1回最高用量としての100 mg/m² 投与は、欧米等において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	IV-171	要望者名	日本膵臓学会
要望された医薬品	一般名	オキサリプラチン	
	会社名	株式会社ヤクルト本社	
要望内容	効能・効果	治癒切除不能な膵癌（取り消し線部削除）	
	用法・用量	膵癌には、他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはオキサリプラチンとして 85 mg/m ² （体表面積）を 1 日 1 回静脈内に 2 時間で点滴投与し、少なくとも 13 日間休薬する。 これを 1 サイクルとして投与を繰り返す。なお、患者の状態により適宜減量する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>膵癌は致命的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等 6 カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドライン及び海外における教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績から、治癒切除後の膵癌患者に対する術後補助療法として、オキサリプラチン、イリノテカン塩酸塩水和物、フルオロウラシル（以下、「5-FU」）及びホリナートカルシウムの併用投与が、欧米において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、膵癌に対するオキサリプラチン、イリノテカン塩酸塩水和物、5-FU及びレボホリナートカルシウム水和物の併用投与であることから、要望番号IV-172、IV-173、及びIV-174について、併せて検討を行った。		

要望番号	IV-172	要望者名	日本膵臓学会
要望された医薬品	一般名	イリノテカン塩酸塩水和物	
	会社名	株式会社ヤクルト本社	
要望内容	効能・効果	治癒切除不能な膵癌（取り消し線部削除）	
	用法・用量	治癒切除後の膵癌はF法を使用する。 F法：イリノテカン塩酸塩水和物として、通常、成人に1日1回、150 mg/m ² を点滴静注し、少なくとも2週間休薬する。これを1クールとして投与を繰り返す。なお、D法、E法及びF法の投与量は、患者の状態により適宜減量する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>膵癌は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等6カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドライン及び海外における教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績から、治癒切除後の膵癌患者に対する術後補助療法として、オキサリプラチン、イリノテカン塩酸塩水和物、フルオロウラシル（以下、「5-FU」）及びホリナートカルシウムの併用投与が、欧米において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、膵癌に対するオキサリプラチン、イリノテカン塩酸塩水和物、5-FU及びレボホリナートカルシウム水和物の併用投与であることから、要望番号IV-171、IV-173、及びIV-174について、併せて検討を行った。		

要望番号	IV-173	要望者名	日本膵臓学会
要望された医薬品	一般名	フルオロウラシル	
	会社名	協和キリン株式会社	
要望内容	効能・効果	治癒切除不能な膵癌（取り消し線部削除）	
	用法・用量	膵癌に対するレボホリナート・フルオロウラシル持続静注併用療法において、通常、成人にはレボホリナートとして1回200 mg/m ² （体表面積）を2時間かけて点滴静脈内注射する。レボホリナートの点滴静脈内注射終了直後にフルオロウラシルとして400 mg/m ² （体表面積）を静脈内注射、さらにフルオロウラシルとして2,400 mg/m ² （体表面積）を46時間持続静注する。これを2週間ごとに繰り返す。なお、病期、年齢、患者の状態などにより適宜減量・削除する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>膵癌は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等6カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドライン及び海外における教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績から、治癒切除後の膵癌患者に対する術後補助療法として、オキサリプラチン、イリノテカン塩酸塩水和物、フルオロウラシル（以下、「5-FU」）及びホリナートカルシウムの併用投与が、欧米において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、膵癌に対するオキサリプラチン、イリノテカン塩酸塩水和物、5-FU及びレボホリナートカルシウム水和物の併用投与であることから、要望番号IV-171、IV-172、及びIV-174について、併せて検討を行った。		

要望番号	IV-174	要望者名	日本膵臓学会
要望された医薬品	一般名	レボホリナートカルシウム水和物	
	会社名	ファイザー株式会社	
要望内容	効能・効果	治癒切除不能な膵癌（取り消し線部削除）	
	用法・用量	膵癌に対するレボホリナート・フルオロウラシル持続静注併用療法において、通常、成人にはレボホリナートとして1回200 mg/m ² （体表面積）を2時間かけて点滴静脈内注射する。レボホリナートの点滴静脈注射終了直後にフルオロウラシルとして400 mg/m ² （体表面積）を静脈内注射するとともに、フルオロウラシルとして2,400 mg/m ² （体表面積）を46時間かけて持続静脈内注射する。これを2週間ごとに繰り返す。なお、病期、年齢、患者の状態などにより適宜減量・削除する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ア]</p> <p>[特記事項]</p> <p>膵癌は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ウ]</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等6カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドライン及び海外における教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績等から、治癒切除後の膵癌患者に対する術後補助療法として、オキサリプラチン、イリノテカン塩酸塩水和物、フルオロウラシル（以下、「5-FU」）及びホリナートカルシウムの併用投与が、欧米において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	本要望内容は、膵癌に対するオキサリプラチン、イリノテカン塩酸塩水和物、5-FU及びレボホリナートカルシウム水和物の併用投与であることから、要望番号IV-171、IV-172、及びIV-173について、併せて検討を行った。		

要望番号	IV-179	要望者名	公益社団法人日本臨床腫瘍学会、公益社団法人 日本婦人科腫瘍学会、卵巣がん体験者の会スマイリー
要望された医薬品	一般名	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	
	会社名	ノバルティスファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	再発した低異型度漿液性卵巣癌または腹膜癌	
	用法・用量	通常、成人にはトラメチニブとして2mgを1日1回、空腹時に経口投与する。なお、患者の状態により適宜減量する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>低悪型度漿液性卵巣癌及び腹膜癌は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等6カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドライン及び海外における教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績から、低悪型度漿液性卵巣癌及び腹膜癌に対して、欧米等において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	IV-183	要望者名	神経芽腫の会
要望された医薬品	一般名	Naxitamab-ggqk [Naxitamab, ナキシタマブ]	
	会社名	Y-mAbs Therapeutics, Inc.社	
要望内容	効能・効果	再発/難治性高リスク神経芽腫	
	用法・用量	<p>米国では各投与サイクルの1日目、3日目、5日目にDANYELZA (ナキシタマブ) 3 mg/kg/日 (最大150 mg/日) を静脈内点滴で投与し、併用療法としてGM-CSFを-4日目から0日目に250 μg/m²/日、1日目から5日目に500 μg/m²/日を皮下投与する。</p> <p>完全奏効または部分奏効するまで4週間ごとに繰り返す。その後は4週間ごとに5サイクル追加する。その後8週間ごとに繰り返すことができるとして承認されている。</p>	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/>ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>再発・難治性の高リスク神経芽腫は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/>イ</p> <p>[特記事項]</p> <p>要望対象である再発又は難治性の高リスク神経芽腫患者に対して使用可能な薬剤として、国内で神経芽腫又は小児悪性固形腫瘍に対して承認されているノギテカン等があるものの、国内診療ガイドラインにおいて再発又は難治性の高リスク神経芽腫に対して推奨されている化学療法はない。神経芽腫を含む小児悪性固形腫瘍に係る効能・効果で承認されているノギテカンについて、再発神経芽腫患者*を対象にノギテカン単独投与とノギテカンとシクロホスファミドとの併用投与の有効性等を比較検討するための無作為化第Ⅱ相試験において、ノギテカンとシクロホスファミドとの併用投与の奏効率は、32% (18/57例)であったことが報告されている (J Clin Oncol. 2010; 28: 3808-15)。また、神経芽腫又は小児悪性固形腫瘍に係る効能・効果で承認されている薬剤について、再発後の化学療法に抵抗性の高リスク神経芽腫に対する有効性に係るエビデンスは得られていない。</p> <p>ナキシタマブに関して、再発又は難治性病変に対する治療後に疾患進行を認めないものの骨及び/又は骨髄に病変の残存した高リスク神経芽腫患者を対象にナキシタマブとサルグラモスチムとの併用投与の有効性及び安全性を検討した海外第Ⅱ相試験 (201試験) 等が実施され、201試験において奏効率 [95%信頼区間] (%) の結果は、45 [24, 68] (10/22例) である。したがって、「イ」に該当すると判断した。</p>		

	<p>なお、要望されている効能・効果について、根拠となる臨床試験等の内容を踏まえると、医療上の有用性が期待できると判断できるのは「再発又は難治性病変に対する治療後に疾患進行を認めないものの骨及び／又は骨髄に病変の残存した高リスク神経芽腫患者」に限定される。</p> <p>*：アルキル化剤及びプラチナ系製剤を含む2剤以上による強力な多剤併用化学療法後の初回再発、又は初回再発後の強力な化学療法1レジメン施行後に2回目再発を来した神経芽腫患者</p>
備 考	

要望番号	IV-190	要望者名	日本産科婦人科学会、日本婦人科腫瘍学会、日本絨毛性疾患研究会
要望された医薬品	一般名	ペムプロリズマブ（遺伝子組換え）	
	会社名	MSD 株式会社	
要望内容	効能・効果	がん化学療法後に増悪した絨毛性腫瘍（絨毛癌*、PSTT、ETT） *臨床的絨毛癌、high-risk GTN を含む	
	用法・用量	通常、成人には、ペムプロリズマブ（遺伝子組換え）として、1回 200 mg を 3 週間間隔又は 1回 400 mg を 6 週間間隔で 30 分間かけて点滴静注する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input type="checkbox"/> ア</p> <p>[特記事項]</p> <p>がん化学療法後に増悪した絨毛性腫瘍は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>欧米等 6 カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドライン及び海外における教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績から、ペムプロリズマブ（遺伝子組換え）は、がん化学療法後に増悪した絨毛性腫瘍に対して、欧米等において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考			

要望番号	IVS-25	要望者名	日本小児血液・がん学会
要望された医薬品	一般名	メルファラン	
	会社名	サンドファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	網膜芽細胞腫	
	用法・用量	メルファランとして1眼あたり1日1回7.5 mg/m ² を眼動脈より投与し、20日以上休薬する。これを1クールとして反復する。ただし両眼に同日投与する場合は1眼あたり5 mg/m ² に減量する。	
「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関するWGの評価		<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> 〔特記事項〕 網膜芽細胞腫は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であり、適応疾病の重篤性は「イ」に該当すると判断した。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> 〔特記事項〕 本薬は、募集対象の分類のうち「優れた試験成績に係る論文が権威のある学術雑誌等で公表されているもの」に該当するとして要望書が提出された。提出された公表論文（Ophthalmology 2008; 115: 1398-404）では、眼球摘出の適応と考えられた10例の進行期網膜芽細胞腫患者に対し、9例でメルファランの眼動脈注入が可能であり、そのうち7例で眼球摘出を避けることができ、重篤な全身合併症はなく、3例で結膜及び眼瞼浮腫、1例で結膜虚血が認められたとの報告であり、一定の有効性及び安全性が確認された。以上より、要望内容に関する本邦での有用性が期待できると考えられる。なお、提出された公表論文（Ophthalmology 2011; 118: 2081-7）において、メルファラン眼動脈注入を実施し、眼球摘出を避けることができた246眼のうち、197眼について視力に係る情報が得られており、中心小窩（黄斑部）を初発の腫瘍進展部位に含まない眼球（107眼）で良好な視力を維持していた旨が報告されている。</p> <p>網膜芽細胞腫の標準的治療は眼球摘出であるものの、上記の臨床試験により、メルファランの眼動脈注入により眼球摘出を回避できる一定の効果が示されており、既存の療法と比較して明らかに優れていると考えられる。</p> したがって、「イ」に該当すると判断した。	
備考			