

平成26年3月11日

先 - 2 (参考資料2)

25.11.14

「第17回医療上必要性の高い未承認薬・
適応外薬検討会議」会議資料(抜粋)

平成25年10月7日

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議での検討結果を受けて
開発企業の募集を行った医薬品のリスト(平成25年9月25日時点)

○ 下表の医薬品については、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で医療上の必要性が高いという評価を得て、開発企業の募集を行った医薬品のリストです。

<第II回要望募集>

No.	医薬品名	対象疾病	医療上の必要性が高いと評価された日
15	3-ヨードベンジルグアニジン(¹³¹ I)	神経芽腫	平成24年12月16日
16	3-ヨードベンジルグアニジン(¹³¹ I)	褐色細胞腫	平成24年12月16日
17	3-ヨードベンジルグアニジン(¹³¹ I)	甲状腺随様癌	平成24年12月16日

「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】	小児分野 との関係	小児分野 との関係
本邦における未承認薬 3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I) (要望番号;II-5).....	1 ○	3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I) (要望番号;II-6.4)..... 9
3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I) (要望番号;II-6.1).....	3	3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I) (要望番号;II-7)..... 11
3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I) (要望番号;II-6.2).....	5	
3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I) (要望番号;II-6.3).....	7	

目 次（つづき）

【医療上の必要性の基準に該当しないと考えられた品目】	小児分野 との関係	【医療上の必要性の基準に関する評価の対象外と考えられた品目】	小児分野 との関係
本邦における適応外薬		本邦における適応外薬	
エトポシド(要望番号;II-46)……………	13	オキサリプラチン(要望番号;II-53)……………	21
オキサリプラチン(要望番号;II-54)……………	15	フルオロウラシル(要望番号;II-192)……………	22
シスプラチン(要望番号;II-99)……………	17		
フルオロウラシル(要望番号;II-193)……………	19		

注)「小児分野との関係」列の「○」について

要望内容に、小児に関連する内容が含まれるが、成人と小児に共通する疾患等であることから、各疾患分野のWGが主に担当する品目

要望番号	II-5	要望者名	個人
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	神経芽腫の治療	
	用法・用量	3.7～7.4GBq 静脈投与	
「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>「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]</p> <p>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては¹³¹Iを取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号II-5、II-6及びII-7について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WGでは、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-6.1	要望者名	褐色細胞腫を考える会
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン (^{131}I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	褐色細胞腫	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「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>「褐色細胞腫」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>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては ^{131}I を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WG では、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-6.2	要望者名	一般社団法人日本癌治療学会
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	褐色細胞腫	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「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>「褐色細胞腫」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>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては ¹³¹I を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WG では、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-6.3	要望者名	社団法人 日本内分泌学会
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	褐色細胞腫（傍神経節細胞腫を含む）	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「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>「褐色細胞腫」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>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては ¹³¹I を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WG では、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-6.4	要望者名	個人
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン (^{131}I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	褐色細胞腫	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「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>「褐色細胞腫」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>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては ^{131}I を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該薬剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p> <p>以上を踏まえて、WG では、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られてお</p>		

	り、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。
--	--

要望番号	II-7	要望者名	個人
要望された医薬品	一般名	3-ヨードベンジルグアニジン (^{131}I)	
	会社名	富士フイルム RI ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	甲状腺髄様癌	
	用法・用量	3.7 から 11.2GBq の範囲で 45 分から 4 時間かけて静脈投与する。	
「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>「甲状腺髄様癌」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>欧米等の承認内容、欧米等の診療ガイドライン及び教科書の記載内容、並びに海外臨床研究成績等から、欧州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。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</p>		
備考	<p>欧州の承認内容、及び診療ガイドラインでは、要望された医薬品の対象としては ^{131}I を取り込む神経内分泌細胞に由来する悪性腫瘍である、神経芽腫、褐色細胞腫及び甲状腺髄様癌等が記載されていることから、要望番号 II-5、II-6 及び II-7 について、併せて検討を行った。</p> <p>要望された医薬品については、既存の診断用製剤と比較して、高い放射エネルギーを有する製剤であり、国外の原子炉で製造される原材料を確保した上で、輸送・製造等に係る薬事法以外の各種法令に基づき輸入製造する必要がある。当該製剤は、高率に高エネルギーガンマ線を放出し、投与された相当量が尿、唾液、汗などの体液中に排泄される特徴を持つ。このため、医療現場において、その取扱いにあたり、医療法等に基づく診療用放射線の防護に関する規定に準拠した専門的な設備内での治療が必要とされており、現時点では、要望された医薬品が使用可能な国内施設は数施設程度との指摘がある。</p>		

	<p>以上を踏まえて、WGでは、「公募の可能性を検討して欲しい。」及び「本邦で当該要望の治療が実施可能な施設数は限られており、かつ極めて稀な疾患に対する治療であることも考慮すると、薬事承認以外の手段で対応の余地はないか。」との意見も出された。</p>
--	---