

# 未承認薬・適応外薬に係る開発の要望の公募について

欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医療上必要な医薬品や適応(未承認薬・適応外薬)に係る要望の公募を実施。募集期間は、昨年6月18日から、8月17日まで。

今後は、未承認薬・適応外薬の開発促進に資するため、医療上の必要性の評価、公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性の確認などを行う。

## ＜公募する要望の条件＞

### ○未承認薬

欧米4か国(米、英、独、仏)のいずれかの国で承認されていること

### ○適応外薬

欧米4か国のいずれかの国で承認(公的医療保険制度の適用を含む)されていること

「医療上その必要性が高い」とは次の(1)及び(2)の両方に該当するもの

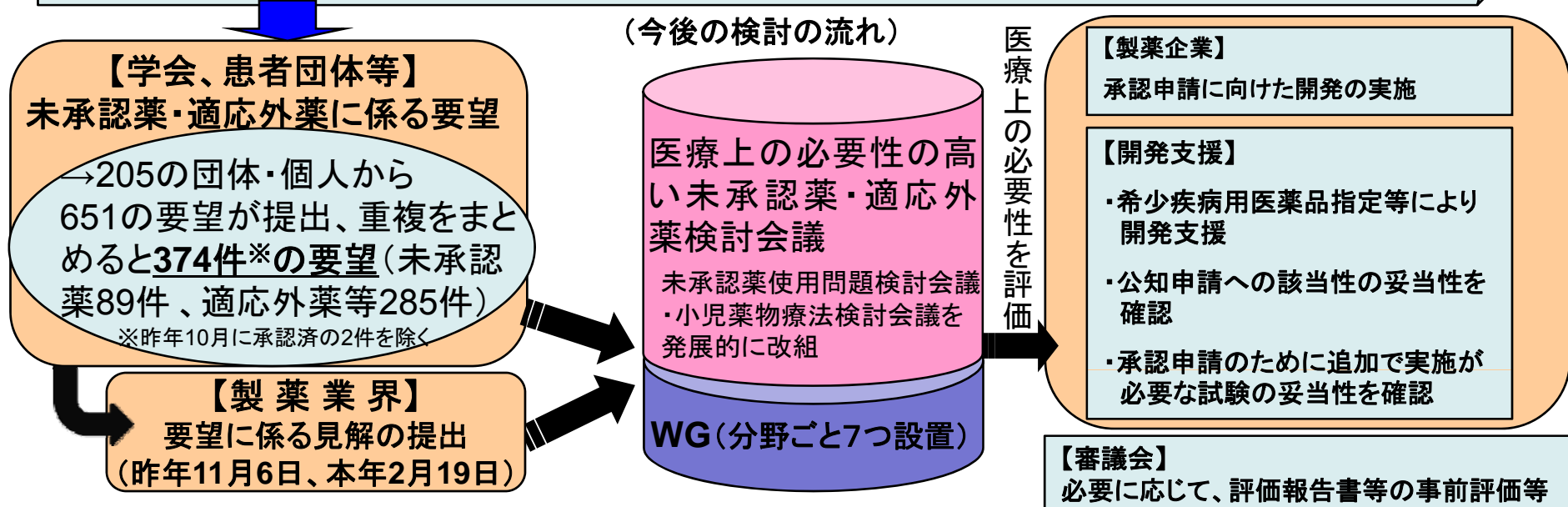
(1)適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合

- ア 生命の重大な影響がある疾患(致死的な疾患)
- イ 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
- ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

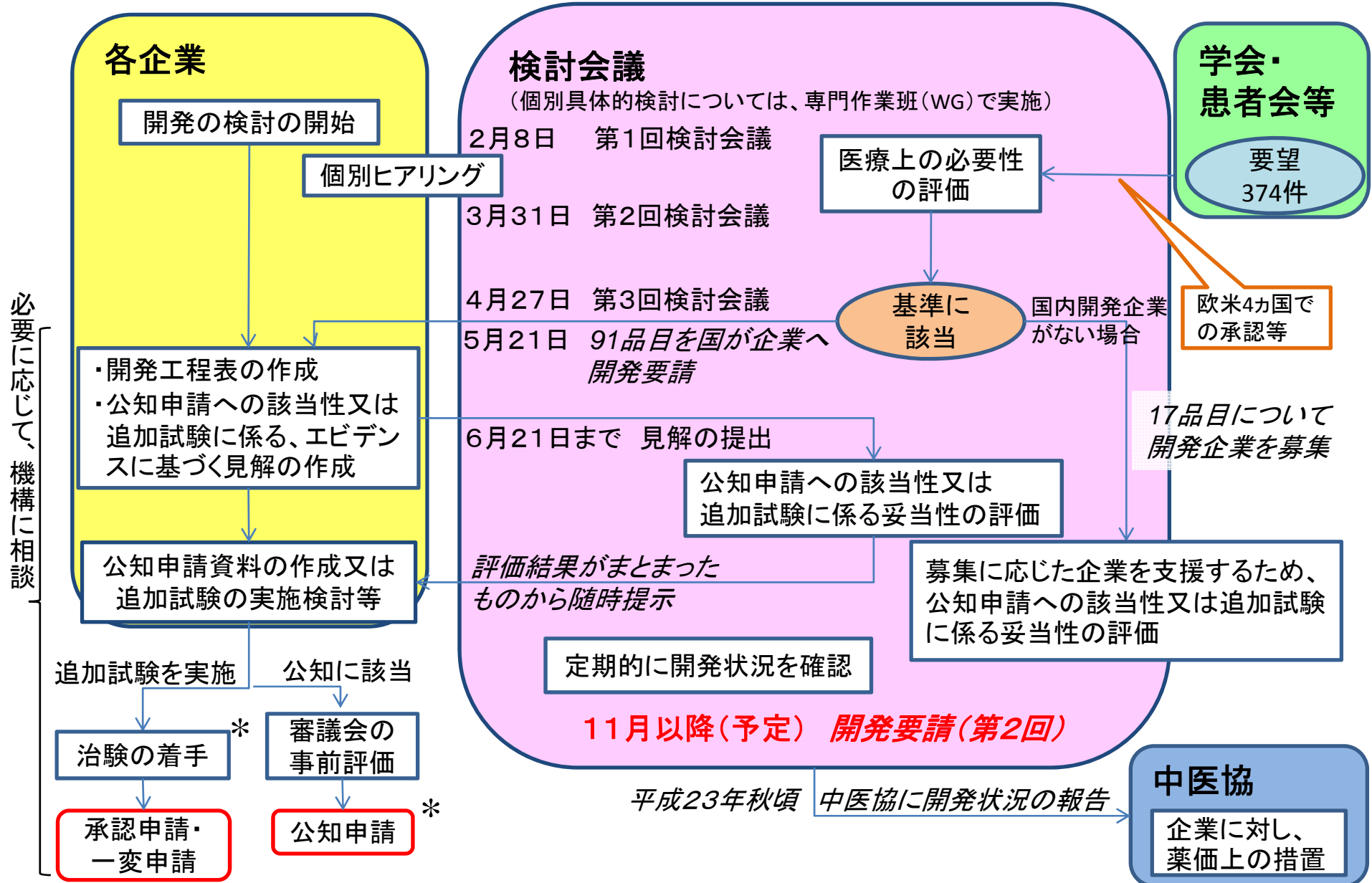
(2)医療上の有用性が次のいずれかの場合

- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ 欧米において標準的療法に位置づけられている

**※ 学会等にあっては、科学的エビデンスに基づく有効性及び安全性の評価等を添付して提出**



# 未承認薬等検討会議における検討の進め方



\* 企業側の検討する時間として、特段の合理的な理由がない場合は、開発要請より、公知申請が行える場合で薬事承認申請まで6ヵ月以内、開発にあたって治験が必要な場合で治験の着手まで1年以内。

### 第3回「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」

(平成22年4月27日)での検討状況について

各WGの検討状況			代謝・ その他	循環器	精神・ 神経	抗菌・ 抗炎症	抗がん	生物	小児	合計
検討済み	必要性高い	未承認薬	8	9	8	1	10	3	11	50
		適応外薬	2	19	7	11	10	1	9	59
	必要性高くない	未承認薬	3	1	1	0	1	1	1	8
		適応外薬	2	2	9	2	4	3	0	22
検討中	未承認薬	2	0	3	5	4	0	1	15	
	適応外薬	14	6	35	16	33	1	9	114	
海外承認 等なし	未承認薬	3	2	4	4	3	0	1	17	
	適応外薬	14	13	27	11	13	0	8	86	
承認済み	未承認薬	0	0	0	0	1	0	0	1	
	適応外薬	0	0	1	0	1	0	0	2	
合計			48	52	95	50	80	9	40	374

※適応外薬については剤形追加を含む

## 開発要請先企業の指定の考え方について

- 要望された適応外薬については、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業に対して要請
  
- 要望された未承認薬については、
  - 1 既に開発を行っている企業があれば、当該企業に対して要請
  - 2 1 以外の場合で、海外で先発医薬品として承認を取得している企業が特定され、その日本法人企業が存在する場合には、当該企業に対して要請
  - 3 1 及び 2 以外の場合で、わが国での開発権を有することが確認された企業があれば、当該企業に対して要請
  - 4 1 ～ 3 以外の場合は、開発企業を公募
  
- 要望された剤形追加については、
  - 1 わが国において新たに追加される剤形と同じ投与経路の製剤について、先発医薬品として承認を取得している企業に要請
  - 2 1 以外の場合は、未承認薬の場合と同様の考え方で要請又は公募

## 「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」開催要綱

厚生労働省医政局研究開発振興課  
医薬食品局審査管理課

## 1. 目的

- 欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品や適応（以下「未承認薬・適応外薬」という。）について、医療上の必要性を評価するとともに、公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認すること等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発促進に資することを目的とする。

## 2. 検討事項

- (1) 医療上の必要性
  - ・生命に重大な影響がある疾患である等、適応疾患が重篤であること
  - ・当該疾患に係る既存の療法が国内にない等、医療上の有用性があることのいずれにも該当するか否かを検討する。
- (2) 公知申請への該当性及び追加実施が必要な試験  
医療上の必要性が高いと評価された未承認薬・適応外薬について、公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認する。
- (3) その他  
製薬企業が開発を行う医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬について、定期的の開発進捗状況を確認する。  
また、未承認薬・適応外薬の開発助成の是非、支援額の上限についての検討・確認を行う。  
その他、必要な事項の検討を行う。

## 3. 構成員

- 検討会議は、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し、各疾患領域に対応する。
- 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回を目途に開催するが、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、検討事項について具体的な調査を行うため、各疾患領域に係る専門家からなる専門作業班会議を開催することができる。

## 5. 庶務

- 検討会議の庶務は医薬食品局審査管理課が行い、医政局研究開発振興課及び保険局医療課がこれに協力する。

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」

構 成 員

五十嵐	隆	東京大学医学部教授
伊藤	進	香川大学医学部教授
岩田	敏	慶應義塾大学医学部感染制御センター教授
大塚	頌子	岡山大学大学院医歯薬学総合研究科教授
岡部	信彦	国立感染症研究所感染症情報センター長
小川	聡	国際医療福祉大学三田病院病院長
落合	和徳	東京慈恵会医科大学産婦人科教授
川西	徹	国立医薬品食品衛生研究所
後藤	元	杏林大学医学部長
白幡	聡	北九州総合病院副院長
友池	仁暢	独立行政法人国立循環器病研究センター病院長
西川	秋佳	国立医薬品食品衛生研究所安全性生物試験研究センター長
樋口	輝彦	独立行政法人国立精神・神経医療研究センター理事長
藤原	康弘	独立行政法人国立がん研究センター中央病院臨床試験・治療開発部長
◎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
村山	純一郎	昭和大学病院薬剤部長
山本	一彦	東京大学医学部アレルギーリウマチ内科教授
横谷	進	独立行政法人国立成育医療研究センター内科系専門診療部長
吉村	功	東京理科大学名誉教授

◎：座長

# 専門作業班(WG)の設置について

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

検討指示 ↓ ↑ 検討案の上程

## 専門作業班(WG)

7つの班で、品目毎の個別具体的検討



※ 小児WGは、分野横断的に対応

各WGに5～10名程度の専門家を配置

<検討事項>

- 医療上の必要性
- 公知申請への該当性
- 承認申請のために追加で実施が必要な追加試験 等

企業見解  
文献報告  
海外規制情報  
等

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」  
 専門作業班(WG)メンバー

WG名	氏名	所属
代謝・その他WG  (代謝性疾患、 他に分類される疾患)	花岡 英紀	国立大学法人千葉大学医学部附属病院臨床試験部 部長・講師
	小早川 雅男	独立行政法人国立国際医療研究センター病院消化器科
	川上 由育	広島大学医学部附属病院臨床研究部 講師
	軒原 浩	独立行政法人国立がん研究センター中央病院 医長
	大森 崇	同志社大学 文化情報学部・准教授
循環器WG  (循環器、生殖器、診 断用)	山本 晴子	独立行政法人国立循環器病研究センター 臨床研究部 治験推進室長
	戸高 浩司	国際医療福祉大学 教授
	池田 正行	長崎大学 医歯薬学総合研究科 生命医科学講座 創薬科学 教授
	又吉 哲太郎	琉球大学医学部附属病院専門研修センター 特命助教
	水上市 愛弓	榊原記念病院小児科
	海野 信也	北里大学医学部産婦人科学教室 教授
	齊藤 英和	独立行政法人国立成育医療研究センター病院 母性医療診療部 不妊診療科医長
	高野 幸路	東京大学医学部附属病院腎臓・内分泌内科 講師
	日下部 きよ子	東京女子医科大学 名誉教授
	中込 忠好	帝京大学医学部 教授
	大森 崇	同志社大学 文化情報学部・准教授
精神・神経WG	中林 哲夫	独立行政法人 国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル・メディカルセンター 臨床研究支援室長
	勝野 雅央	名古屋大学高等研究院(医学系研究科神経内科) 特任講師
	中村 治雅	独立行政法人 国立精神・神経医療研究センター トランスレーショナル・メディカルセンター 臨床研究支援室長代理
	稲垣 中	慶應義塾大学大学院健康マネジメント研究科准教授
	渡邊 衡一郎	慶應義塾大学医学部精神・神経科学講座 専任講師
	山口 拓洋	東北大学病院 教授
抗菌・抗炎症WG	金澤 實	埼玉医科大学 呼吸器病センター呼吸器内科 教授
	宮崎 義継	国立感染症研究所 国立感染症研究所 部長
	竹中 圭	博慈会記念総合病院第一内科部長
	井上 彰	国立大学法人東北大学病院 呼吸器内科 助教
	小早川 雅男	独立行政法人国立国際医療研究センター病院消化器科
	越前 宏俊	明治薬科大学 薬物治療学教室 教授
	鈴木 文仁	横浜市立みなと赤十字病院 内科 医長
	花岡 英紀	国立大学法人千葉大学医学部附属病院臨床試験部 部長・講師
	齋藤 好信	日本医科大学付属病院 呼吸器内科 講師
山口 拓洋	東北大学病院 教授	
抗がんWG	安藤 正志	独立行政法人国立がん研究センター中央病院 医長
	軒原 浩	独立行政法人国立がん研究センター中央病院 医長
	山中 康弘	栃木県立がんセンター 医長
	高島 純哉	兜町診療所 院長
	北澤 英徳	富山県済生会高岡病院 副部長
	秋山 哲平	国立病院機構 豊橋医療センター
	柴田 大朗	独立行政法人国立がん研究センターがん対策情報センター 室長
生物WG  (血液、ワクチン)	中川 雅生	滋賀医科大学医学部附属病院 治験管理センター長
	土田 尚	独立行政法人国立成育医療研究センター総合診療部
	石川 洋一	独立行政法人国立成育医療研究センター副薬剤部長
	林 邦彦	群馬大学医学部保健学科教授
小児WG	中村 秀文	独立行政法人国立成育医療研究センター臨床研究センター治験推進室長
	中川 雅生	滋賀医科大学医学部附属病院 治験管理センター長
	土田 尚	独立行政法人国立成育医療研究センター病院総合診療部
	石川 洋一	独立行政法人国立成育医療研究センター病院副薬剤部長
	小村 誠	独立行政法人国立成育医療研究センター病院薬剤部主任
	林 邦彦	群馬大学医学部保健学科教授



◎ 未承認薬・適応外薬の開発の要望の一覧表

未承認薬・適応外薬の開発の要望について、疾患分野ごとに区分けするとそれぞれの要望数は下表のとおり。

WG	代謝・その他		循環器			精神・神経	抗菌・抗炎症		抗がん	生物			
疾患分野	代謝性疾患	他に分類	循環器	生殖器	診断用	精神・神経	抗菌	抗炎症	抗がん	血液	ワクチン	計	うち小児に関係
未承認薬	8	14	8	0	4	18	7	9	17	1	3	89	28
適応外薬	9	34	25	10	6	77	39	19	61	4	1	285	56
計	17	48	33	10	10	95	46	28	78	5	4	374	84

承認済 2

1. 代謝、その他WG

○代謝性疾患用薬分野  
未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本小児神経学会 日本先天代謝異常学会	ミグルスタット	Zavesca	Niemann-Pick病C型(ニーマン・ピック病C型)及び成人のGaucher病I型(ゴーシェ病I型)	○
2	小児腎臓病学会 日本先天代謝異常学会	システアミン	Cystagon Capsule	シスチノーシス(シスチン蓄積症)(注:開発支援品目に選定済み)	○
3	日本内分泌学会	アミノグルテチミド	Cytadren tablet	クッシング症候群(クッシング病、クッシング症候群、副腎癌)	
4	日本先天代謝異常学会	安息香酸ナトリウム・フェニル酢酸ナトリウム配合剤	Ammonul	尿素サイクル異常症患者における急性発作時の血中アンモニア濃度の低下作用	○
5	日本先天代謝異常学会	カルグルミック酸	Carbaglu	N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症	○
6	日本先天代謝異常学会	ニチシノン	Orfadin	チロシン血症I型	○
7	日本先天代謝異常学会	フェニル酪酸ナトリウム	Buphenyl(米) Ammonaps(EU)	尿素サイクル異常症	○
8	日本先天代謝異常学会	ベタイン	Cystadane	ホモシスチン尿症	○

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本小児内分泌学会 日本内分泌学会	グリメピリド	アマリール錠	小児の場合は、1日0.5mg~1mgより投与を開始する。	○
2	日本小児内分泌学会 日本内分泌学会	メチラポン	メトピロンカプセル250mg	□成人及び小児患者における手術前、または外科手術にて根治不能、コントロール困難なクッシング症候群の cortisol 過剰産生の抑制 □難治性クッシング症候群(クッシング病、クッシング症候群、異所性ACTH症候群、副腎癌)、高cortisol血症の是正	○
3	日本小児内分泌学会 日本内分泌学会	メホルミン塩酸塩	メルビン錠250mg グリコラン錠250mg メデット錠250mg	2型糖尿病の小児適応の追加	○
4	日本内分泌学会	ゾレドロン酸	Aclasta 5mg solution for infusion (EU) Reclast injection (US)	骨粗鬆症、ステロイド性骨粗鬆症	
5	日本内分泌学会	ケトコナゾール(経口剤)	ニゾラルクリーム(経口剤として適用となる製剤は国内にはない)	経口剤の剤形追加、効能効果は「クッシング症候群による高cortisol血症」	
6	日本先天代謝異常学会	レボカルニチン塩化物	エルカルチン錠	一次性カルニチン欠乏症およびその他の二次性カルニチン欠乏症	○
7	日本先天代謝異常学会	必須アミノ酸製剤	アミュー配合顆粒	尿素サイクル異常症や有機酸血症	○
8	個人	ピオグリタゾン塩酸塩	アクトス錠	2型糖尿病合併慢性腎臓病患者でインスリン抵抗性が推定される場合	
9	個人	アレンドロン酸ナトリウム	ボナロン錠®35mg	(原発性・遺伝性)肥厚性皮膚骨膜炎(pachydermoperiostosis)および二次性肥大型骨関	

○その他分野(消化器官用薬、解毒剤、その他)

未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本歯周病学会	rhPDGF含有β-リン酸三カルシウム	GEM21S	歯槽骨欠損、根分岐部病変、歯周欠損に関連する歯肉退縮	
2	日本口腔外科学会	rhBMP-2含有骨充填剤	InFUSE Bone Graft/InductOs	歯科インプラント前処置としてのサイナスリフト時の骨を誘導	
3	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会	Ca-DTPA	Ditripentat-Heyl(独) pentetate calcium trisodium injection(米)	プルトニウム、アメリシウム、キュリウム体内汚染(またはその疑いのある)患者の汚染物質の排泄の促進	
4	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会	Zn-DTPA	Zink-trinatrium-pentetat(独) Pentetate Zinc Trisodium Injection(米)	プルトニウム、アメリシウム、キュリウム体内汚染(またはその疑いのある)患者の汚染物質の排泄の促進	
5	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会 日本中毒学会 財団法人日本中毒情報センター	プルシアンブルー	ラジオガルダーゼ	放射性セシウムおよび/または放射性または非放射性タリウムによる体内汚染が判明した、またはその疑いのある患者の汚染物質の排泄を促進	
6	小児腎臓病学会 日本内分泌学会 厚生労働省難治性疾患克服研究事業ホルモン受容機構異常に関する調査研究	経口リン酸塩製剤	K-Phos Neutral など	低リン血症、低リン血症性くる病、ファンコニ症候群(注:「原発性低リン血症性くる病」について開発支援品目に選定済み)	○
7	日本門脈圧亢進症学会	テルリプレシン酢酸塩	Glypressin®	I型肝腎症候群	
8	日本中毒学会 財団法人日本中毒情報センター	ホメピゾール	Antizol(米、英、独) Fomepizole(仏)	エチレングリコール中毒、及びメタノール中毒の治療	
9	日本中毒学会 財団法人日本中毒情報センター	メチレンブルー	Methylene Blue Injection、1%	薬剤性のメヘモグロビン血症の治療	
10	日本小児血液学会 日本小児がん学会	グルカルピダーゼ	Voraxaze	メトレキサートの排泄遅延等	○
11	膵嚢胞線維症の治療環境を実現する会	パンクレアチン	Creon	嚢胞線維症(cystic fibrosis、CF)患者の脂肪吸収および栄養状態の改善	○
12	個人	亜セレン酸ナトリウム	亜セレン酸ナトリウム	セレン欠乏症により生じる重篤な視力障害、神経障害、心筋障害、毛髪変化の改善	
13	個人	デクスラゾキサン	Totect、Savene	アントラサイクリン系薬剤静脈内投与による血管外	
14	個人	AJM300	AJM300	活動期クローン病	

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん-	オランザピン	ジプレキサ錠 ジプレキサザイデイス錠 ジプレキサ細粒	がんによる嘔気、がんの治療に伴う嘔気	
2	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん-	ハロペリドール	セレネース錠 セレネース細粒 セレネース注	がん、がん化学療法、オピオイド系麻酔性鎮痛薬投与に伴う吐き気	
3	日本内分泌外科学会 日本甲状腺外科学会	シナカルセット塩酸塩	レグバラ錠	副甲状腺癌に伴う高カルシウム血症	
4	日本消化器病学会 厚生労働省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班	ブデソニド経口剤	Entocort EC(米) Entocort CR 3mg(英) Entocort(独) Entocort 3mg(仏)	経口剤の剤形追加、効能効果は「回腸又は上行結腸に病変を有する軽度から中等度の活動期クローン病」	
5	日本造血細胞移植学会	ミコフェノール酸モフェチル	セルセプトカプセル250	同種造血細胞移植時の移植片対宿主病の抑制	
6	日本放射線腫瘍学会 日本医学放射線学会	オンダンセトロン塩酸塩	ゾフラン錠 ゾフラン注 ゾフランシロップ ゾフランザイデイス	放射線照射に伴う消化器症状(悪心、嘔吐)	
7	日本放射線腫瘍学会 日本医学放射線学会	グラニセトロン塩酸塩	カイトリル錠 カイトリル細粒 カイトリル注 カイトリル点滴静注用	放射線照射に伴う消化器症状(悪心、嘔吐)	
8	小児腎臓病学会	ミコフェノール酸モフェチル	セルセプトカプセル250	腎移植の小児適応の追加	○
9	小児腎臓病学会	メチルプレドニゾンコハク酸エステルナトリウム	ソル・メドロール静注用	ネフローゼ症候群	○
10	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本臨床腫瘍学会	メドロキシプロゲステロン酢酸エステル	ヒスロン、ヒスロンH	悪性腫瘍に伴う食思不振および悪液質	
11	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	リスパダール	リスパダール錠 リスパダールOD錠 リスパダール細粒 リスパダール内服液	がんに伴う嘔気嘔吐	
12	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	山椒・人参・乾姜・粉末飴	ツムラ大建中湯エキス顆粒(医療用)	イレウス、癌性腹膜炎、オピオイドによる便秘の効果・効能追加	
13	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	スコポラミン	Transderm Scop	貼付剤の剤形追加、効能効果は「オピオイド投与に伴う悪心・嘔吐の防止」	
14	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	人参・桂枝・川芎・地黄・茯苓・蒼朮・黄耆・当帰・芍薬・甘草(十全大補湯)	ツムラ十全大補湯エキス顆粒(医療用)	悪性腫瘍によるQOL低下、抗がん剤・放射線療法の副作用	

15	日本中毒学会 財団法人日本中毒情報センター	アトロピン・プラリド キシムクロリド配合 注射用キット	Mark I Nerve Agent Antidote Kit (atropine and pralidoxime chloride)	自己注射用剤の剤形追加、効能効果は「有機リン 剤(神経剤/殺虫剤)中毒の治療	
16	日本移植学会	抗ヒト胸腺細胞ウ サギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静 注用25mg	腎移植後の急性拒絶反応の治療 腎移植における急性拒絶反応の抑制	
17	日本消化器免疫学会 厚生労働省難治性疾患克服研究事業 難治性炎症性腸管障害に 関する調査研究班	メルカプトプリン	ロイケリン 散10%	ステロイド依存性のクローン病の寛解導入および寛 解維持ならびにステロイド依存性の潰瘍性大腸炎 の寛解維持	
18	日本臨床腫瘍学会 卵巣がん体験者の会スマイリー	デキサメタゾン	デカドロン錠4mg	4mg製剤の剤形追加	
19	難治性の肝・胆道疾患に関する調査研究 班	ブデソニド経口剤	Entocort EC(米) Entocort CR 3mg(英) Entocort(独) Entocort 3mg(仏)	軽症から中等症の活動性自己免疫性肝炎患者にお ける寛解導入、またプレドニゾンによる寛解維持 療法を要する患者においてプレドニゾンからブデ ソニドへの切り替えによる寛解維持	
20	個人	ベバシズマブ	アバステン	脳放射線壊死	
21	個人	ピルフェニドン	ピレスパ錠200mg	慢性腎臓病(進行性慢性腎不全)における腎不全の 進展抑制	
22	日本LCH研究会 厚生労働省難治性疾患克服研究事業 「乳児ランゲルハンス細胞組織球症の病 態解明と診療研究班	クラドリピン	ロイスタチン	ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)	○
23	日本LCH研究会 厚生労働省難治性疾患克服研究事業 「乳児ランゲルハンス細胞組織球症の病 態解明と診療研究班	シクロホスファミド	エンドキサン錠 注射用エンドキサン	ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)	○
24	日本LCH研究会 厚生労働省難治性疾患克服研究事業 「乳児ランゲルハンス細胞組織球症の病 態解明と診療研究班	シタラピン	キロサイド注 キロサイドN注	ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)	○
25	日本LCH研究会 厚生労働省難治性疾患克服研究事業 「乳児ランゲルハンス細胞組織球症の病 態解明と診療研究班	ビンブラスチン硫酸 塩	エクザール注射用10mg	ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)	○
26	日本LCH研究会 厚生労働省難治性疾患克服研究事業 「乳児ランゲルハンス細胞組織球症の病 態解明と診療研究班	メトトレキサート	注射用メトトレキサート メトトレキサート点滴静 注液200mg	ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)	○
27	日本LCH研究会 厚生労働省難治性疾患克服研究事業 「乳児ランゲルハンス細胞組織球症の病 態解明と診療研究班	メルカプトプリン	ロイケリン 散10%	ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)	○
28	個人	シナカルセト塩酸 塩	レグバラ錠	腎移植後に遷延する副甲状腺機能亢進症に伴う高 Ca血症	
29	個人	アロプリノール	ザイロリック錠	がん化学療法時の口腔粘膜炎の症状緩和	
30	日本移植者協議会	エベロリムス	サーティカン錠	心臓以外の臓器移植	
31	日本移植者協議会	抗ヒト胸腺細胞ウ サギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静 注用25mg	全臓器	
32	日本移植者協議会	バシリキシマブ(遺 伝子組換え)	シムレクト静注用	他臓器移植の拒絶反応の抑制(腎移植以外)	
33	日本移植者協議会	リツキシマブ(遺伝 子組換え)	リツキシサン注 10mg/mL	血液型不適合液性拒絶反応	
34	個人	タクロリムス	プロトピック軟膏	アトピー性皮膚炎に用いる際の吸収性の増大	

2. 循環器WG

○循環器器官用薬分野

未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本造血細胞移植学会	デフィプロタイド	プロシクライド	血栓症(類洞閉塞症候群を含む)	
2	日本心不全学会 日本循環器学会	トルバプタン	米国、欧州	心性浮腫	
3	日本老年精神医学会 若年認知症オアシス虹の会 社団法人 認知症の人と家族の会 若年認知症家族会・彩星の会	ガラタミン	ラザダイン(米国)、レミニール(英国)	軽度から中等度のアルツハイマー型認知症	
4	日本老年精神医学会 社団法人 認知症の人と家族の会	メマンチン	ナメンダ(米)、エビクサ(英、独、仏)、アクシア(英、独、仏)	アルツハイマー型認知症	
5	日本老年精神医学会 社団法人 認知症の人と家族の会	リバスチグミン	エクセロンパッチ	軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症の治療	
6	特定非営利法人PAHの会	トレプロスチニル	リモジュリン	肺高血圧症	
7	特定非営利法人PAHの会	トレプロスチニル吸入剤	Tyvaso	肺高血圧症	
8	特定非営利法人PAHの会	イロプロスト	Ventavis	肺高血圧症	

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本未熟児新生児学会	メナテルノン	ケイツー・シロップ 0.2%	新生児・乳児ビタミンK欠乏性出血症に対する予防	○
2	一般社団法人日本頭痛学会 日本神経学会	バルプロ酸ナトリウム経口剤	デパケン、デパケンR、バレリン	片頭痛の予防	
3	日本神経学会 一般社団法人日本頭痛学会 個人	プロプラノロール塩酸塩	インデラル	片頭痛における頭痛発作の予防	
4	一般社団法人日本脳卒中学会	血栓溶解剤(rt-PA製剤)	1 アクチバシン注 2 グルトバ注	虚血性脳血管障害急性期に伴う機能障害の改善の適応を発症後3時間以内から発症後4.5時間以内に以下の禁忌項目の削除 「1.頭蓋内出血で止血が完成していないと推定される患者[出血を促進させる可能性がある]。2.脳卒中急性期で頭蓋内圧が亢進している患者[頭蓋内圧を高める恐れがある]。」	
5	一般社団法人日本脳卒中学会	ニカルジピン	ペルジピン注		
6	小児腎臓病学会 日本小児循環器学会	エナラプリル マレイン酸塩	レニベース錠 エナラート細粒1%	小児高血圧	○
7	小児腎臓病学会	バルサルタン小児用製剤	ディオバン錠	小児用製剤の剤形追加、効能効果は6-16歳の小児高血圧症	○
8	小児腎臓病学会	リシノプリル	ロンゲス ゼストリル	高血圧症の6-16歳の小児の適応追加	○
9	日本心不全学会 日本循環器学会 日本心血管インターベンション治療学会 日本不整脈学会	アミオダロン	アンカロン錠100	心房細動の洞調律化と洞調律維持	
10	日本心不全学会 日本循環器学会	エプレレノン	セララ錠 25mg・50mg・100mg	心筋梗塞後の心不全	
11	日本心不全学会 日本循環器学会	カルペリチド	日本のみ	急性心筋梗塞	
12	日本心不全学会 社団法人日本循環器学会	ビソプロロール fumarate 塩酸塩	メインテート0(日) ZEBETA(米) CARDICOR、EMCOR(英) CONCOR COR、CONCOR(独) CARDENSIEL	慢性心不全	
13	日本小児循環器学会	アムロジピン ベシラ酸塩	ノルバスク錠、アムロジン錠	小児高血圧症	○
14	日本小児循環器学会	プロプラノロール塩酸塩	インデラル錠10mg、20mg	不整脈、褐色細胞腫、片頭痛の予防、ファロー四徴症等の低酸素発作予防	○
15	日本小児循環器学会	ベラパミル塩酸塩	①ワソラン静注5mg ②ワソラン錠40mg	上室性の頻脈性不整脈の小児適応の追加	○
16	日本小児循環器学会	ワルファリンカリウム	ワーファリン錠0.5mg、1mg、5mg	小児適応の追加	○
17	日本内分泌学会	ジメチルクロルテトラサイクリン	レダマイシン	抗利尿ホルモン不適合分泌症候群	
18	日本心血管インターベンション治療学会	エノキサパリンナトリウム	エノキサパリン	急性冠症候群におけるPCI施行時に使用	
19	日本心血管インターベンション治療学会	クロピドグレル	プラビックス	以下のアテローム血栓症イベントの抑制 1.待機的PCIが適用される安定狭心症、陈旧性心筋梗塞 2.末梢動脈疾患	
20	日本心血管インターベンション治療学会	ニコランジル	シグマート	急性冠症候群の発症リスクの低減	
21	日本内分泌学会	モザバプタン	フィズリン	抗利尿ホルモン不適合分泌症候群における低ナトリウム血症の改善	
22	血管腫・血管奇形研究会	エタノール	無水エタノール	血管奇形における経皮的硬化療法および経カテーテル的塞栓術	
23	血管腫・血管奇形研究会	ポリドカノール	ポリドカスクレロール、エトキシスクレロール	血管奇形における経皮的硬化療法	
24	特定非営利法人PAHの会	イマチニブ	グリベック	肺動脈性肺高血圧症	
25	個人	ロサルタン	ニューロタン	糖尿病性腎症	

○生殖器官用薬分野

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本内視鏡外科学会 日本産科婦人科内視鏡学会	バソプレシン	ピトレシン注射液20	婦人科手術(子宮筋腫核出術、子宮外妊娠手術、 卵巣嚢胞摘出術)における子宮・卵管・卵巣への局 注による止血処置	
2	日本産婦人科・新生児血液学会 日本産科婦人科学会	エノキサパリンナト リウム	クレキサソ皮下注キット 2000IU	血栓塞栓症の予防、抗リン脂質抗体陽性の不育症 (習慣流産)症例に対して流・死産を減少	
3	日本産婦人科・新生児血液学会	乾燥濃縮人アンチ トロンビンⅢ	アンスロビンP	Gestosis Index 6点以上の妊娠高血圧症候群重症	
4	日本更年期医学会 日本産科婦人科学会	プロゲステロン	Utrogestan(英、仏) Prometrium(米) Utrogest(独)	経口剤の剤形追加、効能効果は「子宮非摘出閉経 女性におけるホルモン補充療法(HRT)の補助」	
5	日本受精着床学会 NPO法人Fine	プロゲステロン経 腔剤	Utrogestan(英、仏) Prometrium(米) Utrogest(独)	経腔剤の剤形追加、効能効果は「体外受精-胚移植 (IVF-ET)の際の黄体補充」	
6	日本産科婦人科学会	ヘパリンカルシウ ム	カプロシン皮下注用ヘパ リンカルシウム皮下注5 千単位/0.2mLシリンジ	抗リン脂質抗体陽性の不育症(習慣流産)の流・死 産の減少、在宅自己注射での使用	
7	日本産科婦人科学会	抗D(Rho)人免疫グロ ブリン	抗D(Rho)人免疫グロブ リン-Wf	妊娠28週投与、検査・処置後(羊水検査、臍帯血検 査、児頭外回転の実施)、流産後、子宮外妊娠後、 子宮内胎児死亡後における投与	
8	日本内分泌学会	メホルミン塩酸塩	メデット	多のう胞性卵巣症候群女性における排卵誘発補助	
9	中枢性尿崩症(CDI)の会 個人	デスマプレシン酢 酸塩経口剤	DDAVP Tablets	経口の新投与経路、効能効果は中枢性尿崩症	
10	日本内分泌学会 日本小児内分泌学会	リュープロレリン酢 酸塩	リュープリン注射用 1.88、リュープリン注射	中枢性思春期早発症の最大用量を180μg/kg/4週 に増大	○

○体内診断用薬分野

未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会	Ioflupane I123 Injection	DaTSCAN	特発性パーキンソン病(PD)に関連するPS、多系統 萎縮症(MSA)、及び進行性核上麻痺(PSP)から本 態性振戦(ET)の鑑別診断	
2	一般社団法人日本核医学会 日本内分泌学会 日本医学放射線学会	インジウム(111In) ペンテレオチド	OctreoScan (オクトレオスキャン)	シンチグラフィによるソマトスタチン受容体を有する 原発性及び転移性の神経内分泌腫瘍の診断	
3	(社)日本脳神経外科学会	5-アミノレブリン 酸塩酸塩	Gliolan	悪性神経膠腫(WHOグレードⅢ及びⅣ)に対する手 術における悪性組織の視覚化	
4	個人	5-アミノレブリン 酸塩酸塩	Gliolan	蛍光膀胱鏡を用いた膀胱癌の光力学的診断	

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会 日本内分泌学会	3-ヨードベンジルグ アニジン(123I)	ミオMIBG-I 123注射液	褐色細胞腫の診断	
2	一般社団法人日本核医学会 日本医学放射線学会	ヒトチロトロンピン アルファ(遺伝子組 換え)	タイロゲン筋注用0.9mg	分化型甲状腺癌で甲状腺全摘または準全摘を施行 された患者における残存甲状腺組織の放射性ヨウ 素によるアブレーション(甲状腺機能廃絶)を受ける	
3	(社)日本脳神経外科学会	インドシアニング グリーン	オフサグリーン	脳主幹動脈の血流状態観察(赤外線照射時の蛍光 測定による)	
4	日本自律神経学会	アセチルコリン	オピソート	交感神経節後繊維機能検査(発汗試験)の診断薬	
5	日本内分泌学会	デスマプレシン酢 酸塩	デスマプレシン注	ACTH依存性クッシング症候群の偽性クッシング症 候群との鑑別診断	
6	(財)日本アレルギー協会 (社)日本アレルギー学会	アレルゲンエキス	アレルゲン抽出液	アレルギー検査のバッチテスト用医薬品、減感作療 法	

### 3. 精神・神経WG

#### ○精神・神経用薬分野

#### 未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本アルコール精神医学会 日本アルコール関連問題学会 日本アルコール・薬物医学会	アカムプロセートカルシウム	campral	アルコール依存症患者における抗酒療法	
2	日本てんかん学会 日本小児神経学会	オクスカルバゼピン	国内未定, Trileptal(米, 英, 独, 仏)	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない小児の部分発作の併用療法	○
3	日本てんかん学会 日本小児神経学会	スチリペントール	Diacomit®	乳児重症ミオクロニーてんかん(Dravet症候群) (注: 開発支援品目に選定済み)	○
4	日本てんかん学会 日本小児神経学会	ビガバリン	SaBril®	點頭てんかん(West症候群)	○
5	日本てんかん学会 日本小児神経学会	ホスフェニトイン	米国: CereByx® 英国: Pro-Epanutin®	てんかん重積状態等	○
6	日本てんかん学会 日本小児神経学会	ルフィナマイド	Inovelon® (欧州)、Banzel® (米国)	レノックス・ガストー症候群(4歳以上)に伴う発作に対する併用療法 (注: 開発支援品目に選定済み)	○
7	日本てんかん学会 日本小児神経学会	レベチラセタム	Keppra®	4歳児以上の小児てんかん患者における部分発作に対する併用療法等	○
8	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	テトラヒドロカナビノール	Marinol (米国)	AIDS等の体重減少を伴う食思不振症状の食思改善 がん化学療法時に伴って起きる嘔気、嘔吐症状の	
9	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	ハイドロモルフォン	Palladone, Dillaudid, Dillaudid-HP	癌性疼痛	
10	日本口腔顔面痛学会	プレガバリン	Lyrica	歯科治療後神経因性疼痛	
11	日本線維筋痛症学会	デュロキセチン	サインバルタ	線維筋痛症	
12	日本線維筋痛症学会	ベンラファキシン	Effexor XR	線維筋痛症	
13	東京都医学研究機構東京都精神医学総合研究所	ディメボン	なし	筋萎縮性側索硬化症(ALS)ならびに前頭側頭葉変性症(FTLD-TDP)	
14	東京都医学研究機構東京都精神医学総合研究所	メチレンブルー	-	ALS、前頭側頭葉変性症	
15	個人	3、4-ジアミノピリジ	3、4-DIAMINOPYRIDINE	Lambert-Eaton筋無力症候群による筋力低下の改善	
16	全国多発性硬化症友の会 個人	インターフェロンβ 1a	Rebif	多発性硬化症の再発予防	
17	全国多発性硬化症友の会 個人	グラチラマー酢酸塩	Copaxone	多発性硬化症の再発予防	
18	全国多発性硬化症友の会 個人	ナタリズマブ	Tysabri	多発性硬化症	

#### 適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本小児遺伝学会	ドネペジル	アリセプト錠	ダウン症候群患者におけるQOLの改善	○
2	日本眼科学会 日本弱視斜視学会	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注	斜視	
3	日本小児心身医学会	フルボキサミンマレイン酸塩	ルボックス錠、デプロメール錠	小児適応の追加	○
4	日本小児心身医学会 日本小児神経学会	リスパリドン	リスパダール錠、OD錠、細粒、内用液	小児(5-16歳)における自閉症及びDBD(Disruptive Behavior Disorders:破壊的行動障害)	○
5	日本ペインクリニック学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん-一般-011)研究班	アミトリプチリン	トリプタノール錠	癌性疼痛	
6	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん-	イミプラミン	トフラニール錠	癌性疼痛	
7	日本ペインクリニック学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん-一般-011)研究班	ガバペンチン	ガバペン錠	癌性疼痛	
8	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん-	カルバマゼピン	テグレート錠、テグレート細粒50%	癌性疼痛に伴う電激痛及び神経障害性疼痛	

9	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん)	クロナゼパム	リボトリール、ランドセン錠、ランドセン細粒	癌性疼痛	
10	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん)	クロミプラミン塩酸塩	アナフラニール錠、アナフラニール点滴静注液25mg	癌性疼痛	
11	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん)	ノルトリプチリン塩酸塩	ノリレン錠	癌性疼痛	
12	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん)	バルプロ酸ナトリウム経口剤	デパケン錠	癌性疼痛	
13	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん)	パロキセチン	パキシル錠	癌性疼痛	
14	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん)	フェニトイン	アレビアチン注250mg、アレビアチン錠、アレビアチン散10%	癌性疼痛	
15	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん)	ミルナシプラン塩酸塩	トレドミン錠	癌性疼痛	
16	一般社団法人日本リウマチ学会 日本神経学会	ヒト免疫グロブリン	献血ヴェノグロブリンIH5%静注 献血ヴェノグロブリン-IHヨシトミ 献血グロベニン-I静注用	ステロイド抵抗性の多発性筋炎/皮膚筋炎	
17	日本臨床精神神経薬理学会	クロミプラミン塩酸塩	アナフラニール錠	強迫性障害	
18	日本臨床精神神経薬理学会	クロミプラミン塩酸塩	アナフラニール錠	パニック障害	
19	日本てんかん学会 日本小児神経学会	ガバペンチン	ガバペン錠	てんかん部分発作の小児適応の追加	○
20	日本てんかん学会 日本小児神経学会	クロラゼパム	メンドンカプセル7.5 mg	成人、9歳以上の小児のてんかんの部分発作	○
21	日本てんかん学会 日本小児神経学会	トピラマート	トピナ錠	2~16歳の小児における部分発作もしくは全般性強直間代性発作、または2歳以上のLennox-Gastaut症候群の発作に対する併用療法	○
22	日本てんかん学会 日本小児神経学会	バルプロ酸ナトリウム注射剤	Depacon® Epilim®	注射剤の剤形追加、効能効果は「経口剤が一時的に使用不能なてんかん」	○
23	日本てんかん学会 (社)日本脳神経外科学会 日本小児神経学会	ラモトリギン	ラミクタール錠	成人および小児における部分発作(二次性全般化発作を含む)、強直間代発作、Lennox-Gastaut症候群における全般発作に対するラモトリギンの単剤	○
24	日本てんかん学会 日本小児神経学会 一般社団法人日本サイコオンコロジー学会 一般社団法人日本頭痛学会	ロラゼパム	ワイパックス錠	静注剤の剤形追加、効能効果は「てんかん重積状態等に対する経口投与不能な痙攣、パニック発作」	○
25	日本神経学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	アミトリプチリン	トリプタノール錠	・慢性痛、難治性疼痛 ・神経障害に伴う痛み、しびれ(癌性疼痛、帯状疱疹後神経痛、糖尿病性神経障害、化学療法後の四肢の痛みなど)	
26	日本うつ病学会	オランザピン	ジブレキサ錠	治療抵抗性うつ病(フルオキセチンと併用)	

27	日本うつ病学会	クエチアピンフマル酸塩	セロクエル	双極性障害における躁状態、うつ状態、および維持療法	
28	日本自律神経学会	ピロカルピン	サンピロ点眼液	体内診断薬の剤形追加、効果効果は「発汗検査における汗腺刺激による診断補助」	
29	日本老年精神医学会	リスパリドン	リスパダール錠、OD錠、細粒、内用液	中等度から高度のアルツハイマー患者における攻撃行動	
30	日本神経学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本神経治療学会	オキシコドン	オキシコドン錠、オキノーム散0.5%、パピナール注	神経筋疾患における激しい疼痛時における鎮痛、鎮静、神経筋疾患における激しい咳そう発作における鎮咳、神経筋疾患における激しい呼吸困難の改善、中等度から高度の疼痛(非癌性疼痛を含む)等	
31	日本神経学会	ヒト免疫グロブリン	献血ヴェノグロブリンIH5%静注 献血ベニロン-I、献血グロベニン-I、献血ヴェノグロブリン-IH	重症筋無力症急性増悪に対する免疫グロブリン大量療法	
32	日本神経学会 日本神経治療学会	フェンタニル	デュロテップMTパッチ	□神経筋疾患における激しい疼痛時における鎮痛、鎮静	
33	日本神経学会	メチルプレドニゾロ	ソル・メドロール®静注用	多発性硬化症の急性期および急性増悪・再燃時の	
34	日本神経学会 日本神経治療学会	モルヒネ硫酸塩	カディアンカプセル、MSコンチン錠、MSツイスロンカプセル、ピーガード錠	・神経筋疾患における激しい疼痛時における鎮痛 ・鎮静鎮静、神経筋疾患における激しい咳そう発作における鎮咳 ・神経筋疾患における激しい呼吸困難の改善	
35	日本神経学会 日本神経治療学会	モルヒネ塩酸塩	モルヒネ塩酸塩錠10mg「DSP」、オプソ内服液、アンベック坐剤、アンベック注、モルヒネ塩酸塩注射液「シオノギ」、モルヒネ塩酸塩水和物「第一三共」原末、モルヒネ塩酸塩注射液「第一三共」、モルヒネ塩酸塩水和物「タケダ」原末、塩酸モルヒネ注射液「タケダ」、パシーフカプセル、プレベノン注、モルヒネ塩酸塩注射液「タナベ」	・神経筋疾患における激しい疼痛時における鎮痛 ・鎮静鎮静、神経筋疾患における激しい咳そう発作における鎮咳 ・神経筋疾患における激しい呼吸困難の改善	
36	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	ガバペンチン	ガバペン錠	神経障害性疼痛、難治性疼痛における疼痛症状緩和	
37	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	ケタミン塩酸塩	ケタラール静注用	オピオイド抵抗性の癌性疼痛	
38	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	フェンタニル	デュロテップMTパッチ	慢性難治性疼痛	
39	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	ミダゾラム	ドルミカム注射液10mg	緩和ケアにおける苦痛緩和を目的とする鎮静	
40	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	メチルフェニデート	リタリン錠10mg、リタリン散1%	オピオイド投与中のがん患者の眠気の改善に関する効果追加	
41	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	リドカイン	静注用キシロカイン2%	神経障害性疼痛	
42	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	柴胡・蒼朮・茯苓・川芎・当帰・釣藤	ツムラ抑肝散エキス顆粒(医療用)	せん妄、認知症の周辺症状	
43	日本定位・機能神経外科学会 日本ニューロモデュレーション学会 国立ガンセンター研究所・東京女子医科大学合同腫瘍内薬物投与疼痛治療チーム(NCCIR/TWMU ITPain team) 長崎緩和医療創薬開発・利用促進連携グループ(Innovative Nagasaki-KANWA Group)	モルヒネ塩酸塩くも膜下投与用製剤	アンベック注、モルヒネ塩酸塩注射液「シオノギ」、モルヒネ塩酸塩注射液「第一三共」、塩酸モルヒネ注射液「タケダ」、モルヒネ塩酸塩注射液「タナベ」	体内植え込み型薬剤投与ポンプを用いた持続くも膜下腔投与用製剤の剤形追加	
44	一般社団法人日本サイコオンコロジー学会	オランザピン	ジブレキサ錠	せん妄の改善	
45	一般社団法人日本サイコオンコロジー学会	ガバペンチン	ガバペン錠	原発性・転移性脳腫瘍による部分発作(2次性全般化発作を含む)への単独療法	
46	一般社団法人日本サイコオンコロジー学会	トピラマート	トピナ錠	原発性・転移性脳腫瘍による部分発作(3次性全般化発作を含む)への単独療法	
47	一般社団法人日本サイコオンコロジー学会	ハロペリドール	セレネース錠、セレネース細粒1%、セレネース注	せん妄の改善	
48	一般社団法人日本サイコオンコロジー学会	リスパリドン	リスパダール錠、OD錠、細粒、内用液	せん妄の改善	
49	日本疼痛学会	リドカイン	静注用キシロカイン2%	難治性癌性疼痛	
50	日本口腔顔面痛学会	アミトリプチリン	トリプタノール錠	歯科治療後神経因性疼痛	
51	日本口腔顔面痛学会	ガバペンチン	ガバペン錠	歯科治療後神経因性疼痛	
52	日本口腔顔面痛学会	トラマドール注射剤	トラマール注100	歯科治療後神経因性疼痛	
53	日本口腔顔面痛学会	ノルトリプチリン塩酸塩	ノルトレン錠	歯科治療後神経因性疼痛	
54	日本口腔顔面痛学会	ラモトリギン	ラミクター錠	歯科治療後神経因性疼痛	
55	日本口腔顔面痛学会	リドカイン	キシロカインゼリー2%	歯科治療後神経因性疼痛	
56	日本線維筋痛症学会	アセトアミノフェン	カロナール錠	小児科領域における線維筋痛症	○
57	日本線維筋痛症学会	アミトリプチリン	トリプタノール錠	線維筋痛症	
58	日本線維筋痛症学会	ガバペンチン	ガバペン錠	線維筋痛症	
59	日本線維筋痛症学会	セルトラリン	ジェイゾロフト錠	線維筋痛症	
60	日本線維筋痛症学会	トラマドール経口剤	トラマールカプセル(申請中)	経口剤の剤形追加、効果効果は「線維筋痛症」	
61	日本線維筋痛症学会	フルボキサミンマレイン酸塩	ルボックス錠 デプロメール	線維筋痛症	



62	日本線維筋痛症学会	ミルナシブラン塩酸塩	トレドミン錠	線維筋痛症	
63	日本線維筋痛症学会	ワクシニアウィルス接種家兔炎症皮膚抽出液	ノイトロピン錠4単位	線維筋痛症	
64	日本めまい平衡医学会	ゲンタマイシン硫酸塩	リンデロン	鼓室内注入の新投与経路、効能効果はめまい発作の治療	
65	日本めまい平衡医学会	臭化ブチルスコポラミン	ブスコパン	めまい時の悪心・嘔吐症状の改善	
66	日本めまい平衡医学会	臭化水素酸スコポラミン	ハイスコ皮下注0.5mg	めまい時の悪心・嘔吐症状の改善	
67	日本睡眠学会	クロミプラミン塩酸	アナフラニール錠	ナルコレプシーに伴う情動脱力発作	
68	獨協医科大学神経内科 免疫性神経疾患に関する調査研究班 全国CIDPサポートグループ 個人	シクロスポリン	ネオーラルカプセル	慢性炎症性脱髄性多発神経炎	
69	個人	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注	原発性局所多汗症	
70	個人	タミバロテン	アムノレイク錠2mg	HTLV-1関連脊髄症(HAM)	
71	個人	トラマドール経口徐放剤	徐放錠; 米: Ultram ER, Ryzolt 英: Zydol SR, Tramulief SR, 他 独: Tramal, Amadol, Tial, 他 仏: Contramal, Topalgic, 他 注射剤; 日: トラマール注100(この剤形のみ)	経口徐放剤の剤形追加、効能効果は「慢性疼痛」	
72	厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん-一般-011)研究班	ドネペジル	アリセプト錠	癌性疼痛の鎮痛薬、鎮痛補助薬による眠気の抑制	
73	個人	モダフィニル	モディオダール錠100mg	特発性過眠症	
74	全国多発性硬化症友の会 個人	ミトキサントロン	ノバントロン注	多発性硬化症	
75	日本小児集中治療研究会 国立成育医療センター 治験管理室/臨床研究センター	ダントロレンナトリウム	ダントリウム®カプセル 25 mg、50mg	小児適応の追加	○
76	あどれす患者会	アトモキセチン	ストラテラ®カプセル	成人期(18歳以上)における注意欠陥/多動性障害(AD/HD)	
77	あどれす患者会	メチルフェニデート	リタリン錠10mg, リタリン散1%	注意欠如・多動性障害(ADHD)	○

4. 抗菌・抗炎症WG

○抗菌薬分野

未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	社団法人日本感染症学会 日本感染症教育研究会	ナフシリン	NAFCILLIN(ナフシリン)	本薬剤に対し感受性のあるペニシリナーゼ産生ブドウ球菌による感染症	
2	日本産婦人科・新生児血液学会	抗サイトメガロウイルス免疫グロブリン	サイトガム(Cytogam)	先天性および周産期サイトメガロウイルス感染症	○
3	日本造血細胞移植学会	シドフォビル	Vistide®	造血幹細胞移植患者におけるサイトメガロウイルス血症及びサイトメガロウイルス感染症	
4	社団法人日本感染症学会 厚生労働科学研究費補助金・政策創薬 総合研究事業「輸入熱帯病・寄生虫症に 対する稀少疾病治療薬を用いた最適な 治療法による医療対応の確立に関する 研究」	パロモマイシン	Humatin	・急性または慢性の腸管アメーバ症 ・肝性脳症の補助療法	
5	日本エイズ学会 東京HIV診療ネットワーク	アトバコン	Mepron	ニューモシスチス肺炎の治療及び予防	
6	厚生労働科学研究費補助金・政策創薬 総合研究事業「輸入熱帯病・寄生虫症に 対する稀少疾病治療薬を用いた最適な 治療法による医療対応の確立に関する 研究」	アトバコン・塩酸プロ グアナニル配合剤	Malarone	薬剤耐性熱帯熱マラリアを含むマラリアの治療及び 予防	
7	個人	5-アミノレブリン 酸塩酸塩	艾拉 (日本語訳 アラ)	尖圭コンジローマ	

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本感染症教育研究会 社団法人日本感染症学会	ゲンタマイシン硫酸 塩	ゲンタシン注	用法用量の増大(海外と同様)	
2	日本感染症教育研究会 社団法人日本感染症学会	バンコマイシン塩 酸塩	塩酸バンコマイシン点滴 静注用	メチシリン耐性コアグララーゼ陰性ブドウ球菌等の適 応菌種と好中球減少時の発熱等	
3	日本感染症教育研究会 社団法人日本感染症学会 社団法人日本化学療法学会	ピペラシリンナトリ ウム	ペントシリン注射用	最高用量の増大(1日16gまで)	
4	日本感染症教育研究会 社団法人日本感染症学会	ペニシリンG	注射用ペニシリンGカリ ウム20万単位	【適応菌種】梅毒トレポネーマ 【適応症】第1期梅毒、第2期梅毒、神経梅毒	
5	日本感染症教育研究会 社団法人日本感染症学会 東京HIV診療ネットワーク 厚生労働科学研究費補助金・政策創薬 総合研究事業「輸入熱帯病・寄生虫症に 対する稀少疾病治療薬を用いた最適な 治療法による医療対応の確立に関する 研究」	メロニダゾール経 口剤	フラジール内服錠250mg	嫌気性菌、アメーバ赤痢、ランブル鞭毛虫感染症、 クロストリディウム・ディフィシル関連腸炎	
6	日本感染症教育研究会 社団法人日本感染症学会 厚生労働科学研究費補助金・政策創薬 総合研究事業「輸入熱帯病・寄生虫症に 対する稀少疾病治療薬を用いた最適な 治療法による医療対応の確立に関する 研究」	メロニダゾール静 注薬	Metronidazole Injection	静注剤の剤形追加、効能効果は「嫌気性菌感染 症、アメーバ赤痢」	
7	日本造血細胞移植学会	ホスカルネットナト リウム	点滴静注用ホスカビル 注	造血幹細胞移植患者におけるサイトメガロウイルス (CMV)血症及びCMV感染症	
8	日本小児リウマチ学会 日本小児血液学会 日本小児がん学会	パリビズマブ	シナジス筋注用	24ヶ月齢以下の免疫不全児(臓器移植後、骨髄移 植後、化学療法施行中)におけるRSV感染症の発症 抑制	○
9	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学 会	メロニダゾール経 口剤	フラジール	がん性悪臭の軽減	
10	日本小児感染症学会	バラシクロビル塩 酸塩	バルトレックス錠500、 バルトレックス顆粒50%	①単純疱疹、②造血幹細胞移植における単純ヘル ペスウイルス感染症(単純疱疹)の発症抑制、③帯 状疱疹、④性器ヘルペスの再発抑制の小児適応の	○
11	日本小児感染症学会	ポリコナゾール	バイフェンド静注用、バイ フェンド錠	小児適応の追加	○
12	日本小児感染症学会 社団法人日本感染症学会	リネゾリド	ザイボックス錠 ザイボックス注射液	小児適応の追加	○
13	日本産科婦人科学会 日本周産期・新生児医学会 性の健康医学財団	メロニダゾール経 口剤、経腔剤	フラジール	流産・早産、産褥子宮内膜炎、帝王切開後感染症 の原因となる細菌性陰症の治療	
14	日本小児血液学会 日本小児がん学会	フルコナゾール小 児用経口混濁剤	DIFLUCAN Oral Suspension	小児用経口混濁液の剤形追加、小児適応の追加	○
15	社団法人日本感染症学会	アンピシリンナト リウム	注射用ピクシリン	小児適応の追加	○
16	社団法人日本感染症学会	シプロフロキサシン	シプロキサシ注	小児に対する、尿路感染症(複雑性膀胱炎、腎盂腎 炎)及び嚢胞性線維症	○
17	社団法人日本感染症学会 社団法人日本化学療法学会 東京HIV診療ネットワーク	スルファメトキサ ゾール・トリメプ リム配合剤	バクタ錠・顆粒、バクトラ ミン錠・顆粒	ニューモシスチス肺炎の治療及び予防	
18	社団法人日本感染症学会	セフトキシムナト リウム	クラフォラン注射用	小児適応の追加	○
19	社団法人日本感染症学会	パニペナム・ベタミ プロン配合剤	カルベニン点滴用	小児化膿性髄膜炎	○
20	社団法人日本感染症学会	フルコナゾール経 口剤、静注剤	ジフルカン静注液、ジフ ルカンカプセル	小児適応の追加、小児における造血幹細胞移植を 施行する患者の真菌感染症予防	○

21	社団法人日本感染症学会	アルベカシン	ハベカシン注射液	MRSA感染症(個々の疾患名を削除)	
22	社団法人日本感染症学会	テイコプラニン	注射用タゴシッド	MRSA感染症(個々の疾患名を削除)	
23	社団法人日本感染症学会	バンコマイシン	塩酸バンコマイシン点滴 静注用	MRSA感染症(個々の疾患名を削除)	
24	社団法人日本感染症学会	リネゾリド	ザイボックス注射液/錠	MRSA感染症(個々の疾患名を削除)	
25	社団法人日本化学療法学会	アモキシシリン	パセトシン細粒 サワシリン細粒 ワイドシリン細粒 アモリン細粒	ペニシリン耐性肺炎(PRSP)による小児感染症	○
26	社団法人日本化学療法学会	アルベカシン	ハベカシン注射液	【適応菌種】本剤に感性の緑膿菌を含むグラム陰性桿菌 【適応症】 ・緑膿菌を含むグラム陰性桿菌による肺炎、敗血症 ・本剤に感性のメチシリン耐性黄色ブドウ球菌(MRSA)または、緑膿菌を含むグラム陰性桿菌の関与が想定される場合の悪寒戦慄を伴って惹起され、旧製剤の再承認、効能効果はグラム陽性菌、特にメチシリン感受性の黄色ブドウ球菌(MSSA)による髄膜炎、心内膜炎、熱傷様皮膚症候群(SSSS)、カテーテル感染症など、用法用量の増大	
27	社団法人日本化学療法学会	クロキサシリン MCIPC	元 メシリンS	注射剤の剤形追加、効能効果は「多剤耐性緑膿菌(MDRP)、多剤耐性アシネトバクター属、その他の多剤耐性グラム陰性菌による各種感染症」	
28	社団法人日本化学療法学会	コリスチンメタン ルホン酸ナトリウム 塩注射剤	米:Coly-Mycin M 他	1回400mg1日2回~3回投与の承認	
29	社団法人日本化学療法学会	シプロフロキサシン	シプロキサン注	PRSP、BLNARによる気道感染症および中耳炎、副鼻腔炎	○
30	社団法人日本化学療法学会	セフトレンピポキシル	メイアクトMS®小児用細粒10%	発熱性好中球減少症	
31	社団法人日本化学療法学会	タゾバクタムナトリウム・ピペラシリンナトリウム配合剤	ゾシン静注用	用法用量の増大	
32	社団法人日本化学療法学会	ピアペナム	オメガシン®点滴用0.3g	咽頭腔感染(嫌気性菌による)、異常口臭(口臭除去)、歯周組織炎、歯周炎	
33	社団法人日本化学療法学会	メロニダゾール経口剤	フラジール内服錠	非結核性抗酸菌症	
34	日本結核病学会 (社)日本呼吸器学会 東京HIV診療ネットワーク	エタンブトール塩酸塩	エサンブトール エブトール	非結核性抗酸菌および非結核性抗酸菌症	
35	日本結核病学会 (社)日本呼吸器学会	リファンピシン	リファジン リマクタン	難治性結核(薬剤耐性、とりわけ多剤耐性結核の治療。副作用のため他の抗結核薬が使用できない場合の結核の治療)	
36	日本結核病学会 (社)日本呼吸器学会	レボフロキサシン	クラビット	吸入用製剤の剤形追加、効能効果は「腭嚢胞線維症の気道感染症」	○
37	腭嚢胞線維症の治療環境を実現する会	コリスチンメタン ルホン酸ナトリウム	英:Colomycin Injection	吸入用剤の剤形追加、効能効果は「腭嚢胞線維症の緑膿菌の肺感染症」	○
38	腭嚢胞線維症の治療環境を実現する会 特定非営利活動法人神戸市難病団体連絡協議会	トブラマイシン	TOBI	ニューモシスティス肺炎、免疫抑制薬使用下の肺炎の予防	
39	厚生労働省難治性血管炎に関する調査研究班	コ・トリモキサゾール	バクタ錠、顆粒		

○抗炎症薬、呼吸器官用薬分野

未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本未熟児新生児学会 特定非営利活動法人神戸市難病団体連絡協議会	カフェインクエン酸塩	CAFCIT Injection、 CAFCIT Oral solution	早産児無呼吸発作の短期治療	○
2	一般社団法人日本リウマチ学会	アナキンラ	キネレット	クリオピリン関連周期熱症候群	○
3	一般社団法人日本リウマチ学会	カナキヌマブ	イラリス	クリオピリン関連周期性発熱症候群(家族性寒冷自己炎症症候群及びMuckle-Wells症候群)患者の炎症症状の軽減	○
4	一般社団法人日本リウマチ学会	リロナセプト	アカリスト	クリオピリン関連周期熱症候群のうち家族制寒冷蕁麻疹とMuckle-Wells症候群	○
5	肺嚢胞線維症の治療環境を実現する会	ドルナーゼ アル	Pulmozyme	肺嚢胞線維症	○
6	厚生労働省難治性疾患克服研究事業 呼吸不全に関する調査研究班 個人	シロリムス	ラパミュンrapamune	リンパ脈管筋腫症(LAM)	
7	個人	ヒト組み替えGM-CSF (sargramostim)	Molgramostim(大腸菌由来) Leukine(酵母由来)	特発性(自己免疫性)肺胞蛋白症	
8	特定非営利活動法人神戸市難病団体連絡協議会	ポラクタント アルファ	CUROSURF	未熟児の呼吸窮迫症候群の予防と治療	○
9	日本ヒドロキシクロロキン研究会	ヒドロキシクロロキン	Plaquenil® プラキニル	慢性円板状エリテマトーデス、全身性エリテマトーデス、関節リウマチ	

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本ハンセン病学会	サリドマイド	サレドカプセル	らい性結節性紅斑	
2	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん-	エトドラク	オステラック錠 ハイベン錠	癌性疼痛	
3	日本ペインクリニック学会 日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会 日本疼痛学会 厚生労働省科学研究費補助金(第3次対がん総合戦略研究事業) 癌性疼痛患者のQOL向上のための橋渡し研究連携拠点の構築(H21-3次がん-	セレコキシブ	セレコックス錠	癌性疼痛	
4	一般社団法人日本リウマチ学会 日本小児リウマチ学会	アザチオプリン	アザニン イムラン	ステロイド治療抵抗性全身性エリテマトーデス	○
5	一般社団法人日本リウマチ学会	シクロホスファミド 経口剤・静注剤	エンドキサン錠、注射用 エンドキサン 他	全身性血管炎の寛解導入効果	
6	一般社団法人日本リウマチ学会	シクロホスファミド 経口剤・静注剤	エンドキサン錠、注射用 エンドキサン 他	全身性エリテマトーデスの難治性病態の寛解導入	
7	日本顎関節学会	ジクロフェナクナトリウム	ボルタレン	顎関節症	
8	日本顎関節学会	ナプロキセン	ナイキサン	顎関節症における疼痛改善	
9	小児腎臓病学会	シクロホスファミド 経口剤・静注剤	エンドキサン錠、注射用 エンドキサン 他	小児ネフローゼ症候群、小児用製剤の剤形追加	○
10	日本小児リウマチ学会	インフリキシマブ	レミケード点滴静注用	大量ガンマグロブリン治療に抵抗を示す重症川崎病	○
11	日本緩和医療学会・日本緩和医療薬学会	アセトアミノフェン	カロナール錠 PerfalganAcetavance 他	点滴静注剤の剤形追加、効能効果は「軽度から中程度の急性疼痛、癌性疼痛及び発熱」	
12	厚労省研究班難治性疾患克服事業 「ベーチェット病に関する調査研究」班 北海道ベーチェット病友の会 ベーチェット病友の会 個人	インフリキシマブ	レミケード点滴静注用 100	・神経型ベーチェット病 ・腸管型ベーチェット病 ・血管型ベーチェット病 ・非感染性難治性網膜ぶどう膜炎、ベーチェット病による難治性網膜ぶどう膜炎で通常投与量に抵抗性の症例への増量・投与期間短縮	
13	個人	ヒト免疫グロブリン	1. 献血ヴェノグロブリン-IH、2. 献血グロベニン-I、3. 献血ベニコ-	封入体筋炎(IBM)	
14	厚生労働省難治性疾患克服研究事業 呼吸不全に関する調査研究班 個人	エベロリムス	サーティカン錠 certican	リンパ脈管筋腫症(LAM:Lymphangiomyomatosis)	
15	個人	メトレキサート	メトレキサート錠2.5mg	慢性進行型神経ベーチェット病	
16	厚生労働省難治性血管炎に関する調査研究班	アザチオプリン	アザニン イムラン	顕微鏡的多発血管炎及びWegener肉芽腫症	
17	厚生労働省難治性血管炎に関する調査研究班	シクロホスファミド 静注剤	エンドキサン錠、注射用 エンドキサン 他	多発性血管炎、Wegener肉芽腫症	
18	特定非営利活動法人神戸市難病団体連絡協議会	プロピオン酸ベクロメタゾン・フマル酸ホルモテロール配合吸入剤	Foster	吸入用配合剤の剤形追加、効能効果は「気管支喘息の治療」	
19	個人	フルオシノロンアセトニド眼内埋植用	レチサート眼内埋植用 0.59mg(0.59 mg RETISERTTM)	眼内埋植用製剤の剤形追加、効能効果は「後眼部に及ぶ非感染性ぶどう膜炎」	

5. 抗がんWG

○抗がん剤分野

未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本呼吸器内視鏡学会 (社)日本呼吸器学会 日本臨床腫瘍学会	タルク	STERITALC	悪性胸水の再貯留抑制 (注:開発支援品目に選定済み)	
2	日本脳腫瘍学会	カルムスチン脳内留置用製剤	Gliadel® Wafer	悪性神経膠腫	
3	日本造血細胞移植学会	アレムツズマブ	Campath	造血幹細胞の前治療	
4	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人	アルデスロイキン	Proleukin	悪性黒色腫	
5	日本小児血液学会 日本小児がん学会	エルウィニア L-アスパラギナーゼ	Erwinase	急性リンパ性白血病(慢性白血病の急性転化例を含む)、悪性リンパ腫	○
6	日本臨床腫瘍学会 NPO法人血液情報広場・つばさ 個人	アザンチジン	VIDAZA(英名)、ビダーザ注射用(予定)	骨髄異形成症候群	
7	日本臨床腫瘍学会 特定非営利活動法人(NPO法人)グループ・ネクサス	ベンダムスチン塩酸塩	トリアキシン静注用(予定)	1. 低悪性度非ホジキンリンパ腫、マントル細胞リンパ腫、2. 多発性骨髄腫、3. 慢性リンパ性白血病	
8	個人	ストレプトゾシン	Zanozar	転移を有する悪性膵内分泌腫瘍・神経内分泌腫瘍・カルチノイド腫瘍 (注:開発支援品目に選定済み)	
9	個人	デニロイキン ディフテイトックス	ONTAK	悪性細胞がインターロイキン2受容体の構成要素CD25を発現している、持続性もしくは再発性の皮膚T細胞リンパ腫	
10	慢性骨髄増殖性疾患患者・家族会 個人	アナグレリド	(米)Agrylin(欧州) Xagrid	本態性血小板血症の治療	
11	オリーブの会 個人(5名)	イキサペピロン	IXEMPRA(US)	乳癌	
12	癌と共に生きる会	パニツムマブ	Vectibix	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	
13	特定非営利活動法人(NPO法人)グループ・ネクサス	ポリノスタット	ゾリンザ(販売予定名)	皮膚T細胞性リンパ腫(CTCL)	
14	個人(2名)	フルベストラント	フルベストラント	閉経後進行・再発乳癌	
15	個人	ネラチニブ	ネラチニブ	乳癌	
16	個人(4名)	レナリドミド	レブラミドカプセル(予)	骨髄異形成症候群	
17	個人	デシタビン	DACOGEN	骨髄異形成症候群(MDS)	

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本臨床腫瘍学会 日本胆道学会 日本癌治療学会 (社)日本外科学会 厚生労働省厚生労働科学研究費補助金がん臨床研究事業(第3次対がん総合戦略研究事業)「切除不能胆道がんに対する治療法の確立に関する研究」研究班 東北大学病院・腫瘍内科 東北大学加齢医学研究所・癌化学療法研究分野 胆嚢友の会 個人	シスプラチン	ブリプラチン注(ブリストル)、ランダ注(日本化薬)	胆道癌	
2	日本胃癌学会	オキサリプラチン	Eloxatin(米国、仏国、英国、独国) エルプラット(日本)	切除不能進行・再発胃癌に対する効能追加	
3	日本胃癌学会	カペシタビン	ゼローダ錠300	切除不能進行・再発胃癌	
4	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人	インターフェロンα-2b	イントロンA注射液	悪性黒色腫	
5	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人	テモゾロミド	テモダールカプセル	悪性黒色腫	
6	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人(2名)	パクリタキセル	タキソール注射液	血管肉腫	
7	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人	セルモロイキン(遺伝子組換え)	セロイク注射用	悪性黒色腫	
8	日本皮膚悪性腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 個人	テセロイキン(遺伝子組換え)	イムネース注	悪性黒色腫	
9	日本内分泌学会	シナカルセット塩酸	レグパラ錠	外科治療の適応のない副甲状腺癌	
10	有限責任中間法人 日本乳癌学会 個人	アルブミン結合性ナノ粒子 パクリタキセル製剤	アブラキサン	アルブミン含有製剤の剤形追加、効能効果は「乳癌」で毎週1回投与	
11	有限責任中間法人 日本乳癌学会 日本臨床腫瘍学会 あけぼの神奈川 個人(4名)	カルボプラチン	パラプラチン注射液	乳癌	
12	有限責任中間法人 日本乳癌学会 あけぼの神奈川 個人(3名)	ゲムシタビン塩酸塩	ジェムザール注射用 200mg、1g	乳癌	

13	有限責任中間法人 日本乳癌学会	トラスツズマブ(遺伝子組換え)	ハーセプチン注射用	HER2過剰発現が確認された乳癌における術前補助化学療法	
14	有限責任中間法人 日本乳癌学会	トラスツズマブ(遺伝子組換え)	ハーセプチン注射用	HER2過剰発現が確認された転移性乳癌について、3週間1回投与の用法追加	
15	有限責任中間法人 日本乳癌学会 あけぼの神奈川 オリーブの会 個人(24名)	ベバシズマブ	アバステン点滴静注用	乳癌	
16	日本臨床腫瘍学会特定非営利活動法人 日本食道学会	パクリタキセル	タキソール注射液	食道癌	
17	日本小児血液学会 日本小児がん学会	イソトレチノイン	Accutane	神経芽腫	○
18	日本小児血液学会 日本小児がん学会	イホスファミド	注射用イホマイド	小児悪性リンパ腫	○
19	日本小児血液学会 日本小児がん学会	テモゾロミド	テモダールカプセル	悪性神経膠腫の小児適応の追加	○
20	社団法人 日本耳鼻咽喉科学会 日本口腔外科学会 日本臨床腫瘍学会	セツキシマブ	アービタックス注射液	局所進行及び再発・転移性頭頸部扁平上皮癌	
21	社団法人 日本耳鼻咽喉科学会 日本臨床腫瘍学会	パクリタキセル	タキソール注射液	頭頸部癌	
22	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 卵巣がん体験者の会スマイリー	エトポシド	ベプシド(ブリistol・マイヤーズ)、ラステットS(日本化薬)	初回化学療法が無効であった卵巣癌	
23	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会	カルボプラチン	パラプラチン注射液	子宮体癌	
24	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 卵巣がん体験者の会スマイリー	シスプラチン、カルボプラチン、パクリタキセルの併用の腹腔内投与	ブリプラチン注(ブリistol)、ランダ注(日本化薬)他	卵巣癌の腹腔内投与の新投与経路追加(シスプラチン・パクリタキセル・カルボプラチンの併用投与)	
25	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会	テガフル・ギメラシル・オテラシルカリウム配合剤	ティーエスワン配合カプセル	子宮頸癌	
26	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会 日本臨床腫瘍学会 卵巣がん体験者の会スマイリー	ノギテカン	ハイカムチン注射用	再発卵巣癌	
27	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会	ノギテカン	ハイカムチン注射用	子宮頸癌	
28	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会	パクリタキセル	タキソール注射液	子宮頸癌	
29	日本臨床腫瘍学会	イマチニブ	グリベック錠	慢性好酸球性白血病(CEL)/好酸球増多症候群	
30	日本臨床腫瘍学会 卵巣がん体験者の会スマイリー	ゲムシタピン塩酸塩	ジェムザール注射用	卵巣癌	
31	日本臨床腫瘍学会	ゴセレリン酢酸塩	ゾラデックスLA 10.8 mgデポ	閉経前乳癌	
32	日本臨床腫瘍学会	ドセタキセル	タキソテール点滴静注用	局所進行頭頸部扁平上皮癌患者に対する導入化学療法としてタキソテールとシスプラチン、フルオロウラシルの併用、乳癌の用法用量の75mg/m <sup>2</sup> への	
33	日本臨床腫瘍学会 特定非営利活動法人 婦人科悪性腫瘍 化学療法研究機構 卵巣がん体験者の会スマイリー	パクリタキセル	タキソール注射液	卵巣癌の毎週1回投与	
34	個人	タミバロテン	アムノレイク錠	成人T細胞白血病	
35	東北大学病院・腫瘍内科 東北大学加齢医学研究所・癌化学療法 研究分野	カルボプラチン	パラプラチン注射液	原発不明癌	
36	東北大学病院・腫瘍内科および東北大学 加齢医学研究所・癌化学療法研究分野	ニムスチン	ニドラン	悪性黒色腫	
37	東北大学病院・腫瘍内科および東北大学 加齢医学研究所・癌化学療法研究分野	パクリタキセル	タキソール注射液	原発不明癌	
38	東北大学病院・腫瘍内科および東北大学 加齢医学研究所・癌化学療法研究分野	ビンクリスチン	オンコピン	悪性黒色腫	
39	個人	インターフェロンα	インターフェロンα :スミフェロン注バイアル、スミフェロン注DS(大日本住友)、オーアイエフ(大塚) インターフェロンα -2b: イントロンA(シェリング・プラウ) ペグインターフェロンα -2a: ペガシス(中外) ペグインターフェロンα -2b: ペグイントロン(シエ	真性多血症(PV)及び本態性血小板血症(ET)	
40	厚生労働科学研究費補助金 難治性疾患克服研究事業「わが国における多発性内分泌腫瘍症の診療実態把握とエビデンスに基づく診療指針の作成」研究班	オクトレオチド酢酸塩	サンドスタチンLAR筋注用	1. カルチノイド腫瘍のうち、無症候性かつ切除不能な転移性腫瘍 2. グルカゴノーマ(グルカゴン産生腫瘍) 3. インスリノーマ(インスリン産生腫瘍)	
41	個人	ダカルバシン	ダカルバシン注用100	根治切除不能のカルチノイド腫瘍・内分泌癌	
42	個人	レノグラスチム	ノイトロジン	乳癌(根治的手術との併用)への予防投与	
43	個人	フィルグラスチム	グラン	乳癌(根治的手術との併用)への予防投与	
44	個人	ナルトグラスチム	ノリアップ	乳癌(根治的手術との併用)への予防投与	

45	個人	エトポシド	ベプシド(プリストル・マイヤーズ)、ラステットS(日本化薬)	原発性悪性脳腫瘍に対する他の抗悪性腫瘍剤(カルボプラチン)との併用療法	
46	個人	カルボプラチン	パラプラチン注射液	原発性悪性脳腫瘍に対する他の抗悪性腫瘍剤(エトポシド)との併用療法	
47	特定非営利活動法人パンキャンジヤパン	エルロチニブ	タルセバ	局所進行膵臓癌、転移性膵臓癌	
48	日本骨髄腫患者の会	ドキシソルビシン塩酸塩リポソーム注射	ドキシル	多発性骨髄腫	
49	卵巣がん体験者の会スマイリー	エポエチンベータ(遺伝子組換え)	NeoRecormon®(エポエチンベータ)	がん化学療法施行に伴う貧血(進行癌もしくは再発した非骨髄性悪性腫瘍患者)	
50	卵巣がん体験者の会スマイリー	ダルベポエチンアルファ(遺伝子組換え)	Aranesp®(ダルベポエチンアルファ)	がん化学療法施行に伴う貧血(進行癌もしくは再発した非骨髄性悪性腫瘍患者)	
51	卵巣がん体験者の会スマイリー	ベバシズマブ	アバスチン点滴静注用	卵巣癌	
52	個人	シスプラチン	プリプラチン注(プリストル)、ランダ注(日本化薬)他	乳癌	
53	個人	セツキシマブ	アービタックス注射液	治癒切除不能な進行性・再発乳癌	
54	特定非営利活動法人(NPO法人)グループ・ネクサス	ボルテゾミブ	ベルケイド	1. 低悪性度非ホジキンリンパ腫、マントル細胞リンパ腫、2. 多発性骨髄腫、3. 慢性リンパ性白血病	
55	個人(2名)	ラパチニブ	タイケルブ錠	乳癌の用法・用量の追加: 1. 単剤療法の追加 2. 現在承認されているカペシタビン併用療法以外との併用療法の追加(2-1. トラスツズマブ併用、2-2. ホルモン併用、2-3. タキサン系併用)	
56	個人	アナストロゾール	アリミデックス	閉経前乳癌	
57	個人	エキセメスタン	アロマシン	閉経前乳癌	
58	個人	レトロゾール	フェマーラ	閉経前乳癌	
59	個人(2名)	ドキシソルビシン塩酸塩リポソーム注射	ドキシル	乳癌	
60	個人	オキサリプラチン	Eloxatin(米国、仏国、英国、独国) エルプラット(日本)	乳癌	
61	個人(2名)	ベバシズマブ	アバスチン点滴静注用	子宮頸癌	

6. 生物WG  
○血液製剤分野  
未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本小児感染症学会	人免疫グロブリンG	ヴィヴァグロビン (VivagloBin)	原発性免疫不全症(PID)	○

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本産婦人科・新生児血液学会	エプタコグ アルファ (活性型)(遺伝子組換え)	注射用ノボセブン ノボセブンHI静注用	産科危機的出血の抑制	
2	一般社団法人日本脳卒中学会 日本循環器学会	乾燥人凝固第Ⅸ因子複合体	PPSB-HT静注用「ニチヤク」	ワルファリン療法中の重篤な出血時や緊急手術が求められる場合でワルファリン効果の是正が必要と判断される場合	
3	日本血栓止血学会	エプタコグ アルファ(活性型)(遺伝子組換え)	注射用ノボセブン ノボセブンHI静注用	軽度から中等度の出血の場合に270μ g/kgを単回投与の用量追加	
4	日本小児血液学会 日本小児がん学会	エプタコグ アルファ(活性型)(遺伝子組換え)	注射用ノボセブン ノボセブンHI静注用	血小板膜蛋白GP IIb-IIIa 或いは HLAに対して抗体を保有するため、血小板輸血に対する治療効果が見込めないグラントマン血小板無力症患者の出血	○

○ワクチン分野  
未承認薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本渡航医学会 日本小児感染症学会 社団法人日本感染症学会	チフス菌Vi多糖体抗原ワクチン	Typhim Vi	成人及び2歳以上の小児の腸チフスの感染予防	○
2	社団法人日本感染症学会 日本渡航医学会 日本小児感染症学会	髄膜炎菌(グループA、C、Y and W-135)多糖体ジフテリアトキソイド結合	Menactra	N. meningitidis serogroups A、C、Y and W-135 による侵襲性の髄膜炎菌感染症の予防(2歳から55歳)	○
3	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会 個人	子宮頸癌ワクチン	ガーダシル	HPV-16,18による子宮頸癌、外陰癌、陰癌、HPV-6,-11による尖圭コンジローマ、HPV-6,-11,-16,-18による感染予防、及びこれらによる子宮頸部上皮腫瘍グレード1,2,3、子宮頸部上皮内腺癌、外陰上皮内腫瘍グレード1,2,3、腭上皮内腫瘍グレード1,2,3の発	○

適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	小児に関係
1	日本渡航医学会 厚生労働省科学研究補助金 肝炎等克服緊急対策研究事業「経口感染する肝炎ウイルス(A型、E型)の感染防止、遺伝的多様性、および治療に関する研究班	不活化A型肝炎ワクチン	エイムゲン	A型肝炎の予防の16歳未満の小児適応の追加	○

(参考)開発の要望の受付以後、平成22年2月1日までに承認された未承認薬・適応外薬

No.	提出者	成分名	販売名	要望内容(効能効果等の概略)	承認日
1	日本産科婦人科学会 日本婦人科腫瘍学会 個人	子宮頸癌ワクチン	サーバリックス	ヒトパピローマウイルス(HPV)16型及び18型感染に起因する子宮頸癌(扁平上皮細胞癌、腺癌)及びその前駆病変(子宮頸部上皮内腫瘍(CIN)2及び3)の予防	平成21年10月16日
2	細菌性髄膜炎から子どもたちを守る会	肺炎球菌ワクチン	プレベナー	肺炎球菌(血清型4、6B、9V、14、18C、19F及び23F)による侵襲性感染症の予防	平成21年10月16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 開発企業の募集又は開発要請を行った医薬品のリスト

(募集又は要請日:平成22年5月21日)

### 1. 企業に開発の要請を行った医薬品

No.	医薬品名	対象疾病	企業名	未承認薬/ 適応外薬/ 剤形追加
1	3-ヨードベンジルグアニジン (123I)	褐色細胞腫の診断	富士フイルムRIファーマ(株)	適応外薬
2	5-アミノレブリン酸塩酸塩	悪性神経膠腫(WHOグレードⅢ及びⅣ)に対する手術における悪性組織の視覚化	ノーベルファーマ(株)	未承認薬
3	A型ボツリヌス毒素	腋窩多汗症	グラクソ・スミスクライン(株)	適応外薬
4	Ca-DTPA	放射性金属(アメリシウム、プルトニウム、キュリウム、カリホルニウム、バークリウム)中毒の長期治療 プルトニウム、アメリシウム、キュリウム体内汚染が判明した、またはその疑いのある患者の汚染物質の排泄の促進	日本メジフィジックス(株)	未承認薬
5	Ioflupane I123 Injection	臨床的に診断が確定しないパーキンソン症候群(PS)患者において、特発性パーキンソン病に関連するPS、多系統萎縮症、及び進行性核上麻痺と本態性振戦(ET)の鑑別診断	日本メジフィジックス(株)	未承認薬
6	Zn-DTPA	放射性金属(アメリシウム、プルトニウム、キュリウム、カリホルニウム、バークリウム)中毒の長期治療 プルトニウム、アメリシウム、キュリウム体内汚染が判明した、またはその疑いのある患者の汚染物質の排泄の促進	日本メジフィジックス(株)	未承認薬
7	アカンプロセート	アルコール依存症患者における抗酒療法	日本新薬(株)	未承認薬
8	アザチジン	骨髄異形成症候群	日本新薬(株)	未承認薬
9	アザチオプリン	ステロイド治療抵抗性全身性エリテマトーデス	グラクソ・スミスクライン(株) 田辺三菱製薬(株)	適応外薬
10	アザチオプリン	顕微鏡的多発血管炎及びWegener肉芽腫症	グラクソ・スミスクライン(株) 田辺三菱製薬(株)	適応外薬
11	アトバコン	ニューモシスチス肺炎の治療、予防	グラクソ・スミスクライン(株)	未承認薬
12	アトモキセチン塩酸塩	成人期(18歳以上)における注意欠陥/多動性障害(AD/HD)	日本イーライリリー(株)	適応外薬
13	アナグレリド	本態性血小板血症(ET)の治療	シャイアー日本代表事務所	未承認薬
14	アミオダロン	心不全を伴う心房細動の洞調律化と洞調律維持	サノフィ・アベンティス(株)	適応外薬
15	アムロジピン ベシル酸	小児高血圧症	大日本住友製薬(株) ファイザー(株)	適応外薬
16	イロプロスト	肺動脈性肺高血圧症	バイエル薬品(株)	未承認薬
17	インジウム(111In)ペンテトレオチド	シンチグラフィによるソマトスタチン受容体を有する原発性及び転移性の神経内分泌腫瘍の診断	コヴィディエン ジャパン(株)	未承認薬

No.	医薬品名	対象疾病	企業名	未承認薬/ 適応外薬/ 剤形追加
18	インターフェロン $\alpha$ -2b	悪性黒色腫	シュERING・ブラウ(株)	適応外薬
19	インドシアニングリーン	脳主幹動脈の血流状態観察(赤外線照射時の蛍光測定による)	第一三共(株)	適応外薬
20	エタンブトール塩酸塩	非結核性抗酸菌および非結核性抗酸菌症	科研製薬(株)サンド(株)	適応外薬
21	エナラプリル マレイン酸塩	小児高血圧	萬有製薬(株)	適応外薬
22	エプタコグ アルファ(活性型) (遺伝子組換え)	血小板膜蛋白GP IIb-IIIa 或いは HLAI に対して抗体を保有するため、血小板輸血に対する治療効果が見込めないグラントマン血小板無力症患者の出血抑制	ノボ ノルディスク ファーマ(株)	適応外薬
23	エプレレノン	心筋梗塞後の心不全	ファイザー(株)	適応外薬
24	エルロチニブ	局所進行膵臓癌、転移性膵臓癌	中外製薬(株)	適応外薬
25	オクスカルバゼピン	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない小児の部分発作の併用療法	ノバルティス ファーマ(株)	未承認薬
26	カナキヌマブ	クリオピリン関連周期熱症候群(cryopyrin-associated periodic syndrome、CAPS)の中の、家族性寒冷蕁麻疹症(familial cold autoinflammatory syndrome、FCAS)および Muckle-Wells 症候群(MWS)の炎症症状の軽減	ノバルティス ファーマ(株)	未承認薬
27	ガバペンチン	てんかん部分発作の小児適応の追加	ファイザー(株)	適応外薬
28	カフェインクエン酸塩	早産児無呼吸発作(在胎28~34週)の短期治療	日本ベーリンガー・インゲルハイム(株)	未承認薬
29	カペシタビン	切除不能進行・再発胃癌	中外製薬(株)	適応外薬
30	ガラントミン	軽度から中等度のアルツハイマー型認知症	ヤンセンファーマ(株)	未承認薬
31	カルムスチン脳内留置用製剤	悪性神経膠腫	ノーベルファーマ(株)	未承認薬
32	グラチラマー酢酸塩	多発性硬化症の再発予防	テバ・ファーマスーティカル(株)	未承認薬
33	経口リン酸塩製剤	原発性低リン血症性クル病、Fanconi症候群、低リン血症	ゼリア新薬工業(株)	未承認薬
34	ゲムシタビン塩酸塩	卵巣癌	日本イーライリリー(株)	適応外薬
35	抗D(Rho)人免疫グロブリン	Rh(D)陰性の妊婦及び女性に対し、以下の場合に投与することにより、母体血液中での抗D(Rho)抗体の産生を抑制し、血液型不適合の成立を抑制。 ・妊娠 28 週前後 ・検査・処置後(羊水検査、臍帯血検査、児頭外回転の実施) ・流産後、子宮外妊娠後、子宮内胎児死亡後	日本製薬(株)ベネシス(株)	適応外薬
36	サリドマイド	らい性結節性紅斑(ENL)	藤本製薬(株)	適応外薬
37	シクロホスファミド経口剤・静注剤	全身性血管炎の寛解導入効果	塩野義製薬(株)	適応外薬
38	シクロホスファミド経口剤・静注剤	全身性エリテマトーデスの難治性病態の寛解導入効果	塩野義製薬(株)	適応外薬
39	シクロホスファミド静注剤	多発性血管炎、Wegener肉芽腫症	塩野義製薬(株)	適応外薬
40	システアミン	システノーシス(シスチン蓄積症)	マイラン製薬(株)	未承認薬
41	髄膜炎菌(グループA、C、Y and W-135)多糖体ジフテリアトキソイド結合体	N. meningitidis serogroups A、C、Y and W-135 による侵襲性の髄膜炎菌感染症の予防(2歳から55歳)	サノフィ・アベンティス(株)	未承認薬

No.	医薬品名	対象疾病	企業名	未承認薬/ 適応外薬/ 剤形追加
42	スチリペントール	乳児重症ミオクロニーてんかん	明治製菓(株)	未承認薬
43	ストレプトゾシン	転移を有する悪性膵内分泌腫瘍・神経内分泌腫瘍・カルチノイド腫瘍	ノーベルファーマ(株)	未承認薬
44	セツキシマブ	局所進行及び再発・転移性頭頸部扁平上皮癌	メルクセローノ(株)	適応外薬
45	タルク	悪性胸水の再貯留抑制	ノーベルファーマ(株)	未承認薬
46	チフス菌Vi多糖体抗原ワクチン	成人及び2歳以上の小児の腸チフスの感染予防	サノフィ・アベンティス(株)	未承認薬
47	デスマプレシン酢酸塩経口剤	経口剤の剤形追加、中枢性尿崩症	フェリング・ファーマ(株)	適応外薬
48	デニロイキン ディフティトックス	悪性細胞がインターロイキン2受容体の構成要素CD25を発現している、持続性もしくは再発性の皮膚T細胞リンパ腫	TSD Japan(株)	未承認薬
49	ドキシソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤	多発性骨髄腫	ヤンセンファーマ(株)	適応外薬
50	ドセタキセル	局所進行頭頸部扁平上皮癌患者に対する導入化学療法としてタキソテールとシスプラチン、フルオロウラシルの併用、乳癌の用法用量の75mg/m <sup>2</sup> への増大	サノフィ・アベンティス(株)	適応外薬
51	トピラマート	2-16歳の小児における部分発作に対する併用療法	協和発酵キリン(株)	適応外薬
52	トブラマイシン	吸入用製剤の剤形追加 膵嚢胞線維症患者の緑膿菌気道感染症の治療	ノバルティス ファーマ(株)	剤形追加
53	トラマドール塩酸塩	経口剤の剤形追加、線維筋痛症	日本新薬(株)	適応外薬
54	トラマドール塩酸塩	経口徐放剤の剤形追加、慢性疼痛	日本臓器製薬(株)	適応外薬
55	ドルナーゼ アルファ	膵嚢胞線維症患者の喀痰排泄促進作用および呼吸機能の改善	中外製薬(株)	適応外薬
56	トルバプタン	心性浮腫	大塚製薬(株)	未承認薬
57	トレプロスチニル	肺動脈性肺高血圧症	持田製薬(株)	未承認薬
58	ナタリズマブ	多発性硬化症	バイオジェン・アイデック・ジャパン	未承認薬
59	ノギテカン	再発卵巣癌	日本化薬(株)	適応外薬
60	バルサルタン	6~16歳の小児高血圧症 ※「細粒やシロップなどの小児用製剤の追加」については、ノバルティス ファーマ(株)からの特段の意見により開発要請を保留している。	ノバルティス ファーマ(株)	適応外薬
61	バルプロ酸ナトリウム	片頭痛の予防	協和発酵キリン(株)	適応外薬
62	パンクレアチン	膵嚢胞線維症患者の脂肪吸収および栄養状態の改善	アボット製薬(株)	未承認薬

No.	医薬品名	対象疾病	企業名	未承認薬/ 適応外薬/ 剤形追加
63	ビソプロロール fumarate 塩	慢性心不全	田辺三菱製薬(株)	適応外薬
64	ヒトチロトロピンアルファ	分化型甲状腺癌で甲状腺全摘または準全摘を施行された患者における残存甲状腺組織の放射性ヨウ素によるアブレーション(甲状腺機能廃絶)を受ける際の補助	佐藤製薬(株)	適応外薬
65	人免疫グロブリンG	以下のような、原発性免疫不全症候群(PID)の成人及び小児患者における抗体補充療法: ・先天性無ガンマグロブリン血症及び低ガンマグロブリン血症 ・分類不能型免疫不全症 ・重症複合免疫不全症 ・反復感染を伴うIgG サブクラス欠乏症 重症な続発性低ガンマグロブリン血症及び反復感染を呈する骨髄腫又は慢性リンパ性白血病における抗体補充療法  原発性免疫不全症(PID)	CSLベーリング(株)	未承認薬
66	ビンブラスチン硫酸塩	ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)	日本化薬(株)	適応外薬
67	フルコナゾール経口剤・静注剤	小児用経口混濁液の剤形追加 小児の用法・用量の追加	ファイザー(株)	剤形追加
68	フルベストラント	閉経後進行・再発乳癌	アストラゼネカ(株)	未承認薬
69	プレガバリン	歯科治療後神経因性疼痛	ファイザー(株)	未承認薬
70	プロプラノロール塩酸塩	片頭痛における頭痛発作の予防	大日本住友製薬(株)	適応外薬
71	ベバシズマブ	転移性乳癌	中外製薬(株)	適応外薬
72	ベラパミル塩酸塩	上室性の頻脈性不整脈の小児適応の追加	エーザイ(株)	適応外薬
73	ホスフェニトインナトリウム水和物	てんかん重積状態、脳外科手術前・術中・術後及び頭部外傷後にけいれん発作の出現が濃厚に疑われる場合、並びに経口フェニトイン製剤の投与が不可能又は不適切な場合の代替	ノーベルファーマ(株)	未承認薬
74	ポリコナゾール	小児の用法・用量の追加	ファイザー(株)	適応外薬
75	ポリノスタット	皮膚T細胞リンパ腫	萬有製薬(株)	未承認薬
76	ボルテゾミブ	マンテル細胞リンパ腫	ヤンセンファーマ(株)	
77	ミグルスタット	小児例から成人例のNiemann-Pick病C型(ニーマン・ピック病C型)及び酵素補充療法が有効ではないまたは継続できない成人のGaucher病I型(ゴーシェ病I型)	アクテリオンファーマシューティカルズジャパン(株)	未承認薬

No.	医薬品名	対象疾病	企業名	未承認薬/ 適応外薬/ 剤形追加
78	メチルプレドニゾンコハク酸 エステルナトリウム	ネフローゼ症候群	ファイザー(株)	適応外薬
79	メロニダゾール経口剤	嫌気性菌、アメーバ赤痢、ランブル鞭毛虫感染症 ※「クロストリディウム・ディフィシル関連腸炎」については、塩野義製薬(株)からの特段の意見により開発要請を保留している。	塩野義製薬(株)	適応外薬
80	メロニダゾール経口剤、経腔 剤	流産・早産、産褥子宮内膜炎、帝王切開後感染症 の原因となる細菌性膣症の治療	塩野義製薬(株)	適応外薬
81	メナテトレン	新生児・乳児ビタミンK欠乏性出血症に対する予防	サンノーバ(株)	適応外薬
82	メマンチン	中等度から高度のアルツハイマー型認知症	第一三共(株)	未承認薬
83	リシノプリル	6-16歳の小児高血圧症	アストラゼネカ(株)塩野義製薬(株)	適応外薬
84	リバステグミン	軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症	ノバルティス ファーマ(株)	未承認薬
85	リファンピシン	非結核性抗酸菌および非結核性抗酸菌症	サンド(株)第一三共(株)	適応外薬
86	リユープロレリン酢酸塩	中枢性思春期早発症、最大投与量を90 $\mu$ g/kg/4 週から180 $\mu$ g/kg/4週に変更する(皮下投与)	武田薬品工業(株)	適応外薬
87	ルフィナマイド	レノックス・ガストー症候群(4歳以上)に伴う発作に 対する併用療法	エーザイ(株)	未承認薬
88	レナリドミド	5q欠損染色体異常を伴う低または中等度リスク骨 髄異形成症候群	セルジーン(株)	未承認薬
89	レベチラセタム	①4歳児以上の小児てんかん患者における部分発 作に対する併用療法 ②6歳以上の特発性全般てんかん患者における強 直間代発作に対する併用療法	ユーシービージャパン(株)	未承認薬
90	レボカルニチン塩化物	液剤の剤形追加、錠剤・液剤での一次性カルニチ ン欠乏症およびその他の二次性カルニチン欠乏症 ※ 注射剤の剤形追加については、開発企業の募 集対象であるが、大塚製薬(株)から開発の申し出 があった。	大塚製薬(株)	剤形追加
91	ワルファリンカリウム	小児適応の追加	エーザイ(株)	適応外薬

## 2. 開発企業を募集する医薬品

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	未承認薬/ 適応外薬/ 剤形追加
1	亜セレン酸ナトリウム	セレン欠乏症により生じる重篤な視力障害、神経 障害、心筋障害、毛髪変化の改善		未承認薬
2	アルデスロイキン	悪性黒色腫		未承認薬

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	未承認薬/ 適応外薬/ 剤形追加
3	安息香酸ナトリウム・フェニル酢酸ナトリウム配合剤	尿素サイクル異常症患者における急性発作時の血中アンモニア濃度の低下		未承認薬
4	カルグルミック酸	N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症		未承認薬
5	コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	吸入用製剤の剤形追加、腭嚢胞線維症の気道感染症		剤形追加
6	デクスラゾキサソ	アントラサイクリン系薬剤静脈内投与による血管外漏出		未承認薬
7	デキサメタゾン	4mg錠の剤形追加、抗悪性腫瘍剤(シスプラチンなど)投与に伴う消化器症状(悪心・嘔吐)		剤形追加
8	ニチシノン	チロシン血症 I 型		未承認薬
9	ホメピゾール	エチレングリコール中毒、及びメタノール中毒の治療		未承認薬
10	メチレンブルー	薬剤性のメトヘモグロビン血症		未承認薬
11	メトロニダゾール	静注剤の剤形追加、嫌気性菌感染症、アメーバ赤痢		剤形追加
12	リロナセプト	12歳以上のクリオピリン関連周期熱症候群(cryopyrin-associated periodic syndrome、CAPS)の中の、家族性寒冷蕁麻疹症(familial cold autoinflammatory syndrome、FCAS)およびMuckle-Wells 症候群(MWS)における炎症症状の軽減		未承認薬
13	コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	注射剤の剤形追加 <適応菌種> 多剤耐性緑膿菌(MDRP)、多剤耐性アシネトバクター属、その他の多剤耐性グラム陰性菌 <適応症> 多剤耐性グラム陰性菌による各種感染症	あり(グラクソ・スミスクライン(株))	剤形追加
14	フェニル酪酸ナトリウム	尿素サイクル異常症	あり(企業名未公表)	未承認薬
15	プロゲステロン	経腔剤の剤形追加、体外受精-胚移植(IVF-ET)の際の黄体補充	あり(富士製薬工業(株))	剤形追加
16	プロゲステロン	経口剤の剤形追加、子宮非摘出閉経女性におけるホルモン補充療法(HRT)の補助	あり(富士製薬工業(株))	剤形追加
17	ベタイン	ホモシチン尿症	あり(企業名未公表)	未承認薬

エノキサパリンナトリウムの「急性冠症候群におけるPCI施行時に使用」については、サノフィアベンティス(株)からの特段の意見<sup>※</sup>の提出により、開発の要請を保留。

※ 特段の意見:

海外とわが国の間での医療環境の違い等の状況から、開発を進めて承認を受けたとしても、その意義が乏しいとする意見に限る。

この場合、企業はそう判断する十分な根拠を付して意見を提出することとし、事務局は、この意見について関係学会の見解を求めることとする。両者の見解をもとに、検討会議で開発要請の妥当性を判断する。

## 平成22年度薬価制度改革の骨子

〔平成21年12月22日〕  
中央社会保険医療協議会了解

### 第1 基本的考え方

平成20年度薬価制度改革と同様、特許期間中の革新的新薬の適切な評価に重点を置き、特許の切れた新薬については、後発医薬品への置き換えが着実に進むような薬価制度としていくこととする。

具体的には、新規収載医薬品及び既収載医薬品に係る現行の薬価算定方式を基本とし、これまで薬価専門部会で審議してきた以下の点等を踏まえ、平成22年度薬価制度改革を行うこととする。

### 第2 具体的内容

#### I 既収載医薬品の薬価改定

##### 1. 特許期間中又は再審査期間中の新薬の薬価改定

現行の薬価改定ルールの下では、市場実勢価格に基づき2年ごとにほぼ全ての新薬の薬価が下がる仕組みとなっているため、製薬企業にとっては開発コスト等の回収に時間がかかり、結果的に革新的な新薬の創出や適応外薬の問題などへの対応が遅れ、「ドラッグ・ラグ」の問題に繋がっているとの指摘がある。

このような状況にかんがみ、喫緊の課題となっている適応外薬等の問題の解消を促進させるとともに、革新的な新薬の創出を加速させることを目的に、後発医薬品が上市されていない新薬のうちその乖離率が全既収載医薬品の加重平均乖離率の範囲内の新薬について、「市場実勢価格加重平均値+調整幅2%で算定される薬価」（以下「市場実勢価格に基づく算定値」という。）に対して、「加重平均乖離率-2%」×0.8を加算（以下「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」という。）することとする。なお、改定前薬価を上限とする。

また、具体的な実施方法は別紙のとおりとする。

##### 2. 再算定

- (1) 現行ルールでは、市場拡大再算定に当たって、対象品について市販後のデータにより真の臨床的有用性が検証されている場合には、類似品の臨床試験結果の有無や内容にかかわらず、全ての類似品について対象品と同率の補正加算を適用して引下げ率を緩和している。

しかし、対象品及び類似品についての真の臨床的有用性の評価は、各企業がそれぞれ独自に行った市販後臨床試験等の結果によって異なることから、対象品の補正加算率をそのまま全ての類似薬に対して適用するのではなく、個別の医薬品ごとにデータを評価して補正加算の適用の可否及び加算率を判断することとする。

- (2) 現行ルールでは、承認後、主たる効能及び効果に係る用法又は用量に変更があった医薬品については、変更後の1日薬価を変更前の1日薬価に合わせる再算定を行うこととしている。

しかし、副作用の問題から主たる効能及び効果の1日用量が減量となった医薬品の中には、それ以前から実質的な1日用量が減量となっている場合があることから、そのような場合には、当該再算定を適用しないこととする。

- (3) 現行ルールでは、不採算品再算定は、同一成分、同一剤形、同一規格の先発医薬品を含む全ての品目が不採算のため製造販売を継続することが困難となった場合に適用することとしている。

しかしながら、一般的に、後発医薬品は先発医薬品に比べ薬価改定時の下落率が大きいことから、累次の改定によりその薬価が大きく下がり、全ての後発医薬品が不採算となって販売中止となる場合がある。

このような場合、これまで当該後発医薬品を使用していた患者が継続して後発医薬品を使うことができなくなることから、先発医薬品が不採算ではなくても、成分が同一の後発医薬品が全て不採算のため供給困難な状況になった場合には、後発医薬品のみに対して不採算品再算定を適用することとする。

### 3. その他

- (1) 平成20年4月以降、小児適応又は希少疾病の効能追加又は用法・用量追加を行った場合や、市販後に当該医薬品の真の臨床的有用性を検証したデータが公表された場合には、市場実勢価格に基づく算定値に加算することとなっている。（「平成20年度薬価制度改革の骨子」（平成19年12月14日中医協了解））

当該加算の根拠となるデータや薬事承認の形態として、大学等の研究機関で独自に真の臨床的有用性のデータを検証した場合や、公知申請のように臨床試験を行わず、既存の文献等を使って承認を取得した場合などがあることから、これらのように当該企業の負担が相当程度低いと思われる事例については、加算の対象外とする。



なお、当該加算対象品目が他の加算も同時に対象となる場合(例えば、小児適応の効能追加を行った品目が希少疾病用の効能追加も行っている場合)は、市場実勢価格に基づく算定値に当該加算を行った額と他の加算を行った額のいずれか高い方を薬価とする(併算定不可)。

- (2) 最低薬価(見なし最低薬価を含む。)が適用されている品目の中には乖離率が大きなものも含まれていることから、その市場実勢価格を考慮して最低薬価を見直すこととする。

具体的には、乖離率が全既収載医薬品の加重平均乖離率を超える剤形区分の最低薬価については、加重平均乖離率を超える部分の率を引き下げることとする。

## Ⅱ 新規収載医薬品の薬価算定

### 1. 類似薬効比較方式

- (1) 抗菌薬のように、医療上の必要性から既収載品の用法・用量を変更した新薬については、補正加算の有無にかかわらず、「類似薬効比較方式(Ⅰ)」により、最類似薬である同一成分の既収載品を比較薬として算定することとする。

ただし、ビスホスホネート系骨粗鬆症用薬のように、1日当たりの投与量が同一であり7日分で7倍の有効成分を含む製剤の場合など、規格間調整による算定が適切な場合を除くこととする。

### 2. 外国平均価格

1ヶ国の外国価格が外国平均価格を大きく引き上げる場合があることにかんがみ、平成18年度薬価制度改革以降、米英独仏国のうち2ヶ国以上のリスト価格があり、そのうち最高の価格が最低の価格に比べて5倍を上回る場合は、当該最高価格を除いた外国平均価格を採用している。

しかしながら、未だ1ヶ国の外国価格が外国平均価格に大きな影響を与えている事例があることから、上記ルールを残しつつ、3ヶ国以上のリスト価格があっても上記ルールの最高価格の除外が適用されない場合であっても、最高価格が「当該最高価格を除いた平均価格」の2倍を超える場合には、最高価格を当該平均価格の2倍とみなして外国平均価格を算出することとする。

### 3. その他

- (1) 配合剤の薬価算定について、製造経費、流通経費等の節減が見込めるため、下記条件の全てに該当する配合剤については、「配合成分の既収載品の薬価」の合計の0.8倍の価格を基本として算定し、補正加算の要件を満たす場合には当該補正加算を適用することとする。
- i) 全ての配合成分が単剤として薬価基準に収載されていること
  - ii) 既収載品と同様の効能効果を有すること
  - iii) 既収載品と投与経路が同一であること
  - iv) 内用の配合剤であること

ただし、この場合、以下のとおりとする。

- 1) 配合剤たる新薬の薬価は、各配合成分の既収載品の薬価を下回らないものとする。
- 2) 算定に用いる「配合成分の既収載品の薬価」は、配合剤たる新薬と同一企業の既収載品(以下「自社品」という。)がある場合には自社品の薬価とし、自社品がない場合には、他社の後発医薬品のうち最低の薬価とする。

また、成分によって自社品と他社品が混在する場合、配合剤たる新薬の薬価は以下のいずれか低い額とする。

- ① 「自社品の薬価」と「他社の先発医薬品の薬価」の合計の0.8倍
  - ② 「自社品の薬価の0.8倍」と「他社の後発医薬品のうち最低の薬価」の合計
- 3) 抗 HIV 薬については、米英独仏国では単剤の合計価格と配合剤の価格がほぼ同額であることを考慮し、上記ルールの対象外とする。

- (2) 成人対象の「同一成分・同一投与形態で効能・効果が異なる既収載品がある新薬」の薬価算定については、類似薬がある場合であっても、原価計算方式により算定することとし、類似薬効比較方式による算定値(補正加算の要件を満たす場合には当該補正加算適用後の算定値)を上限とすることとする。

- (3) 通常の後発医薬品では、健康成人を対象に、先発医薬品との同等性を確認する臨床試験が行われるのに対し、バイオ後続品の場合には、健康成人を対象とした臨床試験だけではなく、患者を対象とした臨床試験も実施し、先行バイオ医薬品との同等性/同質性を確認する必要がある。

このような相違にかんがみて、バイオ後続品の薬価算定に当たっては、先行バイオ医薬品の0.7倍を基本に、患者を対象とした臨床試験の充実度に応じて、10%を上限として加算することとする。

## 新薬創出・適応外薬解消等促進加算の実施方法

### 1. 目的

現行の薬価改定ルールの下では、市場実勢価格に基づき2年ごとにほぼ全ての新薬の薬価が下がる仕組みとなっているため、製薬企業にとっては開発コスト等の回収に時間がかかり、結果的に革新的な新薬の創出や適応外薬の問題などへの対応が遅れ、「ドラッグ・ラグ」の問題に繋がっているとの指摘がある。

このような状況にかんがみ、後発医薬品が上市されていない新薬のうち一定の要件を満たすものについて、後発医薬品が上市されるまでの間、市場実勢価格に基づく薬価の引下げを一時的に緩和することにより、喫緊の課題となっている適応外薬等の問題の解消を促進させるとともに、革新的な新薬の創出を加速させる。

### 2. 具体的な仕組み

#### (1) 当該加算対象となる新薬の範囲

以下の①及び②の要件に該当するもの。ただし、本文「第2 II 3. その他 (1)」で算定される配合剤又はそれに相当する既収載配合剤であって、薬価収載時に補正加算が適用されなかったもののうち、薬価収載後15年を超えた成分又は後発医薬品が上市されている成分を含むものは除く。

- ① 後発医薬品が上市されていない新薬（ただし、薬価収載後15年まで）
- ② 市場実勢価格の薬価に対する乖離率が、全既収載医薬品の加重平均乖離率を超えないもの

#### (2) 当該加算の具体的内容

- 1) 薬価改定時に、上記(1)に該当する新薬については、市場実勢価格に基づく算定値に対して、「加重平均乖離率－2%」×0.8を加算する。なお、改定前薬価を上限とする。
- 2) ただし、有識者会議（仮称）による評価結果等を踏まえ、次回の薬価改定時まで、当該加算対象品目を有する企業について、要請を受けた適応外薬等の品目の開発・上市状況を確認し、以下の場合には、当該企業の全ての新薬に対

して加算を適用しない。

- ① 公知申請が行える場合で、特段の合理的な理由<sup>※)</sup>がなく、有識者会議からの開発要請より半年以内に薬事承認申請を行わなかった場合
- ② 開発に当たって治験が必要な場合で、特段の合理的な理由<sup>※)</sup>がなく、有識者会議からの開発要請より1年以内に治験に着手しなかった場合

※)多数の品目の開発要請を同時期に受けていることを基本とするが、なおその場合であっても、所定の期限内に、相当程度の品目について承認申請を行うか、治験に着手していなければ「特段の合理的な理由」として認めないものとする。

### (3) 加算対象となる期間

後発医薬品が上市された後の薬価改定までとし、また、後発医薬品が上市されない場合でも、薬価収載後15年を経過した後の薬価改定までとする。

### (4) 加算対象となる期間中に、加算要件を満たさなくなった新薬の薬価改定

#### 1) 上記(1)の要件を満たさなくなった場合

その直後の薬価改定時には当該加算を適用せず、市場実勢価格に基づき算定する。

#### 2) 上記(2)2)に該当すると判断された場合

- ① 当該新薬の薬価は、これまでの加算された分を、市場実勢価格に基づく算定値から追加して引き下げた薬価とする。
- ② 前回の薬価改定時以降、当該加算により得られた販売額(薬価ベース)に、一定の利率(5%)を乗じた分を加えた販売額に相当する分について、当該企業の全既収載医薬品の薬価を、当該薬価改定時に限り、市場実勢価格に基づく算定値(当該加算を受けていた品目については上記①の薬価)から追加して引き下げることとし、その次の薬価改定では当該引下げ相当分を戻すこととする。

なお、中医協において当該加算の不適用を判断するに当たっては、必要に応じ、当該企業に意見陳述の機会を与えることとする。

(5) 薬価改定時に市場拡大再算定の対象となった場合

上記(1)の要件を満たす新薬であっても、薬価改定時に市場拡大再算定の対象となった場合には、当該薬価改定時には、当該加算を適用しないものとする。

(6) 後発医薬品上市後の新薬の薬価改定

後発医薬品上市後の最初の薬価改定時における新薬の薬価は、これまでの加算された分に加えて、特例引下げ分(現行4～6%)を、市場実勢価格に基づく算定値から追加して引き下げた薬価とする。

(7) 初めて収載される後発医薬品の薬価算定

初めて収載される後発医薬品の薬価算定は、「後発医薬品収載時の新薬の薬価からこれまでの期間累積分を引き下げた薬価」の0.7倍とし、その後通常薬価改定を行うものとする。

(8) 後発医薬品のある新薬の薬価引下げ

後発医薬品の使用が十分進んでいないことから、平成22年度薬価改定においては、後発医薬品のある新薬の薬価について、市場実勢価格に基づく算定値から2.2%更に引き下げることとする。

### 3. 実施時期及び実施方法

平成22年度限りの措置として試行的に導入することとし、その財政影響や適応外薬等の開発・上市状況、後発医薬品の使用状況などを検証した上で、次々期薬価制度改革時に、引き続き実施するかどうかについて判断することとする。

## D P C における高額な新規の医薬品等への対応について

- 1 . 新規に薬価収載された医薬品等については、D P C における診療報酬点数表に反映されないことから、以下の基準に該当する医薬品等を使用した患者については、包括評価の対象外とし、次期診療報酬改定までの間、出来高算定することとしている。

前年度に使用実績のない医薬品等については、当該医薬品等の標準的な使用における薬剤費（併用する医薬品も含む）の見込み額が、使用していない症例の薬剤費の平均 + 1 S D を超えること。

- 2 . 効能追加の薬事承認がなされた医薬品のうち、レミケード点滴静注用100（インフリキシマブ（遺伝子組換え））について、新規に追加された効能である「強直性脊椎炎（既存治療で効果不十分な場合に限る）」「潰瘍性大腸炎（既存治療で効果不十分な場合に限る）」に対して使用した場合は、この基準に該当するため、当該効能に対して本剤を使用した患者については、出来高算定することとする。

### < 参考 >

#### レミケード点滴静注用100（インフリキシマブ（遺伝子組換え））

##### ・ 効能・効果：

強直性脊椎炎（既存治療で効果不十分な場合に限る）

潰瘍性大腸炎（既存治療で効果不十分な場合に限る）

##### ・ 用法・用量：

通常、体重1kgあたり5mgを1回の投与量とし点滴静注する。初回投与後、2週、6週に投与し、以後8週間の間隔で投与を行うこと。

##### ・ 薬価：

100mg 1 瓶 100,285円

##### ・ 標準的な費用：

平均体重を50kgと仮定すると、1 回投与あたり  $5\text{mg}/\text{kg} \times 50\text{kg} = 250\text{mg}$

よって、1 回投与あたり、 $100,285\text{円} \times 3 = 300,855\text{円}/\text{回}$

< 強直性脊椎炎の場合 >

1 入院あたりに換算すると、 $300,855\text{円} \times 1.02 = \underline{306,872\text{円}}$

< 潰瘍性大腸炎の場合 >

1 入院あたりに換算すると、 $300,855\text{円} \times 1.69 = \underline{508,445\text{円}}$

- ・当該医薬品を使用するD P Cでの診断群分類：

< 強直性脊椎炎の場合 >

MDC07 筋骨格系疾患

070470 関節リウマチ

( 070470xx99x6xx )

< 潰瘍性大腸炎の場合 >

MDC06 消化器系疾患、肝臓・胆道・膵臓疾患

060185 潰瘍性大腸炎

( 060185xx99x0xx, 060185xx99x01x, 060185xx99x1xx, 060185xx97x0xx,  
060185xx97x1xx, 060185xx01x0xx, 060185xx01x1xx )

- ・当該医薬品を使用していない症例の薬剤費 ( 平均 + 1 S D )

強直性脊椎炎の場合：26,488点

潰瘍性大腸炎の場合：23,997点

先進医療専門家会議における第3項先進医療の科学的評価結果

整理番号	技術名	適応症	医薬品・医療機器情報	保険給付されない費用 <sup>1 2</sup> ('高度医療に係る費用')	保険給付される費用 <sup>2</sup> ('保険外併用療養費')	総評	その他
010	パクリタキセル腹腔内反復投与療法	胃切除後の進行胃がん(Stage / の肉眼型分類3型又は4型であるもの、又は腹膜転移を有するものに限る)	一般名:パクリタキセル 製品名:タキソール注射液 ブリistol・マイヤーズ(株)製	15万5千円 <sup>3</sup> (7回)	108万8千円	適	別紙1
011	生体内吸収性高分子担体と塩基線維芽細胞増殖因子(bFGF)による血管新生療法	慢性閉塞性動脈硬化症又はバージャー病(他の治療法による改善が困難なものに限る。)	一般名:トラフェルミン(遺伝子組換え) 製品名:フィブラストスプレー(トラフェルミン(遺伝子組換え)) 科研製薬(株)製	110万9千円 <sup>4</sup> (1回)	61万2千円	適	別紙2
012	経胎盤的抗不整脈薬投与療法	胎児頻脈性不整脈(持続して胎児心拍数180bpm以上となる心房粗動又は上室性頻拍に限る。)	一般名:ジゴキシン、 製品名:ジゴシン注0.25mg、ジゴシン錠0.25mg、 中外製薬製 製品名:ジゴキシン錠0.25mg、 京都薬品工業製  一般名:ソタロール、 製品名:ソタコール錠80mg、 ブリistol・マイヤーズ製  一般名:フレカイニド 製品名:タンボコール錠50mg エーザイ製	7万3千円~9万2千円 <sup>5</sup>	79万8千円	適	別紙3
013	低出力体外衝撃波治療法	薬物抵抗性の虚血性心疾患(経皮的冠動脈形成術及び冠動脈バイパス術による改善が困難であるものに限る。)	一般名:体外衝撃波治療装置 製品名:Modulith SLC STORZ MEDICAL AG製	30万2千円 <sup>6</sup>	78万6千円	適	別紙4

- 1 医療機関は患者に自己負担を求めることができる。
- 2 典型的な1症例に要する費用として申請医療機関が記載した額。
- 3 患者負担は7回投与で約7万1千円であり、差額は企業が負担予定。
- 4 患者負担は約11万5千円であり、差額は医療機関が研究費にて負担予定。
- 5 対象疾患、薬剤投与量により患者負担は異なる。
- 6 患者負担は約26万6千円であり、差額は医療機関が研究費にて負担予定。

備考]  
「第2項先進医療」は、薬事法上の未承認又は適応外使用である医薬品又は医療機器の使用を伴わず、未だ保険診療の対象に至らない先進的な医療技術。  
「第3項先進医療(高度医療)」は、薬事法上の未承認又は適応外使用である医薬品又は医療機器の使用を伴い、薬事法による申請等に繋がる科学的評価可能なデータ収集の迅速化を図ることを目的とした、先進的な医療技術。



## 高度医療の内容（概要）

高度医療の名称： パクリタキセル腹腔内反復投与療法

適応症： 胃切除後の進行胃がん(Stage / の肉眼型分類 3 型又は 4 型であるもの、又は腹膜転移を有するものに限る。)(詳細は別添参照)

内容：

(先進性)

胃がんの腹膜転移は予後を規定する重要な因子であるが、手術単独による根治は不可能であり、S - 1やシスプラチンといった抗悪性腫瘍剤を用いる化学療法が標準的な治療法となっている。しかし、こうした化学療法を行っても腹膜転移の再発が多いこと、シスプラチンの副作用として嘔気や食欲不振があり、胃切除後の患者に対してシスプラチンを投与することが困難であるといったことから、より有効な治療法が求められている。

抗悪性腫瘍剤であるパクリタキセル(製品名:タキソール)は卵巣がん、乳がん及び胃がん等に対する静脈内投与が薬事法上承認されているが、現在、その腹腔内投与が注目されている。海外の臨床試験等では、胃がん同様に腹膜転移再発のリスクが高い卵巣がんについて、パクリタキセルの静脈内投与と腹腔内投与の比較試験で腹腔内投与の治療成績が優れているという結果が得られている。

本高度医療は、以上のような知見を踏まえ、パクリタキセルの腹腔内投与により腹膜転移のリスクが高い、又は腹膜転移を有する進行胃がんのさらなる有効な治療を目指すものである。

(概要)

まず、D2(第1群リンパ節及び第2群リンパ節)郭清を伴う幽門側胃切除術又は胃全摘術を行う。同時に腹腔内投与用の皮下埋め込み型腹腔用ポートを挿入し、また、閉腹時に1コース目(14日間)としてパクリタキセル(60mg/m<sup>2</sup>)を腹腔内投与する。

2、3コース目(28日間)は第1日目、第8日目及び第15日目にパクリタキセル(60mg/m<sup>2</sup>)を腹腔内投与し、終了とする。

なお終了後は、原則として標準療法である、S - 1単剤療法又はS - 1・シスプラチン併用療法を行う。

(効果)

抗悪性腫瘍剤の腹腔内投与により、経静脈投与と比較し1,000倍以上の薬剤腹水中濃度が得られ、かつ、1回の投与で数日間にわたり経静脈投与で得られる最高値を上回る腹水中濃度が維持されることが確認されている。腹腔内又は腹膜表面に限局したがん細胞に対しては経静脈投与を上回る抗腫瘍効果が期待できる。

(高度医療に係る費用)

約15万5千円(計7回投与)

(注:パクリタキセルの費用は企業が負担するため、患者負担は7回投与で約7万1千円となる。)

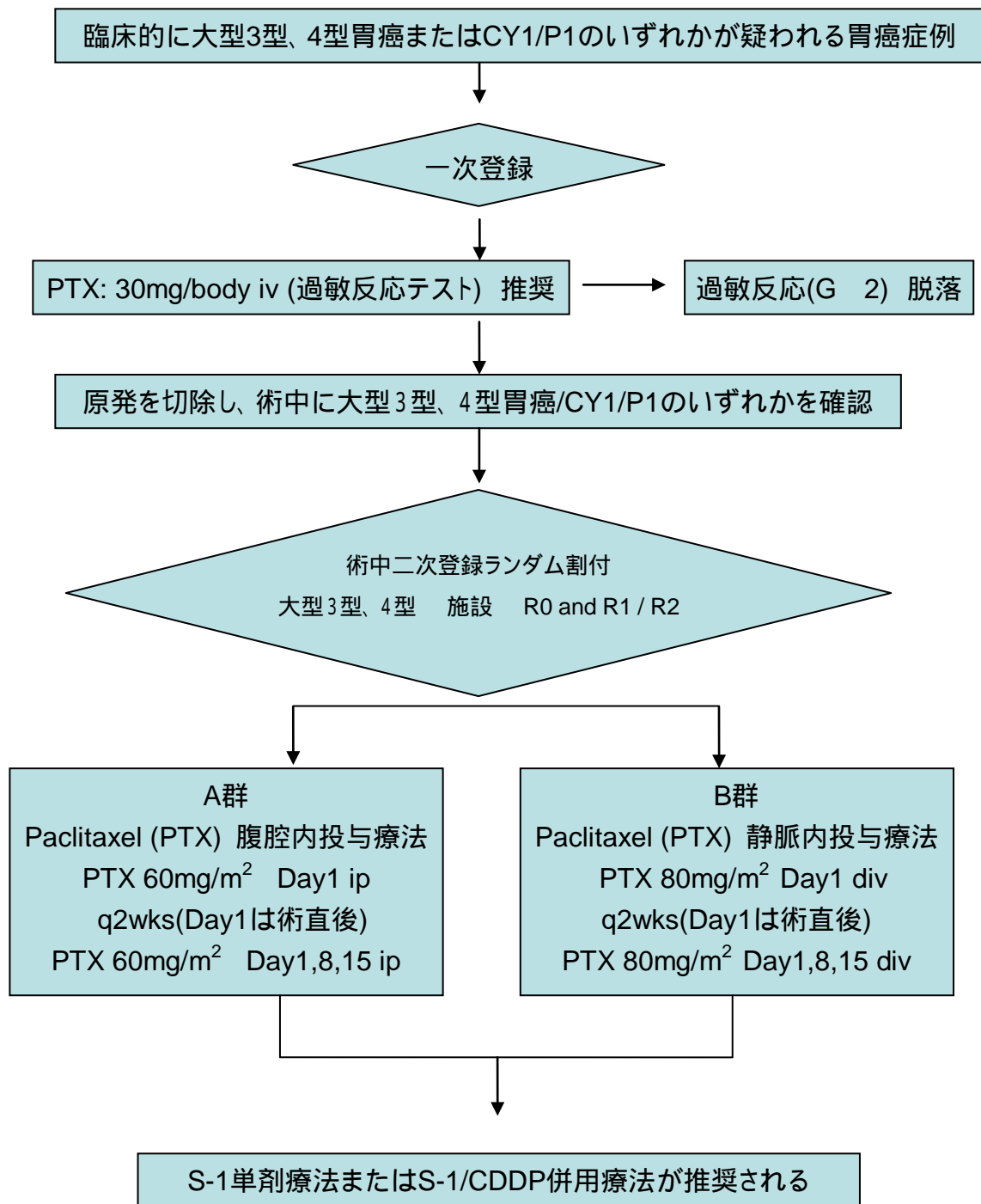
## 【別添】

「パクリタキセル腹腔内反復投与療法」の適応症（申請書類より抜粋）

### 被験者の適格基準及び選定方法

- 1) 肉眼型分類にて3型、4型胃癌と診断されるもの。ただし、3型の場合は、内視鏡、上部消化管造影のいずれかの結果、腫瘍の最大径が8cm以上と診断されるもの。開腹時あるいは診断的腹腔鏡時にCY1あるいはP1と診断され、かつ主治医の判断で引き続き胃切除術を行うこととなった場合も含む。胃切除術を断念した場合には適応外とする。
- 2) 肉眼型分類や腫瘍径が上記の基準を満たさない場合で、開腹時あるいは診断的腹腔鏡時にCY1あるいは腹膜転移があると診断され、かつ主治医の判断で引き続き胃切除術を行うこととなった症例。

なお、適格基準を満たした症例はpaclitaxelの腹腔内投与と経静脈投与を比較するランダム化試験 INPACT study に登録される。そして、腹腔内投与群に割りつけられた場合限り、ここに申請する高度医療を行うこととする。INPACT study の適格基準に基づき、被験者から研究参加に関する文書による同意を得た上で術前に一次登録がなされる。術中に腹膜転移等の術中所見と切除可能であることが確認された場合に二次登録が行われ、ランダム化割りつけがなされる。ただし、INPACT study の最初の10例は忍容性試験の位置づけとなり、ランダム化はなされず、全例に腹腔内投与が行われる。また、INPACT study においては、paclitaxel の腹腔内投与または経静脈投与は8週間行われ、その後は速やかに標準治療であるティーエスワン療法またはティーエスワンとシスプラチンの併用療法を開始することとする。INPACT study の概要を次に示す。



なお、INPACT study の適格基準の詳細は以下に示す。

**一次登録症例の適格基準**

- 1) 組織診または細胞診で胃癌の確定診断が得られている。
- 2) 肉眼型分類にて 3 型、4 型胃癌と診断される。または身体所見、細胞診、CT などにより CY1 あるいは P1 が疑われる。

- 3) 肉眼的分類が 3 型の場合、内視鏡もしくは上部消化管造影所見より、腫瘍の最大径が 8cm 以上である。  
注) 内視鏡・上部消化管造影いずれかで、腫瘍径が 8cm 以上と判断されていれば、厳密な計測は必要としない。
- 4) 胸部 CT、上腹部 CT および骨盤 CT にて以下のいずれも認めない。  
縦隔リンパ節転移、頸部リンパ節転移、Bulky N2 (3.5. 参照)、肺転移、肝転移、胸水、骨盤腔を超える腹水、その他の遠隔転移。
- 5) 臨床的に遠隔転移がないと判断される。
- 6) 他のがん種に対する治療も含めて化学療法、放射線療法の既往がない。
- 7) ECOG の Performance Status (PS) が 0 - 1 の症例。
- 8) 年齢 20 歳以上の症例。
- 9) 下記の主要臓器機能が十分保たれている症例 (1 週間以内の値)
  - ・ 白血球数 3,000/mm<sup>3</sup> 以上
  - ・ 好中球数 1,500/mm<sup>3</sup> 以上
  - ・ 血小板数 75,000/mm<sup>3</sup> 以上
  - ・ AST、ALT 施設の正常値上限の 2 倍以下
  - ・ 総ビリルビン 1.5mg/dl 以下
  - ・ 血清クレアチニン 1.5mg/dl 以下
  - ・ 心電図 重篤な不整脈を心電図上認めない
- 10) 重篤な合併症、活動性の重複癌のない症例。
- 11) 文書による同意の得られている症例。

#### 一次登録症例の除外規定

- 1) 重篤な合併症を有する。
  - ・ 治療を要する程度の虚血性心疾患、不整脈などの心疾患を有する (高血圧に伴う左室肥大や軽度の左室負荷、軽度の右脚ブロックなどは登録可)。
  - ・ 6 ヶ月以内に発症した、心筋梗塞の既往を有する。
  - ・ 肝硬変を合併する。
  - ・ 間質性肺炎、肺線維症の既往を有するまたは疑われる。
  - ・ 繰り返し輸血を要し、消化管新鮮出血を認める。
  - ・ コントロール困難な糖尿病を合併している。
  - ・ 臨床的に腸閉塞、もしくは重篤な亜腸閉塞と考えられる。
  - ・ その他、治療継続に重大な支障を来すと考えられる合併症を有する。
- 2) 活動性の重複がん (同時性重複がんおよび無病期間が 5 年以内の異時性重複がん。ただし局所治療により治癒と判断される Carcinoma in situ (上皮内癌) または粘膜内癌相当の病変は活動性の重複がんに含まない)。
- 3) 明らかな感染または急性炎症性疾患を有する。

- 4) ステロイド剤の継続的な全身投与（内服または静脈内）を受けている。
- 5) 妊娠中・妊娠の可能性（意思）がある、または授乳中の女性。
- 6) 精神病または精神症状を合併しており試験への参加が困難と判断される。
- 7) ポリオキシエチレンヒマシ油（クレモホール EL<sup>®</sup>含有製剤（シクロスポリン注射液等）  
に対し過敏症の既往がある。
- 8) 重篤な薬剤過敏症の既往がある。
- 9) アルコール過敏症の既往がある。
- 10) 末梢神経障害を有する。
- 11) その他、担当医が本試験の規定する治療に耐えられないと判断する症例。

#### 二次登録症例の適格基準

- 1) 原発巣切除の方針が決定している。
- 2) Paclitaxel の過敏反応テストを行った場合は、過敏反応テストにて CTC AE による Grade 2 以上の過敏反応が認められない。
- 3) 開腹時に CY1、P1 のいずれかが認められる（肉眼型分類にて大型 3 型・4 型胃癌であった場合を除く）。
- 4) ポート留置が可能である。

先進技術としての適格性	
技術の名称	パクリタキセル腹腔内反復投与療法
社会的妥当性 (社会的倫理的問題等)	<input type="checkbox"/> A. 倫理的問題等はない。 <input type="checkbox"/> B. 倫理的問題等がある。
現時点での普及性	<input type="checkbox"/> A. 罹患率、有病率から勘案して、かなり普及している。 <input checked="" type="checkbox"/> B. 罹患率、有病率から勘案して、ある程度普及している。 <input type="checkbox"/> C. 罹患率、有病率から勘案して、普及していない。
効率性	既に保険導入されている医療技術に比較して、 <input type="checkbox"/> A. 大幅に効率的。 <input checked="" type="checkbox"/> B. やや効率的。 <input type="checkbox"/> C. 効率性は同程度又は劣る。
将来の保険収載の必要性	<input checked="" type="checkbox"/> A. 将来的に保険収載を行うことが妥当。なお、保険導入等の評価に際しては、以下の事項について検討する必要がある。 <div style="display: flex; align-items: center; justify-content: center;"> <span style="font-size: 2em; margin-right: 10px;">{</span> <div style="text-align: center;">           標準的な術後補助化学療法との第 相比較試験の実施と            用量設定根拠の明確化         </div> <span style="font-size: 2em; margin-left: 10px;">}</span> </div> <input type="checkbox"/> B. 将来的に保険収載を行うべきでない。
総評	総合判定: <input checked="" type="checkbox"/> 適 <input type="checkbox"/> 否 コメント: 胃癌腹膜転移症例および腹膜転移高危険症例に対する胃切除術後の標準的な化学療法は確立していない。本申請の高度医療は、術後早期にパクリタキセルの腹腔内投与あるいは静脈内投与を行い、引き続き標準治療である全身化学療法(S-1 単独または S-1/CDDP 併用)へ移行する無作為化第 相試験である。 現時点でエビデンスのない腹腔内投与を静脈内投与との比較により検証する本試験は実施する価値があると評価する。安全性に関しては、腹腔内リザーバーによる合併症リスクが加わるため、投与コンプライアンスも含めて、詳細なモニタリングが必要である。 将来の保険収載・薬事承認に際しては、標準的な術後補助化学療法との第 相比較試験の実施および腹腔内投与量の設定根拠が求められる。次相では GCP 準拠の治験の実施が望ましい。

平成22年4月6日

「胃癌に対する胃切除術後の抗悪性腫瘍剤の腹腔内反復投与法  
(高度医療整理番号 022)」の有効性・安全性にかかる評価について

高度医療評価会議

座長 猿田 享男

名古屋大学医学部附属病院から申請のあった新規技術について、本会議で安全性・有効性について検討を行い、その結果を以下の通りとりまとめたので報告いたします。

1. 高度医療の概要

高度医療の名称：胃癌に対する胃切除術後の抗悪性腫瘍剤の腹腔内反復投与法	
適応症：腹膜転移高リスク進行胃癌（Stage II/IIIの大型3型・4型胃癌および肉眼型を問わず腹腔内洗浄細胞診陽性の胃癌）および腹膜転移を有する進行胃癌	
内容： （先進性） 胃癌の腹膜転移を制御する目的で当該治療が本邦で臨床研究として行われた例はあり、理論的には効果が期待されるが、保険適用ではないために実地臨床では施行できない。医師主導型の臨床試験（腹腔内投与と経静脈投与のランダム化比較試験）を計画し、保険適用の申請に向けてエビデンスを得ようとしている点が先進的である。 現在腹腔内ポートの挿入のみが保健医療となっているが、実際に使用できる薬剤は胃癌治療でほとんど使用されなくなったマイトマイシンをはじめとする3剤のみであり、それらについてのエビデンスも乏しい。またポートからの反復投与についてまとめた報告は少なく、反復投与する方法論の確立も大切である。補助化学療法では反復投与後にポートの抜去が必要となるが、この抜去は保険医療の対象外である。ポートの挿入、反復投与からポートの抜去までを含めた治療体系を確立し、評価しようとする点も先進的である。 （概要） 少量の腹膜転移を有するか、腹膜転移再発のリスクが高い胃癌患者を対象とする。化学療法未施行の段階でD2郭清を伴う根治的胃切除に準じた手術を行い（ただし、胃全摘術になる場合に脾摘の省略は容認する。また、実際に腹膜転移を有する場合は姑息切除でも可とする）、同手術中に抗癌剤の腹腔内投与のためのリザーバーを挿入する。手術当日に腹腔内投与を行うほか、その2週間後から週1回のペースで3回投与して1回休む治療を2コース、すなわち総計7回の腹腔内投与を行う。抗癌剤としてはpaclitaxelを使用し、米国で卵巣癌患者に毎週1回投与する際に採用された用量により投与する。所定の回数の投与が終了した後は、原則としてリザーバーを摘出の上、標準的な全身化学療法に移行する。 （効果） 腹水を有する被験者に腹腔内投与を行うことにより、腹水中濃度として経静脈投与時の1000倍以上が得られ、かつ、1回の投与で数日間にわたり経静脈投与で得られる最高値を上回る腹水中濃度が維持されることが判明している。ゆえに、腹腔内、または腹膜表面に限局した癌細胞に対しては経静脈投与を上回る効果があることが予想されるが、これは胃癌腹膜転移モデルを用いた動物実験で証明され、また、卵巣癌においては米国における腹膜転移例を対象とした第3相比較試験で示されている。 （高度医療に係る費用） 通常 腹腔内投与時に22,100円（10,200円 paclitaxel費用を除く場合） 平均的コース7回投与 総計 22,100円×7回=154,700円 10,200円×7回=71,400円（paclitaxel費用を除く場合）	
申請医療機関	名古屋大学医学部附属病院
協力医療機関	なし

## 2. 高度医療評価会議における審議概要

### 第1回審議

開催日時：平成22年2月25日(木) 15:00～17:00

(第14回 高度医療評価会議)

#### 議事概要

平成22年3月31日付けで名古屋大学医学部附属病院から申請のあった新規高度医療技術(対象疾患:腹膜転移高リスク進行胃癌(Stage II/IIIの大型3型・4型胃癌および肉眼型を問わず腹腔内洗浄細胞診陽性の胃癌)および腹膜転移を有する進行胃癌)について、申請書を基に、安全性・有効性等に関する評価が行われた。

その結果、当該技術を「適」として了承し、先進医療専門家会議に報告することとした。

(本会議における主なコメント)

#### 【臨床研究実施計画】

本申請では、最初の10例は認容試験と判断され、全ての10例はプロトコル治療の腹腔内投与療法が施され、プロトコル治療法(米国における卵巣癌の投与用量、60mg)の適切性(プロトコル治療の達成率、安全性等)が検討されます。試験が継続された際には、登録終了後1年目の時点で中間解析が実施されますが、中間解析の詳細な記載が必要であると判断します。

上記のコメントについて、実施計画書12.3.中間解析と試験の早期中止に以下の通り修正された。

#### 目標症例数

当初10例の腹腔内投与療法のプロトコル治療が完了した時点にて1回目の定期モニタリングを実施し、安全上問題がないか効果安全性評価委員会にて検討を行い、腹腔内投与を4回以上行えた症例が10例中5例に満たない場合は試験中止、またはプロトコルの改正を行うものとする。その他、試験の継続に何らかの問題がある場合も同様に扱う。

中間解析は、登録終了1年目の時点でおこなう。全生存期間において、腹腔内投与群が静脈内投与群に比べ著しく劣っていないかどうか(futility)を解析する。静脈内投与群の2年生存率を35%とし、腹腔内投与群が10%以上劣る(ハザード比で1.321を超える)確率をベイズ流に事後確率として計算する。このfutilityに関するベイズ事後確率を含め、secondary endpointsのうち安全性のエンドポイント(有害事象)についての集計など中間解析結果を効果・安全性評価委員会で検討する。試験途中で重篤な有害事象発生割合が10%であることが確認された場合は、効果・安全性評価委員会の審査により、試験継続の可否および結果公表の可否について審査を受ける。

## 3. 高度医療評価会議での検討結果

名古屋大学医学部附属病院からの新規技術(胃癌に対する胃切除術後の抗悪性腫瘍剤の腹腔内反復投与法)に関して、高度医療評価会議は、主として有効性・安全性等にかかる観点から論点整理を進め、それらの結果を申請書に適切に反映させ、その内容については全構成員が確認を行った。その上で、上記コメントを反映した申請書を審査担当構成員に確認を行った結果、当該新規技術の申請内容が高度医療として妥当であると判断した。



## 高度医療 評価表 ( 番号 022 )

評価委員 主担当：竹内  
副担当：山口 副担当：佐藤

高度医療の名称	胃癌に対する胃切除術後の抗悪性腫瘍剤の腹腔内反復投与法
申請医療機関の名称	名古屋大学医学部附属病院
医療技術の概要	少量の腹膜転移を有するか、腹膜転移再発のリスクが高い胃癌患者を対象とする。化学療法未施行の段階でD 2 郭清を伴う根治的胃切除に準じた手術を行い(ただし、胃全摘術になる場合に脾摘の省略は容認する。また、実際に腹膜転移を有する場合は姑息切除でも可とする)、同手術中に抗癌剤の腹腔内投与のためのリザーバーを挿入する。手術当日に腹腔内投与を行うほか、その2週間後から週1回のペースで3回投与して1回休む治療を2コース、すなわち総計7回の腹腔内投与を行う。抗癌剤としてはpaclitaxelを使用し、米国で卵巣癌患者に毎週1回投与する際に採用された用量により投与する。所定の回数投与が終了した後は、原則としてリザーバーを摘出の上、標準的な全身化学療法に移行する。

## 【実施体制の評価】 評価者：山口

1. 実施責任医師等の体制	適	・ 不適
2. 実施医療機関の体制	適	・ 不適
3. 医療技術の有用性等	適	・ 不適
コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)		
実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)		

## 【倫理的観点からの評価】 評価者：佐藤

4. 同意に係る手続き、同意文書	適	・ 不適
5. 補償内容	適	・ 不適
コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)		
<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 本件が日常診療であると誤解されないように留意されたい。</li> <li>・ 予想される利益については、患者個人の利益と、それがもたらす(将来世代への)一般的な利益とは、分けて記載すべき。</li> <li>・ タキソールの一般的な副作用、また、本件で予想される副作用の種類と頻度とは記載すべき。その他、リザーバ留置に伴うリスク(計画書には2.5.2で記載あり)、ティーエスワン服用の遅れ(申請書3.3.1)も説明が必要であろう。</li> <li>・ 利益相反について、どのような利益相反があり得るか、わかりにくい。</li> <li>・ 患者相談について、「費用その他に関すること」となっていて、それ以外(「その他」に読み込むのかもしれないが)をどこに相談したらいいかわかりにくいので、この例示は削除すべきか。</li> </ul>		
(患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。)		

実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)

以上の点が改善されれば、適としてよいと判断します。

事務局より修正が依頼され、適切に修正されたので4.同意に係る手続き同意文書についても「適」とする。

【プロトコルの評価】 評価者：竹内

6. 期待される適応症、効能及び効果	適	・ 不適
7. 予測される安全性情報	適	・ 不適
8. 被験者の適格基準及び選定方法	適	・ 不適
9. 治療計画の内容	適	・ 不適
10. 有効性及び安全性の評価方法	適	・ 不適
11. モニタリング体制及び実施方法	適	・ 不適
12. 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	適	・ 不適
13. 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	適	・ 不適
14. 患者負担の内容	適	・ 不適
15. 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	適	・ 不適
16. 個人情報保護の方法	適	・ 不適

コメント欄：

9. 本申請では、二次登録時（術中時）に無作為化されるので、無作為化の方法の詳細な記述が必要であると判断します。腹腔内投与の手技に関して、ポート挿入法、腹腔内投与法の詳細については、事前に研修を開催し、標準化された方法の徹底化を図ることによって、医療機関のばらつきを最小に努力することは本臨床試験を実施することに対して不可欠であると判断します。

10. 本申請の評価項目は有効性として、2年生存割合、無増悪生存期間、全生存期間、安全性評価項目として有害事象発現割合になっております。プロトコル治療後に開始される、S-1または、S-1+シスプラチン併用治療は、腹膜転移巣の遺残の有無(R0/R1 vs R2)で決定されます。腹膜転移巣遺残の有無は無作為化の因子になっており、S-1、または、S-1+シスプラチン併用治療は両治療群に均等に分布すると考えられますが、有効性、安全性を評価する際には、交互作用を十分に検討する必要があると判断します。

11. 本申請では、最初の10例は認容試験と判断され、全ての10例はプロトコル治療の腹腔内投与療法が施され、プロトコル治療法（米国における卵巣癌の投与用量、60mg）の適切性（プロトコル治療の達成率、安全性等）が検討されます。試験が継続された際には、登録終了後1年目の時点で中間解析が実施されますが、中間解析の詳細な記載が必要であると判断します。

実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)

【総評】竹内

総合評価	<input checked="" type="checkbox"/> 適      条件付き適      継続審議      不適		
予定症例数	60 症例	予定試験期間	2 年
実施条件：( 修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。)			
<p>コメント欄</p> <p>本申請は、卵巣がんで用法・用量が標準化されているパクリタキセルの腹腔内投与療法の予後不良な胃癌症例に対する安全性・有効性を検討するための無作為化第2相臨床試験での、プロトコル治療群です。そのため、目的を達成するためには、プロトコル治療群の用量＋後治療のS - 1＋シスプラチン併用療法の適切性を検討するために定期的なモニタリングが本試験でのカギになると判断します。</p>			

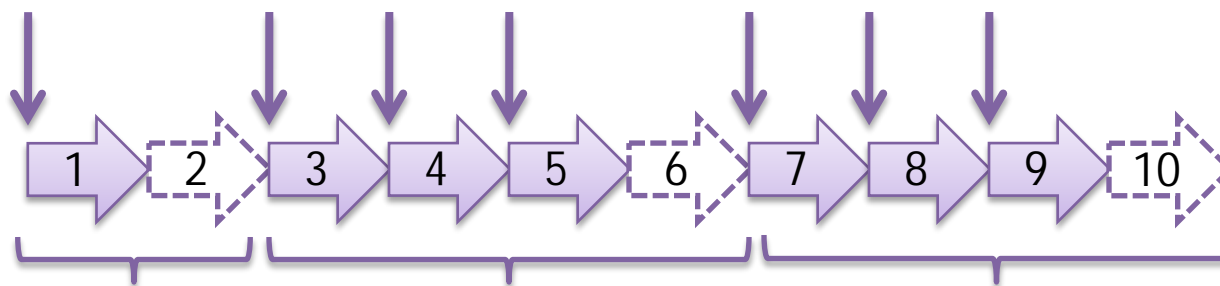
# 整理番号010

技術名	パクリタキセル腹腔内反復投与療法
適応症	胃切除後の進行胃がん(Stage / の肉眼型分類3型又は4型であるもの、又は腹膜転移を有するものに限る。)
高度医療に係る費用	約15万5千円(計7回投与)(注:パクリタキセルの費用は企業が負担するため、患者負担は7回投与で約7万1千円となる。)

パクリタキセル  
60 mg/m<sup>2</sup> 腹腔内投与

標準療法

S - 1 単独  
S - 1・シスプラチン併用



1コース目  
計14日間

2コース目  
計28日間

3コース目  
計28日間

# 参考 第3項先進医療 告示番号18

技術名	パクリタキセル腹腔内投与及び静脈内投与並びにS - 1内服併用療法
適応症	腹膜播種又は進行性胃がん(腹水細胞診又は腹腔洗浄細胞診により遊離がん細胞を認めるものに限る。)
高度医療に係る費用	投与1回当たり約1万8千円 (平均投与回数20回で約36万4千円)

パクリタキセル(第1日目及び第8日目)  
50 mg/m<sup>2</sup> 静脈内投与  
20 mg/m<sup>2</sup> 腹腔内投与



計21日間

S-1内服 14日間

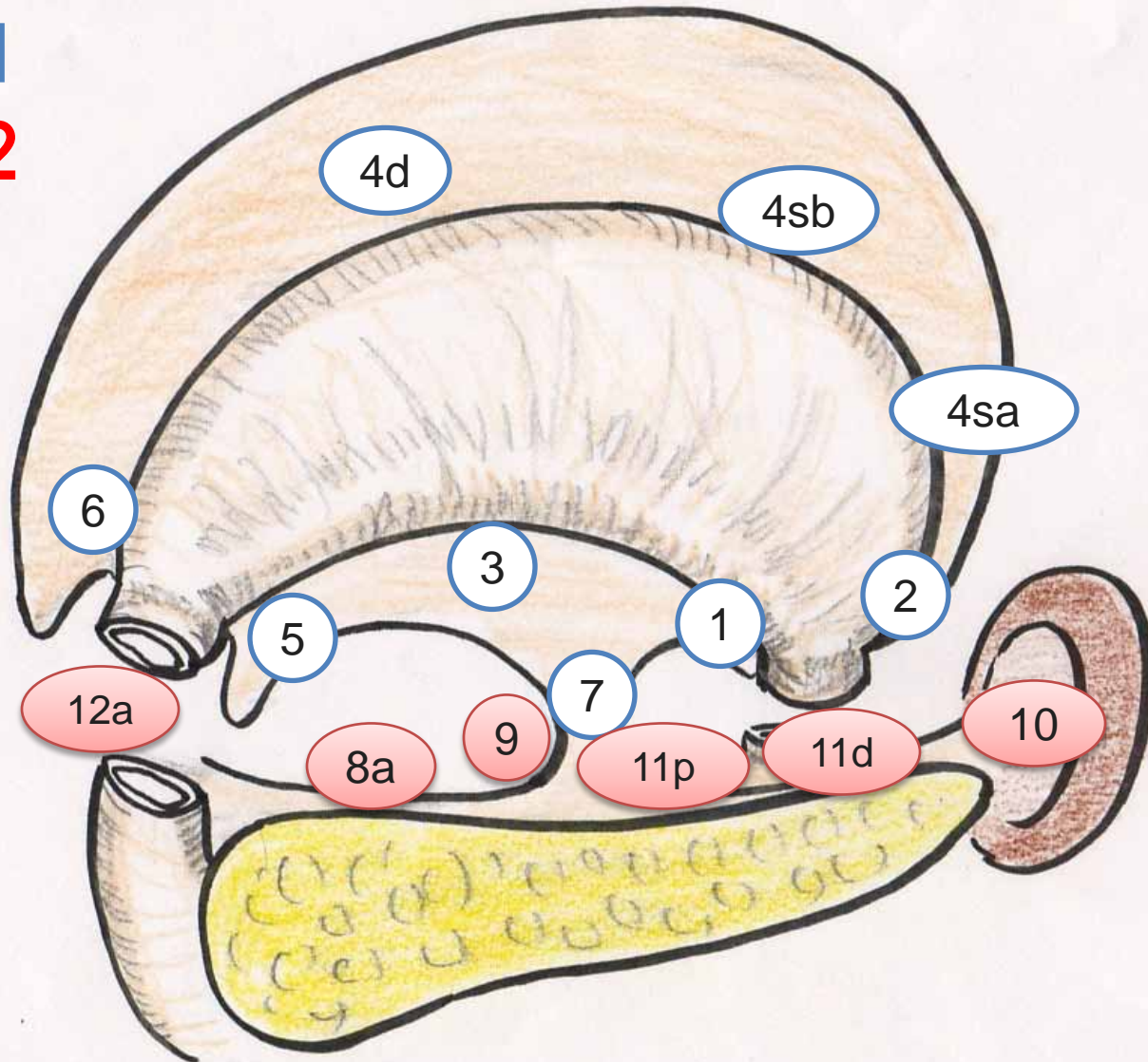
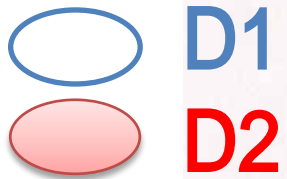
パクリタキセル(第1日目及び第8日目)  
50 mg/m<sup>2</sup> 静脈内投与  
20 mg/m<sup>2</sup> 腹腔内投与



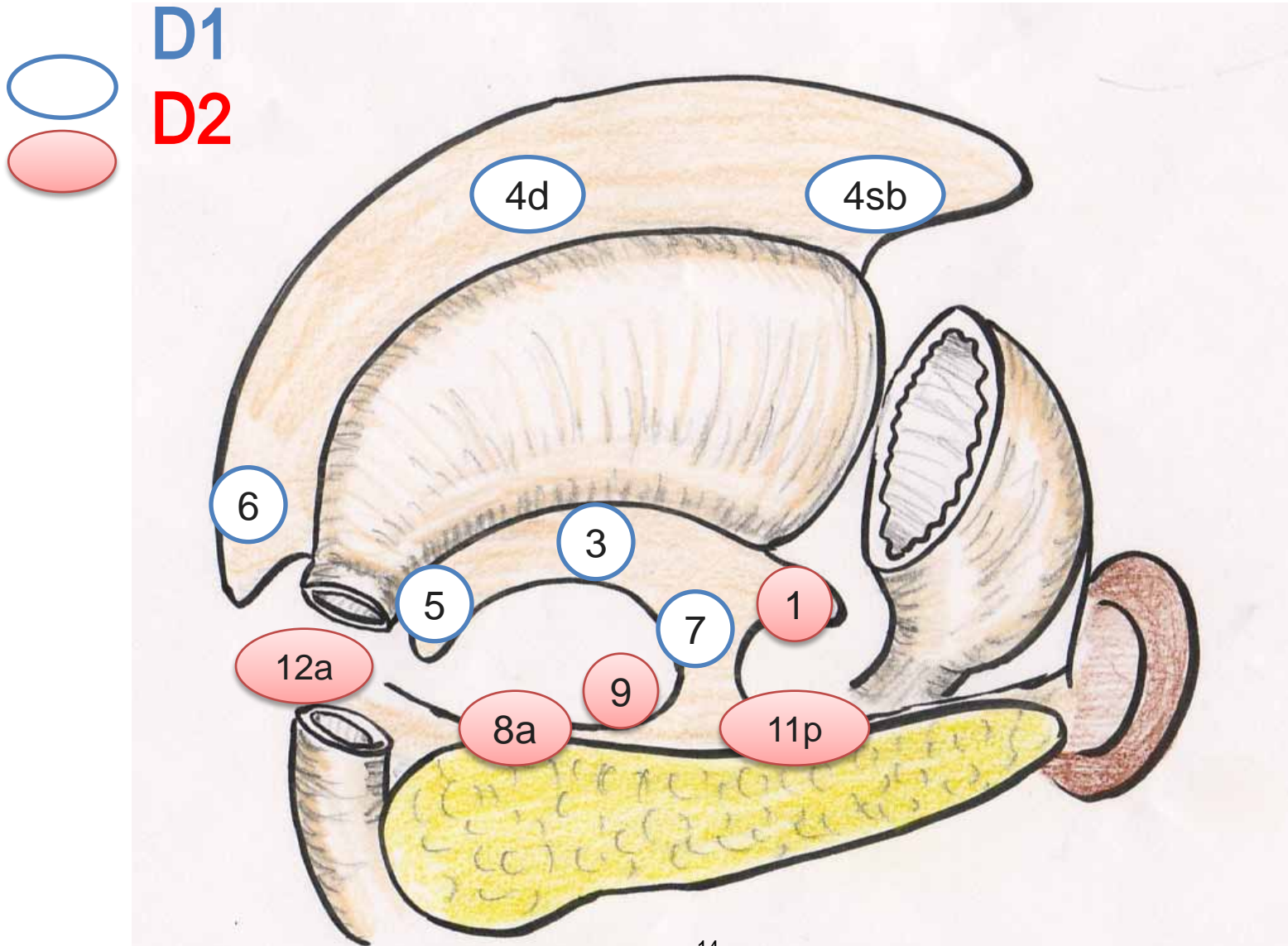
計21日間

S-1内服 14日間

# 胃全摘術の郭清範囲

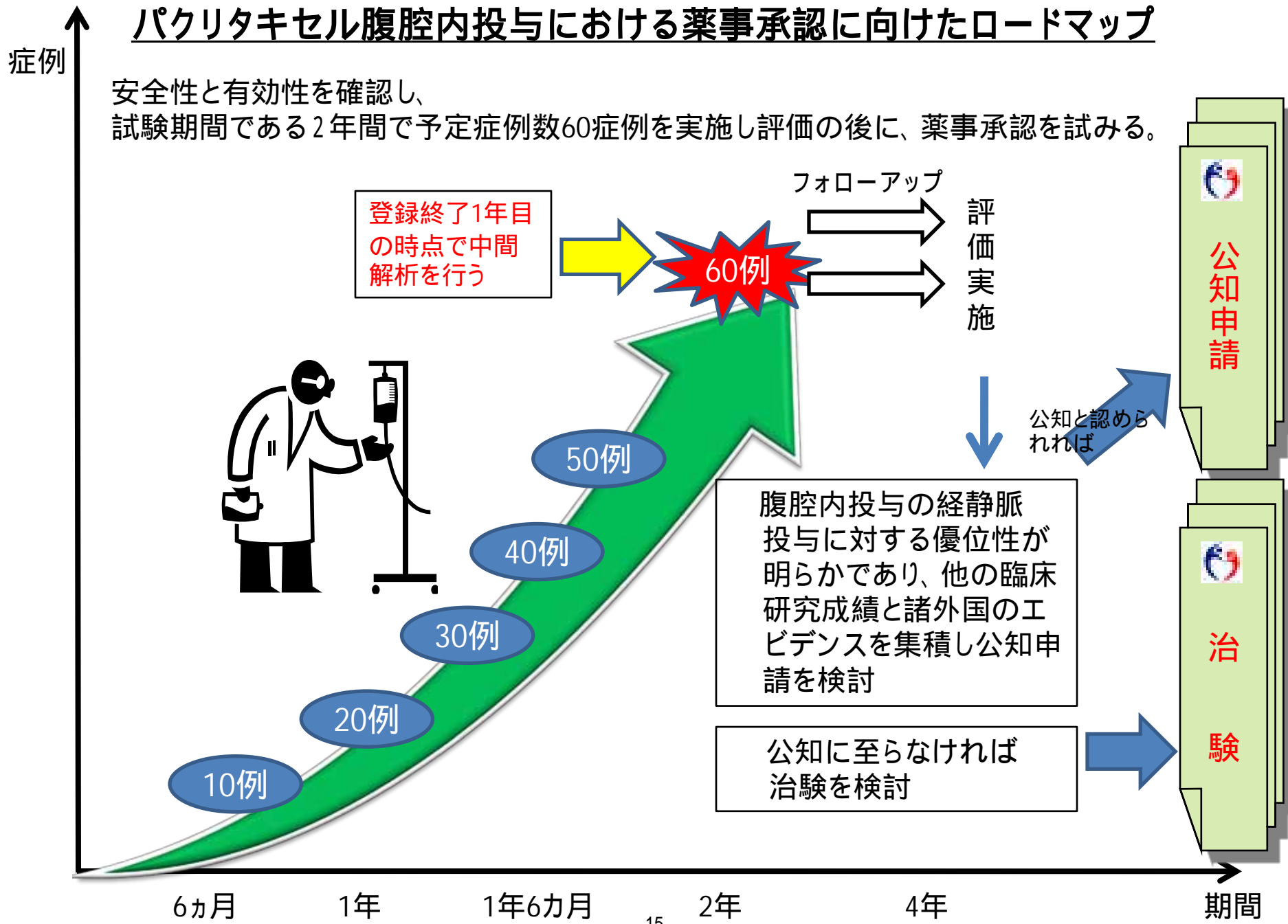


# 幽門側胃切除術の郭清範囲



# パクリタキセル腹腔内投与における薬事承認に向けたロードマップ

安全性と有効性を確認し、試験期間である2年間で予定症例数60症例を実施し評価の後に、薬事承認を試みる。





## 高度医療の内容（概要）

高度医療の名称： 生体内吸収性高分子担体と塩基繊維芽細胞増殖因子 (bFGF) による血管新生療法
適応症： 慢性閉塞性動脈硬化症又はバージャー病 (他の治療法による改善が困難なものに限る。)(詳細は別添参照)
<p>内容：</p> <p>(先進性)</p> <p>近年、糖尿病患者や高齢者の増加に伴い動脈硬化を原因とする下肢の閉塞性動脈硬化症は増加しており、血行改善薬等の内科的治療や下肢の血管拡張術・血栓除去術、動脈血栓除去術、血管移植術、バイパス移植術等の外科的治療はその治療に大きく貢献している。しかしながら、閉塞性動脈硬化症やバージャー病のために下肢切断を余儀なくされる患者も多く、現存の治療法が十分であるとは言い難い。</p> <p>近年、新たな治療法として、虚血部周辺組織からの血管新生及び側副血行の発達を促し虚血組織の血流を確保するという血管新生療法が注目されている。この治療法には主として血管新生タンパクを投与する「タンパク治療」、血管新生タンパクを発現する遺伝子を投与する「遺伝子治療」、血管新生を促す細胞を移植する「細胞移植治療」があるが、「タンパク治療」は血管新生タンパクを全身へ大量・反復投与を必要とすることによる副作用、「遺伝子治療」には安全性に対する懸念や遺伝情報の発現コントロールが十分ではないという問題、「細胞移植治療」には移植細胞採取の侵襲性、手技的煩雑さ、倫理問題、高額な費用等の問題が存在していることから新たな方策の開発が求められている。</p> <p>そこで本治療は「タンパク治療」の問題点であった全身への大量反復投与による副作用を解決すべく、ドラッグデリバリーシステムである生体吸収材料(ゼラチンハイドロゲル)を開発し、血管新生タンパクを十分かつ必要期間及び必要部位に作用させることを可能とした。このゼラチンハイドロゲルは血管新生タンパクの生理活性を保ったままで固定化包含できること、また血管新生タンパクを含んだゼラチンハイドロゲルが生体内で分解される期間を調整できることから、1回の局所投与にて、必要部位における血管新生タンパクの濃度維持が可能である。また、「遺伝子治療」や「細胞移植治療」と比較し、患者投与までの手技が非常に簡便であり低コストであることも特徴である。</p> <p>(概要)</p> <p>トラフェルミン(塩基性線維芽細胞成長因子(bFGF<sup>1</sup>))を生理食塩水で溶解し、濾過滅菌後にゼラチンハイドロゲルに浸潤させ、注射剤を用時調整する。</p> <p>腰椎麻酔下に、この塩基繊維芽細胞増殖因子(bFGF)徐放化ゼラチンハイドロゲル 1ml ずつを虚血下肢の腓腹筋に 40 箇所(計 40ml、bFGF として計 200 µg)注射する。</p> <p><sup>1</sup> basic fibroblast growth factor</p> <p>(効果)</p> <p>従来下肢切断を選択せざるを得なかった重症下肢虚血患者の QOL の改善される。</p> <p>申請医療機関における 7 例の先行試験では、潰瘍を有した 6 例中 3 例で潰瘍の消失、1 例で縮小を認め、また疼痛の軽減も認めた。さらに重篤な有害事象は認めなかった。</p> <p>(高度医療に係る費用)</p> <p>約 110 万 9 千円</p> <p>(注：医療機関が研究費にて約 99 万 4 千円を負担するため、患者負担は約 11 万 5 千円となる。)</p>

## 【別添】

### 「生体内吸収性高分子担体と塩基繊維芽細胞増殖因子（bFGF）による血管新生療法」の適応症（申請書類より抜粋）

#### 適格基準

- 1) 下肢末梢性血管疾患（慢性閉塞性動脈硬化症またはバージャー病）と診断されている。（「4.1 下肢末梢性血管疾患（慢性閉塞性動脈硬化症、バージャー病）の定義」参照）
- 2) 対象側について、以下すべてを満たす下肢末梢性血管疾患である。
  - 下肢虚血による潰瘍、限局性の壊疽、安静時疼痛のいずれかの症状がある。
  - Rutherford 慢性虚血肢臨床分類の 4 群～5 群と判定される。
  - 骨・腱の露出した深部潰瘍または広範な壊疽いずれも認めない。（「4.2 Rutherford 慢性虚血肢臨床分類」参照）
- 3) あらゆる内科的治療（血管拡張剤、抗血小板剤、経皮的血管形成術）または外科的治療（バイパス血行再建術等）を施行した後も、臨床症状の改善が得られない患者である。
- 4) 治療開始 4 週間以内に下肢大切断（足関節以上）を受ける可能性がないと判断される。
- 5) 登録時の年齢が 20 歳以上 80 歳未満である。
- 6) 骨髄、肝機能が保持されている。（登録前 4 週間以内の最新の検査）

ヘモグロビン量	10.0 g/dL
血小板数	7.0 万/ $\mu$ L
AST (GOT)	100 IU/L
ALT (GPT)	100 IU/L
- 7) 試験参加について、患者本人から文書による同意が得られている。

#### 除外基準

- 1) 下肢血行再建術（外科的バイパス術、PTA）後 3 か月以内である。
- 2) 冠動脈バイパス術または経皮的冠動脈形成術（PCI）施行後 3 か月以内である。
- 3) 以下の薬剤を投与中で、症状悪化の可能性のために中止することが困難である。
  - アルプロスタジル（リプル®、パルクス® 等）
  - アルプロスタジルアルファデクス（プロスタンディン® 等）
  - アルガトロバン（ノバスタン®、スロンノン® 等）

ただし、試験治療開始（bFGF 含有ゼラチンハイドロゲル細粒の投与）1 週間前から、本試験の観察期間（bFGF 含有ゼラチンハイドロゲル細粒の投与後 24 週まで）終了まで中止可能と判断できる場合は登録可とする。

- 4) 以下のいずれかの合併症を有する。
  - コントロール不良な虚血性心疾患・心不全・不整脈
  - 臨床的に問題となる感染症（蜂窩織炎・骨髄炎を含む）
  - コントロール不良の糖尿病患者（HbA1c > 10%）
  - 余命が 1 年以内と考えられる合併症
- 5) 以下のいずれかの既往を有する。

- 過去 6 か月以内に発症した心筋梗塞・脳梗塞・脳出血・一過性脳虚血発作
  - 重度の薬剤アレルギー
  - 過去 1 年以内に治療を要するアルコール依存または薬物依存を認めた
- 6) 現在、慢性腎不全により維持透析中である。
- 7) 糖尿病性網膜症（増殖前糖尿病性網膜症または増殖糖尿病網膜症）で治療中である。  
ただし、bFGF 含有ゼラチンハイドロゲル細粒の投与までに糖尿病性網膜症の治療が終了予定の患者については、眼科医が本試験の参加に問題がないと判断した場合は、登録可とする。
- 8) ゼラチンハイドロゲル細粒の皮内反応が陽性である。
- 9) 過去、以下の臨床試験・治験に参加している。
- bFGF に関する試験
  - 遺伝子治療に関する試験
- 10) 活動性の悪性腫瘍（無病期間が 3 年以内の悪性腫瘍）を有する。  
ただし、carcinoma in situ（上皮内癌）や粘膜内癌は活動性の悪性腫瘍に含めない。  
悪性腫瘍による難治性潰瘍の可能性のある患者については、事前に生検等により投与部位に悪性腫瘍のないことを確認すること。
- 11) 喫煙者である、または禁煙期間が 1 か月未満である。
- 12) 妊娠中または妊娠の可能性のある女性。妊娠を希望している女性。授乳中である女性。パートナーの妊娠を希望する男性。
- 13) その他、研究責任者または担当医師が本試験を安全に実施するのに不相当と判断した患者。
- なお、被験者が候補から選定になるまでの方法の詳細は、試験計画書に記載。

先進技術としての適格性	
技術の名称	生体内吸収性高分子担体と塩基繊維芽細胞増殖因子(bFGF)による血管新生療法
社会的妥当性 (社会的倫理的問題等)	<input checked="" type="checkbox"/> A. 倫理的問題等はない。 <input type="checkbox"/> B. 倫理的問題等がある。
現時点での普及性	<input type="checkbox"/> A. 罹患率、有病率から勘案して、かなり普及している。 <input type="checkbox"/> B. 罹患率、有病率から勘案して、ある程度普及している。 <input checked="" type="checkbox"/> C. 罹患率、有病率から勘案して、普及していない。
効率性	既に保険導入されている医療技術に比較して、 <input type="checkbox"/> A. 大幅に効率的。 <input checked="" type="checkbox"/> B. やや効率的。 <input type="checkbox"/> C. 効率性は同程度又は劣る。
将来の保険収載の必要性	<input type="checkbox"/> A. 将来的に保険収載を行うことが妥当。なお、保険導入等の評価に際しては、以下の事項について検討する必要がある。 [ 有効であれば保険収載を検討できるが、現時点での判断はできない。 ] <input type="checkbox"/> B. 将来的に保険収載を行うべきでない。
総評	総合判定: <input checked="" type="checkbox"/> 適    ·    否 コメント: エンドポイントとしてTcO <sub>2</sub> が用いられているが、患者のQOLをより反映する指標も必要と考えられる。

平成22年4月13日

「下肢末梢性血管疾患に対する、生体内吸収性高分子担体と塩基性線維芽細胞増殖因子 (bFGF) を用いた血管新生療法 (高度医療整理番号 023)」の有効性・安全性にかかわる評価について

高度医療評価会議

座長 猿田 享男

京都大学医学部附属病院から申請のあった新規技術について、本会議で安全性・有効性について検討を行い、その結果を以下の通りとりまとめたので報告いたします。

### 1. 高度医療の概要

高度医療の名称：下肢末梢性血管疾患に対する、生体内吸収性高分子担体と塩基線維芽細胞増殖因子 (bFGF) を用いた血管新生療法	
適応症：慢性閉塞性動脈硬化症、バージャー病、糖尿病性下肢壊疽	
内容： (先進性) 下肢切断に至る可能性の高い下肢末梢性血管疾患に対する血管新生療法には、血管新生因子の遺伝子を利用する「遺伝子治療」ならびに、血管新生を促す細胞を移植する「細胞移植治療」があるが、遺伝子治療は安全性に対する懸念が存在し、かつ遺伝情報の発現コントロールが十分ではない。また細胞移植治療は、移植細胞採取の侵襲・手技的煩雑さ・免疫反応・倫理問題・コストなど多くが解決されていない。当研究の先進性は遺伝材料や移植細胞を用いず、かつ血管新生因子を十分かつ必要期間・必要部位に作用させるドラッグデリバリーシステムである「ゼラチンハイドロゲル」を開発し、より安全かつ有効な新規血管再生術を行うことにある。ゼラチンハイドロゲルは生体吸収性であり基材が生体内に残ることはない。またゼラチンハイドロゲルは、増殖因子の放出期間や濃度を維持でき、シート状・ディスク状・粒子状などの成形が可能で応用範囲が広く、さらに様々な増殖因子を組み合わせた投与が可能である。さらに遺伝子治療・細胞移植治療に比べて投与手技が非常に簡便で低コストである点が画期的である。  (概要) 京都大学医学部附属病院にて、閉塞性動脈硬化症またはバージャー病による重症下肢虚血患者10名に対して、塩基性線維芽細胞増殖因子 (bFGF) 徐放化ゼラチンハイドロゲル200 µgを腰椎麻酔下に虚血下肢に40箇所を筋肉内投与を行い、4週および24週後に安全性および下肢血流改善・救肢状況の評価を行う。7例の先行試験では、難治性潰瘍の治癒や疼痛の消失を認め、重篤な有害事象は認めなかった。  (効果) 本新規の血管再生術の有効性が確認されれば、従来下肢切断を選択せざるを得なかった重症下肢虚血患者の多くが救済され、患者QOLが格段に改善され、労働生産性の向上にも繋がり、医療に対する波及効果は大きい。  (先進医療に係る費用) 1,135,000円 (但し一部を研究費にて993,000円を負担するため、患者負担については142,000円)	
申請医療機関	京都大学医学部附属病院
協力医療機関	なし

## 2 . 高度医療評価会議における審議概要

### 第1回審議

開催日時：平成22年3月26日(金) 16:30～18:30  
(第15回 高度医療評価会議)

#### 議事概要

平成22年3月19日付で京都大学医学部附属病院から申請のあった新規高度医療技術(対象疾患：慢性閉塞性動脈硬化症、バージャー病、糖尿病性下肢壊疽)について、申請書を基に、安全性・有効性等に関する評価が行われた。

その結果、当該技術を「適」として了承し、先進医療専門家会議に報告することとした。

(本会議における主なコメント)

#### 【臨床研究実施計画】

既に第 - 相臨床試験が行われて有効性、安全性が示唆されている。今回は更に客観的に評価を行おうとするものであり、実施体制には問題はない。

臨床研究であること、この方法の(予想される)効果および副作用、この方法以外の治療法、補償内容、など、きちんと説明されている。また、補償内容も適切である。さらに、患者相談の対応についても、CRCが上げられており、適切である

研究計画は全般に適切に記載されている。実施体制やモニタリング体制についても、適切に整備されている。患者負担に関して、申請書と研究計画書の記載に齟齬があるため、訂正すること(申請書では、高度医療にかかる費用を患者負担と記載されているが、研究計画書及びIC文書には、研究費で負担と記載されている)。

事務局の指摘により、上記の齟齬は申請者により適切な形に修正された。

## 3 . 高度医療評価会議での検討結果

京都大学医学部附属病院からの新規技術(下肢末梢性血管疾患に対する、生体内吸収性高分子担体と塩基線維芽細胞増殖因子(bFGF)を用いた血管新生療法)に関して、高度医療評価会議は、主として有効性・安全性等にかかる観点から論点整理を進め、それらの結果を申請書に適切に反映させ、その内容については全構成員が確認を行った結果、当該新規技術の申請内容が高度医療として妥当であると判断した。

### 高度医療 評価表 (番号 023)

評価委員 主担当：山本 \_\_\_\_\_  
副担当：金子 \_\_\_\_\_ 副担当：佐藤 \_\_\_\_\_

高度医療の名称	下肢末梢性血管疾患に対する、生体内吸収性高分子担体と塩基線維芽細胞増殖因子 (bFGF) を用いた血管新生療法
申請医療機関の名称	京都大学医学部附属病院
医療技術の概要	京都大学医学部附属病院にて、閉塞性動脈硬化症またはバージャー病による重症下肢虚血患者 10 名に対して、塩基性線維芽細胞増殖因子 (bFGF) 徐放化ゼラチンハイドロゲル 200 µg を腰椎麻酔下に虚血下肢に 40 箇所筋肉内投与を行い、4 週および 24 週後に安全性および下肢血流改善・救肢状況の評価を行う。

【実施体制の評価】 評価者：金子

1. 実施責任医師等の体制	適	・ 不適
2. 実施医療機関の体制	適	・ 不適
3. 医療技術の有用性等	適	・ 不適
コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。) 既に第 - 相臨床試験が行われて有効性、安全性が示唆されている。今回は更に客観的に評価を行おうとするものであり、実施体制には問題はない。		
実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)		

【倫理的観点からの評価】 評価者：佐藤

4. 同意に係る手続き、同意文書	適	・ 不適
5. 補償内容	適	・ 不適
コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。) 臨床研究であること、この方法の(予想される)効果および副作用、この方法以外の治療法、補償内容、など、きちんと説明されている。また、補償内容も適切である。さらに、患者相談の対応についても、CRC が上げられており、適切である。  (患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。)		
実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)		

【プロトコールの評価】 評価者：山本

6. 期待される適応症、効能及び効果	適	・ 不適
7. 予測される安全性情報	適	・ 不適
8. 被験者の適格基準及び選定方法	適	・ 不適
9. 治療計画の内容	適	・ 不適

10 . 有効性及び安全性の評価方法	<input checked="" type="checkbox"/>	・ 不適
11 . モニタリング体制及び実施方法	<input checked="" type="checkbox"/>	・ 不適
12 . 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	<input checked="" type="checkbox"/>	・ 不適
13 . 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	<input checked="" type="checkbox"/>	・ 不適
14 . 患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/>	・ 不適
15 . 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	<input checked="" type="checkbox"/>	・ 不適
16 . 個人情報保護の方法	<input checked="" type="checkbox"/>	・ 不適
コメント欄 : (「不適」とした場合には必ず記載ください。) 研究計画は全般に適切に記載されている。実施体制やモニタリング体制についても、適切に整備されている。患者負担に関して、申請書と研究計画書の記載に齟齬があるため、訂正すること(申請書では、高度医療にかかる費用を患者負担と記載されているが、研究計画書及びIC文書には、研究費で負担と記載されている)。 事務局の指摘により、上記の齟齬は申請者により適切な形に修正された。		
実施条件欄 : (修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)		

【総評】(主担当の先生が御記載ください。)

総合評価	<input checked="" type="checkbox"/>	条件付き適	継続審議	不適
予定症例数	10 例	予定試験期間	登録期間 2 年 試験期間 6 ヶ月	
実施条件 : (修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。)				
コメント欄 (不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。)				



# ゼラチンハイドロゲルの製造から患者への投与までの流れ

## 薬剤部

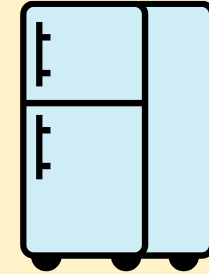
### 無菌特殊製剤室(治験薬GMP施設)



ゼラチンハイドロゲルを製造



凍結乾燥後バイアルに充填



冷蔵庫にて治験薬と同等  
に保管管理  
5 ± 3



## 手術室



1時間前に生理食塩水に溶解した  
b-FGFを加えゼラチンハイドロゲルを  
膨潤させる



患者の搬入



1mLずつ40か所に投与

# bFGF徐放化ゼラチンハイドロゲルによる血管新生療法

## 難治性潰瘍の治癒

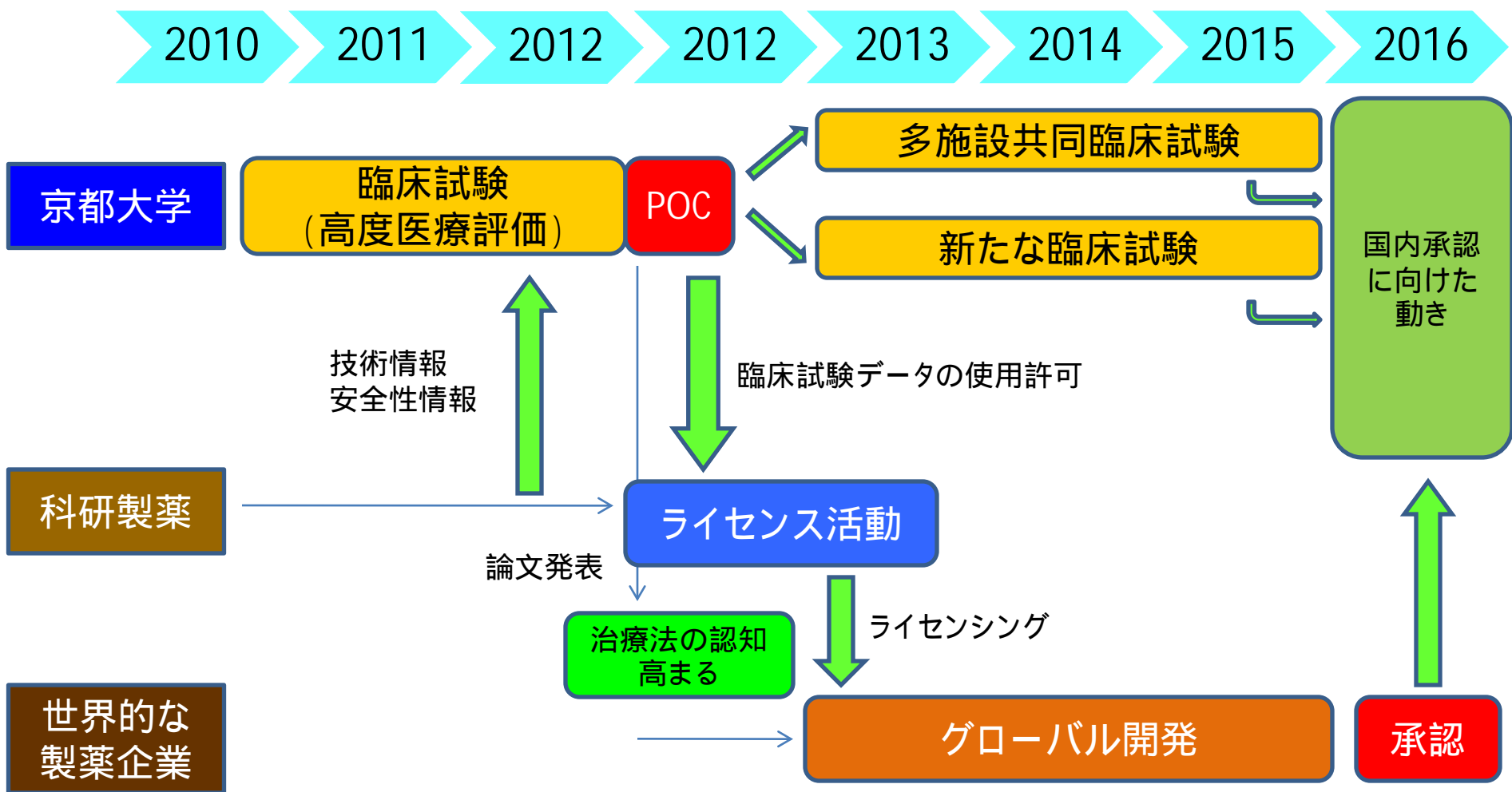


Pretreatment

4 weeks

12 weeks

# b-FGFゼラチンハイドロゲル開発ロードマップ



## 高度医療の内容（概要）

高度医療の名称： 経胎盤的抗不整脈薬投与療法
適応症： 胎児頻脈性不整脈(持続して胎児心拍数 180bpm 以上となる心房粗動又は上室性頻拍に限る。)(詳細は別添参照)
内容： (先進性) 胎児頻脈性不整脈は全妊娠の約 0.1%に認め、その多くは上室性頻脈又は心房粗動である。胎児頻脈性不整脈による胎児の予後は、自然軽快する場合もあれば心不全、胎児水腫、胎児死亡に至る場合もあり様々である。このうち、胎児水腫は30～40%に発症し、特に頻脈が12時間以上持続するものでは胎児水腫の発症率が高いといわれている。胎児水腫に進行した場合は早期娩出等の対応をすることとなるが、その場合でも胎児死亡率は35%と高率である。 従来から、こうした胎児頻脈性不整脈に対しては、母体に対し抗不整脈薬を投与することで治療を行ってきたが、近年になりエビデンスが徐々に構築されてきている。具体的には、胎児水腫非合併例に対しては80%以上で洞調律への変更を認め、胎児水腫合併例であっても有効である報告が多いこと、また、平成20年に取りまとめられた本邦における経胎盤的抗不整脈薬投与に関する全国調査では、全41例のうち、37例で頻脈の改善を認め、また胎児水腫発症の11例においても9例で改善を示していたことなどである。だが、報告により薬剤の使用量や使用量が異なっていること等から、十分な実施体制の下で安全性・有効性を評価していくことはエビデンスを構築する上で重要である。 本高度医療は、母体を介し経胎盤的に胎児へ抗不整脈薬が移行することを機序とした、胎児頻脈性不整脈を治療するほぼ唯一の治療法であり、早期のエビデンスを構築を目指すものである。 (概要) 本治療は入院、24時間の安全性管理のもとで行われる。 まず、胎児心エコーにて、上室性頻脈、心房粗動等の頻脈性不整脈の分類を行う。各胎児診断と胎児水腫の有無により、抗不整脈薬であるジゴキシン、ソタロール、フレカイニド又はその組み合わせの中から使用薬剤及び投与量を選択する。胎児心拍モニタリング下で、母体に対し経口又は経静脈的に抗不整脈薬を投与し、胎盤を介した胎児への効果を期待する。 (効果) 母体を介し経胎盤的に胎児へ抗不整脈薬が移行することで、胎児頻脈性不整脈の消失、早期娩出の減少及び胎児死亡率の低下等が期待される。 (高度医療に係る費用) 本高度医療に係る費用は、母体を介して胎児に投与される抗不整脈薬と薬物血中濃度測定のコストになる。 約7万3千円～約9万2千円 (対象疾患、薬剤投与量により患者負担は異なる。)

## 【別添】

「経胎盤的抗不整脈薬投与療法」の適応症（申請書類より抜粋）

### 適格基準

- 1) 胎児心拍 180bpm 以上が持続するもののうち、以下と診断されるもの  
心房粗動 (atrial flutter AFL)  
上室性頻拍 (supraventricular tachycardia SVT)  
(洞性頻脈や上室性期外収縮 (PAC)、心室性期外収縮 (PVC) は除く)
- 2) 妊娠 22 週以降 37 週未満
- 3) 単胎
- 4) 試験参加について、患者本人 (母体) から文書で同意が得られている。

### 除外規準

- 1) 母体が精神病または、精神症状を合併しており本治療への理解が困難である。
- 2) 母体に対する抗不整脈薬投与が禁忌 (アレルギー等) である。
- 3) 母体に重篤な合併症があり本治療への協力が不可能である。または他に優先すべき治療がある。
- 4) それ以外に主治医が不適格と判断した症例 (生命を脅かす重篤な合併奇形など)。

先進技術としての適格性	
技術の名称	経胎盤的抗不整脈薬投与療法
社会的妥当性 (社会的倫理的問題等)	<input type="checkbox"/> A. 倫理的問題等はない。 <input type="checkbox"/> B. 倫理的問題等がある。
現時点での普及性	<input type="checkbox"/> A. 罹患率、有病率から勘案して、かなり普及している。 <input type="checkbox"/> B. 罹患率、有病率から勘案して、ある程度普及している。 <input type="checkbox"/> C. 罹患率、有病率から勘案して、普及していない。
効率性	既に保険導入されている医療技術に比較して、 <input type="checkbox"/> A. 大幅に効率的。 <span style="border: 1px solid black; padding: 2px;">コメント:比較できる保険医療技術は無い。</span> <input type="checkbox"/> B. やや効率的。 <input type="checkbox"/> C. 効率性は同程度又は劣る。
将来の保険収載の必要性	<input type="checkbox"/> A. 将来的に保険収載を行うことが妥当。なお、保険導入等の評価に際しては、以下の事項について検討する必要がある。 <div style="display: flex; align-items: center; justify-content: center;"> <span style="font-size: 2em; margin-right: 10px;">{</span> <span style="margin-right: 10px;">母体に対する安全性の検討は必要。</span> <span style="font-size: 2em; margin-left: 10px;">}</span> </div> <input type="checkbox"/> B. 将来的に保険収載を行うべきでない。
総評	総合判定: <input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ 否 コメント: 稀少ではあるが、致死率が高い疾患に対する治療法であり、予後の改善が期待出来る。 胎児を対象とする薬物の治療法であるところから、先進性が高く、一方胎児に対する初めての薬物療法であるところから、特に母体の安全性には十分留意が必要。

平成22年4月26日

## 「胎児頻脈性不整脈に対する経胎盤的抗不整脈薬投与（高度医療整理番号017）」の有効性・安全性にかかる評価について

高度医療評価会議

座長 猿田 享男

国立循環器病研究センターから申請のあった新規技術について、本会議で安全性・有効性について検討を行い、その結果を以下の通りとりまとめたので報告いたします。

### 1. 高度医療の概要

高度医療の名称：胎児頻脈性不整脈に対する経胎盤的抗不整脈薬投与
適応症：胎児頻脈性不整脈 なお胎児頻脈性不整脈とは胎児心拍180bpm以上が持続するもので、洞性頻脈を除いたものと定義する。具体的には40分間の胎児心拍数モニタリングや、30分間の胎児エコーにて50%以上に180bpm以上の頻脈が持続する状態と定義し、具体的には 心房粗動（AFL） 上室性頻拍（SVT）とする。
内容： （先進性） 胎児頻脈性不整脈は全妊娠の約0.1%に認める。多くはSVT AFLであり、予後は自然軽快から心不全、胎児水腫、胎児死亡に至るまで様々である。胎児水腫は30-40%に発症し、その死亡率35%である。特に頻脈が12時間以上持続するものでは胎児水腫の発症率が高いといわれる。従来、こうした胎児頻脈性不整脈に対して、母体に対する抗不整脈薬投与を行なう事でこれをコントロールするという治療が古くより行なわれてきた。近年、こうした症例に対する報告が散見され、徐々にエビデンスが構築されつつある。治療のメカニズムは母体を介した胎児への経胎盤的抗不整脈薬投与であり、母体の不整脈治療とは切り離された、胎児自体への薬物治療であることが明白となった。更に、胎児水腫非合併例には80%以上で洞調律への変更を認め、胎児水腫合併例であっても有効である報告が多い。昨年度施行された、本邦における初の胎児頻脈性不整脈胎児治療に関する全国調査では、41例の治療例のうち、37例が頻脈の改善を示している(参考文献(3))。また、胎児水腫11例においても9例改善を示した。つまり、本治療は、胎児頻脈性不整脈患者を治療するほぼ唯一の方法でかつ有効性も確認されているが、同時に、胎児を対象とする特殊性より、現時点では、適応される医療制度が存在せず、さらに高度の専門性を要する施設でのみ可能な先進的医療であると言える。 （概要） 胎児の重症頻性不整脈（上室性頻脈（shortVA type, longVA type）、心房粗動）に対し経胎盤的抗不整脈薬投与を行なう。治療は入院、24時間の安全性管理のもと行なわれ、母体に対し経口または、静脈投与により抗不整脈薬を投与し、胎盤を介した胎児への効果を期待する。使用薬剤は、ジゴキシン、ソタロール、フレカイニド、またはその組み合わせで行なわれ、各胎児診断と、胎児水腫の有無によってその薬剤を選択する。 （効果） 本高度医療の主要有効性評価項目は胎児頻脈性不整脈の消失率である。なお、胎児頻脈性不整脈の消失とは洞調律への変更、あるいは、胎児平均心拍数180bpm以下、とする。さらに、副次有効性評価項目としては、胎児頻脈に起因すると考えられる子宮内胎児死亡、流早産率、胎児頻脈に起因すると考えられる帝王切開率、治療開始前後の心拍数、水腫の改善、新生児不整脈、新生児中枢神経合併症、1ヶ月時の児生存、1ヶ月時の不整脈、1歳半時点での発達、発育、3歳時点での発達、発育とする。これらの、評価項目の詳細についても、研究計画書に記載された。 （高度医療に係る費用） 当該治療に必要な経費として、母体を介して胎児に投与される抗不整脈薬の金額と、血中濃度測定料金（ジゴキシンのみ）によって決定される。他、費用（人件費、設備費等）は発生しない。各患者が使用すると考えられる薬剤量の平均を当先進医療の患者負担とした。医療機関の負担分は発生しない。従って、患者負担となる金額の詳細については以下の通りである。各金額は以下の通りである ジゴシン注 2,638円      ジゴキシン・ジゴシン錠 6,049円 ソタコール錠 23,924円      タンボコール錠 26,751円

申請医療機関	国立循環器病研究センター
協力医療機関	大阪府立母子保健総合医療センター 久留米大学病院

## 2. 高度医療評価会議における審議概要

### 第1回審議

開催日時：平成21年12月9日(水) 10:30～12:30

(第12回 高度医療評価会議)

### 議事概要

国立循環器病研究センターから申請のあった新規高度医療技術(対象疾患：胎児頻脈性不整脈。なお胎児頻脈性不整脈とは胎児心拍180bpm以上が持続するもので、洞性頻脈を除いたものと定義する。)について、申請書を基に、安全性・有効性等に関する評価が行われた。

その結果、当該技術を「条件付き適」として了承し、本会議より指摘された条件が適切に反映されたことが確認されれば、了承とし、先進医療専門家会議に報告することとした。

## 3. 本会議および会議終了後におけるコメント

1. 「実施責任医師等の体制」使用経験のある施設との連携体制、小児循環器医を実施者に加える事(村上構成員)
2. 「医療技術の有用性等」ジゴキシンの早期適応拡大について、ジゴキシ単独、ソタロール単独の臨床試験を先行させる事について(村上構成員)
3. 「患者同意説明文書」の上室性頻拍 心房粗動などの用語をわかりやすく変更(田島構成員)
4. 「患者同意説明文書」スケジュール表にある縦軸、横軸をわかりやすく記載(田島構成員)
5. 「患者同意説明文書の」別紙を本文にくみこむ(田島構成員)
6. 「患者同意説明文書の」保険適応 保険適用等の記載を修正する(田島構成員)
7. 「予期される安全性情報について」禁忌薬剤について(会議内：補償について、母体の副作用モニタリングについて)(竹内構成員)
8. 「治療計画の内容」各治療域 症例数設定(竹内構成員)
9. ソタロール、フレカイニドの使用上に注意点として、「使用中に胎児が死亡したという報告がある」という記載がある事に対し、両薬剤を使用中にどのような安全対策を施すのかを研究計画書に具体的かつ明確に記載する必要があると考えます。(村上構成員)
10. 本試験計画(適格規準)に従うと、ジゴキシ単無効例において、ソタロールあるいはフレカイニドを投与する時期が正期産である妊娠37週以降となる症例が生じることになります。適格規準あるいは除外規準の見直しが必要であると考えます。(村上構成員)

## 4. 指摘事項を踏まえた申請書の変更内容

別紙、回答文書及び新旧対照表参照。



## 5 . 高度医療評価会議での検討結果

国立循環器病研究センターからの新規技術(胎児頻脈性不整脈に対する経胎盤的抗不整脈薬投与)に関して、高度医療評価会議は、主として有効性・安全性等にかかる観点から論点整理を進め、それらの結果を申請書に適切に反映させ、その内容については全構成員が確認を行った結果、当該新規技術の申請内容が高度医療として妥当であると判断した。



<p>価が定まっていない状況であることから、まず本邦での使用経験について1症例ごとの十分な検討を早急に求める。</p>
<p>実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)          上記「不適」項目について、コメントに沿って研究計画書が修正されるのであれば「適」とする</p>

【実施体制の評価】 評価者：加藤

1. 実施責任医師等の体制	適	・ 不適
2. 実施医療機関の体制	適	・ 不適
3. 医療技術の有用性等	適	・ 不適
<p>コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)          経胎盤による薬剤投与であり胎児治療としては侵襲が低く、また今までの報告から治療の有効性が高いと推測される。          頻脈性不整脈は継続すると、胎児心不全、胎児水腫、胎児死亡に至ります。          胎児水腫の発症は約40%といわれており、胎児水腫が発症した場合、胎児治療をしない場合は早期娩出となり、その場合の死亡率は35%といわれております。          胎児治療による奏効率は80-90%といわれており、この治療により死亡率は80-90%軽減できると考えられています。しかし、現在それぞれの施設がそれぞれのプロトコルで少数例に行っているため、治療成績が出せず、治療法として確立できていません。          今回の申請はこの問題を解決する意味できわめて重要です。          可能であれば、治療しないコントロールをおくランダム化比較試験が望ましいですが、治療する有益性については専門家の一致した意見があり、また今までの後方視的研究結果から、治療しないコントロールをおくランダム化比較試験は倫理的に許されないと考えます。          薬剤を用いた胎児治療であり、胎児のみならず母体に対する副作用には十分留意して施行することを望みます。</p>		
<p>実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)</p>		

【倫理的観点からの評価】 評価者：田島

4. 同意に係る手続き、同意文書	適	・ 不適
5. 補償内容	適	・ 不適
<p>コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)          本高度医療の対象となる胎児頻脈の分類に関する説明が不十分。          説明文書を本文と別紙に分けているが、その必要は無く、却って別紙を付け忘れる可能性もあって不適切。          (患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。)</p>		
<p>実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)          【治療方法】の項目にある、上室性頻拍の2種類及び心房粗動のそれぞれについて、一般人にも分かり易く説明すること。          【スケジュール表】の項目にある、2つのスケジュール表の縦軸と横軸が、そ</p>		

それぞれ評価項目と評価時期を表したものであることを、表内に明記する。  
別紙「高度医療制度とは」を本文に組み込む。  
「医療保険が適応されない」「保険適応外」「高度医療適応分」といった用語があるが、これらは「適用」が正しいのではないかと。

【プロトコルの評価】 評価者： 竹内

6 . 期待される適応症、効能及び効果	適	・ 不適
7 . 予測される安全性情報	適	・ 不適
8 . 被験者の適格基準及び選定方法	適	・ 不適
9 . 治療計画の内容	適	・ 不適
10 . 有効性及び安全性の評価方法	適	・ 不適
11 . モニタリング体制及び実施方法	適	・ 不適
12 . 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	適	・ 不適
13 . 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	適	・ 不適
14 . 患者負担の内容	適	・ 不適
15 . 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	適	・ 不適
16 . 個人情報保護の方法	適	・ 不適

コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)

7 . 予期される安全性情報について：提出された書類、医薬品インタビューフォームによれば、タンボコール錠は妊婦または妊娠している可能性のある婦人には禁忌となっており、胎児頻脈性不整脈治療と母体への安全性の是非については、高度医療評価会議の意見を仰ぎたい。

9 . 治療計画の内容：ジゴキシン、ソタロール、タンボコールの3剤とも現時点においては、海外でも適応外使用となっており、これら3剤の胎児頻脈性不整脈治療に対する治療方法は、国内外で確立はされていない。本申請では、胎児水腫の有無に関して、short VA SVT, long SVT, AFLの疾患分類について、1P<sup>st</sup>P lineにおけるジゴキシン、ソタロール単剤、併用療法が定義されており、適応される用法・用量が妥当か否かを判断するために、各6治療域（胎児水腫の有無x3疾患分類）において、3例+3例で判断しながら、1P<sup>st</sup>P lineの治療方法確立のためのエビデンスを構築することが適切であると判断します。2P<sup>nd</sup>P line治療方法は、薬剤の増量、レジメンの変更、(7.でのタンボコール使用も含めて)は各参加施設の判断によるとされていますので、何らかの基準を設け、2P<sup>nd</sup>P line治療確立のエビデンスを構築することが重要であると判断します。または、1P<sup>st</sup>P line治療のエビデンス構築に焦点をあて、2P<sup>nd</sup>P line治療へのデータを収集し、新たな高度医療申請へのデータ構築かを、申請されたプロトコルに明記すべきであると判断します。症例数設定に関しては、仮説検定に重点をおくのか、不整脈改善率の推定に重点を置くのかを検討すること。

実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)

上記「不適」となった項目が、コメントにそってプロトコルに反映されていれば「適」とする。

【総評】(主担当の先生が御記載ください。)

総合評価	適 ・ <span style="border: 1px solid black;">条件付き適</span> ・ 不適		
予定症例数	50 症例	予定試験期間	承認日より 5 年間
<p>実施条件 : ( 修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。 )            実施体制の評価、倫理体制の評価、プロトコールの評価で、「不適」とされた項目について、各コメントを考慮に入れ、「適」とすれば、総評としても「適」とする。</p>			
<p>コメント欄 ( 不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。 )</p>			

# 胎児不整脈治療

胎児心拍数↑



胎児仮死へ

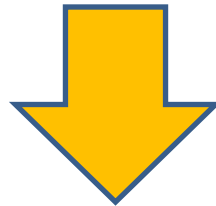
→ そうなる前に...

抗不整脈剤(母体)

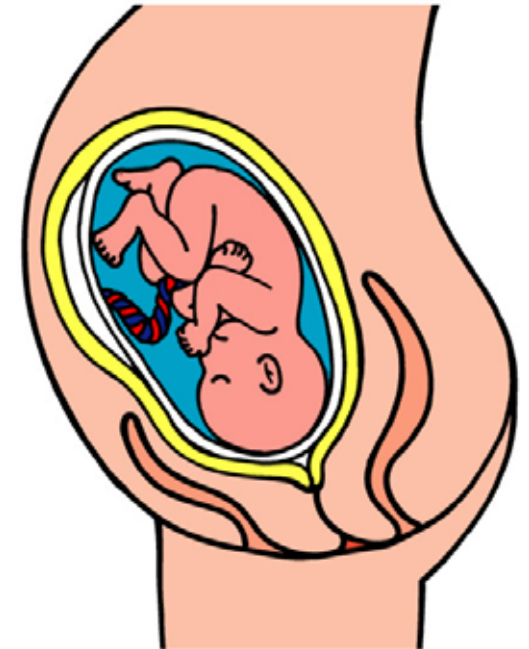


経胎盤的に胎児へ  
心拍数↓

胎児を対象としての  
開発はされていない



新しい医療技術であり、  
すべて適応外になる。  
治験困難(リスクが高い)  
禁忌薬も含まれる。



# 薬事申請に向けてのロードマップ(ジゴキシン, ソタロール)

平成19-21年

平成21-22年

平成22-27年

平成27-30年

平成30-

厚生労働省科学研究費  
「科学的根拠に基づく胎児治療に関する臨床研究」  
(主任:左合治彦(H19-21))

**全国調査**  
後方視的アンケート調査  
「胎児頻脈性不整脈の胎児治療に関する全国調査」

国立循環器病研究センター  
研究開発基盤センター

**臨床研究計画**  
プロトコール作成  
説明同意文書作成  
CRF作成  
施設倫理委員会承認

承認後

高度医療  
評価制度  
申請・審議

多施設共同  
臨床研究

関連学会のサポート  
日本産婦人科学会  
新生児・周産期学会  
胎児治療学会  
小児循環器学会  
など

**ガイドライン作成**

**公知申請**  
(臨床試験結果、  
海外文献等を元に)

**薬事申請**  
(適応拡大)

# 薬事申請に向けてのロードマップ(フレカイニド\*)

平成19-21年

平成21-22年

平成22-27年

平成27-30年

平成30-

厚生労働省科学研究費  
「科学的根拠に基づく胎児治療に関する臨床研究」  
(主任:左合治彦(H19-21))

**全国調査**  
後方視的アンケート調査  
「胎児頻脈性不整脈の胎児治療に関する全国調査」

国立循環器病研究センター  
研究開発基盤センター

**臨床研究計画**  
プロトコール作成  
説明同意文書作成  
CRF作成  
施設倫理委員会承認



承認後

高度医療  
評価制度  
申請・審議

多施設共同  
臨床研究



関連学会のサポート  
日本産婦人科学会  
新生児・周産期学会  
胎児治療学会  
小児循環器学会  
など

禁忌取り扱いの  
見直し\*

ガイドライン作成

A

治験

or

B

公知申請  
(臨床試験結果、  
海外文献等を元に)



薬事申請  
(適応拡大)

\* 妊婦禁忌薬剤であり、学会の呼びかけのもと、禁忌取り扱いの見直しが必要となる。



## 高度医療の内容（概要）

高度医療の名称： 低出力体外衝撃波治療法

適応症： 薬物抵抗性の虚血性心疾患（経皮的冠動脈形成術及び冠動脈バイパス術による改善が困難であるものに限る。）（詳細は別添参照）

内容：

（先進性）

一般に虚血性心疾患に対する治療としては、ニトログリセリン等による薬物治療や経皮的冠動脈形成術<sup>1</sup>又は冠動脈バイパス術<sup>2</sup>等の外科的治療が行われている。

しかしながら、経皮的冠動脈形成術等の外科的治療施行後においても、さらなる経皮的冠動脈形成術や冠動脈バイパス術での改善が困難な心筋虚血領域が残存することがあり、これに対し薬物療法を行っても胸痛発作等の狭心症症状が改善しないことがある。

本治療法はこうした課題に対する先進的な治療法である。

申請者等による基礎研究にて、体外衝撃波腎・尿管結石破砕術<sup>3</sup>で用いられている出力の約10分の1の衝撃波を体外から心臓に照射することにより、心筋内での血管増殖因子の発現が亢進し、血管新生を促進して心筋虚血を改善することが報告された。この基礎研究結果をもとに行った臨床試験では、計15例のいずれにおいても有効性（重症度分類の改善、ニトログリセリン使用量の減少）が示唆されており、また多くの症例において負荷心筋シンチグラムにて治療部位の心筋血流が改善していることが確認された。

本高度医療はこうした知見に基づき、超音波ガイド下及び非開胸下で施行する低侵襲な治療である。

1 K546 経皮的冠動脈形成術

2 K552 冠動脈、大動脈バイパス移植術

3 K768 体外衝撃波腎・尿管結石破砕術（体外衝撃波を用いて尿路結石を破砕する治療法）

（概要）

治療には心臓超音波装置を内蔵した体外衝撃波治療装置を用いる。

まず、患者を仰臥位とする。次に、体外衝撃波治療装置に内蔵した超音波プローブを前胸壁に当て、虚血部位の心筋に照準を合わせ低出力衝撃波（約0.1mJ/mm<sup>2</sup>、尿路結石破砕に用いられている出力の約10分の1）を照射する。照射部位数は虚血範囲に応じて40～70カ所とし、1カ所につき200発照射する。この衝撃波治療を1～2日おきに計3回行い終了とする。

（効果）

体外衝撃波により心筋の慢性虚血領域における血管新生や側副血行路の発達が進められ、心筋血流が改善することにより、狭心症症状の頻度や程度が軽減し患者のQOLが改善することが期待される。

申請者等による臨床試験結果では、計15例のいずれにおいても有効性（重症度分類の改善、ニトログリセリン使用量の減少）が示唆されており、また多くの症例において負荷心筋シンチグラムにて治療部位の心筋血流が改善していることが確認されている。

（高度医療に係る費用）

約30万2千円

（注：医療機関が人件費分を負担するため、患者負担は約26万6千円となる。）

## 【別添】

### 「低出力体外衝撃波治療法」の適応症（申請書類より抜粋）

#### 被験者の適格基準及び選定方法

狭心症患者のうち、冠動脈カテーテルインターベンションや冠動脈バイパス手術による治療が困難な重症症例。具体的には、以下の適応基準をすべて満たし、かつ除外基準のいずれにもあてはまらない症例とする。

循環器内科のカンファランスで症例検討を行う。冠動脈バイパス手術の適応については、心臓血管外科とも検討を行う。

#### 適応基準

- 1) 20歳以上の男女。
- 2) ガイドラインに沿った十分な薬物治療下でも胸痛発作がある。
- 3) 既存の治療法（カテーテルインターベンションや冠動脈バイパス手術）の適応がない、あるいは、リスクに比して十分な改善効果が見込めない症例。
- 4) カナダ心臓協会（CCS）分類で、Class ~ の患者。
- 5) 負荷心筋シンチグラムや MRI などの画像診断で、一過性又は恒常的な虚血が生じる領域が存在する症例。

#### 除外基準

- 1) 心エコーにて目標範囲を同定できない、あるいは治療目標範囲に衝撃波の焦点を合わせることができない患者。
- 2) シリコン等による豊胸移植患者で、患部が衝撃波の通過領域である患者。
- 3) 人工弁（機械弁）置換術後の患者。
- 4) 衝撃波治療前3か月以内に、Q波心筋梗塞をおこしている患者。
- 5) 衝撃波治療前6週間以内に、非Q波心筋梗塞をおこしている患者。
- 6) 最後の冠動脈形成術・冠動脈バイパス手術から1ヶ月経過していない場合。
- 7) 心原性ショックあるいは心不全増悪状態の患者（強心薬・血管拡張薬などの心血管作動薬の持続静注を要する患者）。
- 8) 心エコーあるいは心室造影にて明らかな心内血栓を認める患者。
- 9) 最後の冠動脈造影検査後に狭心症パターンや臨床状態の変化した患者。
- 10) コントロールのできていない糖尿病性網膜症（活動性の眼底出血を認める症例）。
- 11) 悪性腫瘍が併存する場合、あるいは過去5年以内に悪性腫瘍の手術を受けている場合。

先進技術としての適格性	
技術の名称	低出力体外衝撃波治療法
社会的妥当性 (社会的倫理的 問題等)	<input type="checkbox"/> A. 倫理的問題等はない。 <input type="checkbox"/> B. 倫理的問題等がある。
現時点での 普及性	<input type="checkbox"/> A. 罹患率、有病率から勘案して、かなり普及している。 <input type="checkbox"/> B. 罹患率、有病率から勘案して、ある程度普及している。 <input checked="" type="checkbox"/> C. 罹患率、有病率から勘案して、普及していない。
効 率 性	既に保険導入されている医療技術に比較して、 <input type="checkbox"/> A. 大幅に効率的。 <input type="checkbox"/> B. やや効率的。 <input checked="" type="checkbox"/> C. 効率性は同程度又は劣る。
将来の保険収 載の必要性	<input checked="" type="checkbox"/> A. 将来的に保険収載を行うことが妥当。なお、保険導入等の評価に際しては、以下の事項について検討する必要がある。 <div style="border: 1px solid black; padding: 5px; margin: 5px 0;">           PCI、CABG との併用にあたっては、その適応となる条件を十分に検討する必要がある。また、主たる治療法とはなりにくいので、本治療法の位置付けをどう考えるかが重要なポイントと考える。         </div> <input type="checkbox"/> B. 将来的に保険収載を行うべきでない。
総 評	総合判定： <input checked="" type="checkbox"/> 適    ·    否 コメント： (1) PCI、CABG の可能な領域と衝撃波治療の適応となる領域が混在する症例では、衝撃波治療のみを行うのは、予後に危険性がある。申請医療機関からの追加情報では、それらの混在する領域では PCI、CABG を優先するが、その適応の判断は循環器内科医及び心臓血管外科医の双方の意見により検討するとある。このような体制により、適応判定が十分に検討されることが重要であると考えられる。 (2) 主要評価項目については、ニトログリセリンの使用量が挙げられているが、その他の狭心症治療薬を併用する場合、主要評価項目としてのニトログリセリンの使用量に影響を及ぼすと考えられる。申請医療機関からの追加情報では、その他の狭心症治療薬の種類も投与量も変更しないが、利尿薬の投与量を微調整する場合があると言っている。その他の薬剤の影響を除外しつつ、主要評価項目についての評価が適切に行われることが重要であると考えられる。

**「重症虚血性心疾患に対する低出力体外衝撃波治療法（高度医療整理番号 008）」の  
有効性・安全性にかかる評価について**

高度医療評価会議

座長 猿田 享男

東北大学病院から申請のあった下記新規技術について、本会議で安全性・有効性について検討を行い、その結果を別紙のとおりとりまとめたので報告いたします。

**1．高度医療の概要**

高度医療の名称：重症虚血性心疾患に対する低出力体外衝撃波治療法	
適応症：重症虚血性心疾患	
<p>内容：</p> <p>（先進性） 超音波ガイド下に非開胸下で施行することができるため、他の治療法に比べて極めて低侵襲であり、患者の肉体的負担が低い。また、低侵襲的な治療であることから、繰り返し行うことができる。</p> <p>（概要） 低出力の衝撃波を体外から心臓に照射することにより、血管新生を促進して心筋虚血を改善する治療法。狭心症症状の頻度や程度が軽減し、生活の質(QOL)の向上が期待される。治療に際して麻酔や手術が不要であり、極めて低侵襲的である。</p> <p>（効果） 心筋の虚血領域において、血管新生が促進されて心筋血流が改善することにより、狭心症症状の頻度や程度が軽減し、患者の QOL が向上することが期待される。</p> <p>（高度医療に係る費用） 約 30 万円</p>	
申請（調整）医療機関	東北大学病院
協力医療機関	なし

**2．高度医療評価会議における審議概要**

## 1) 第 1 回審議

開催日時：平成 21 年 5 月 12 日(火) 10:00～12:00 (第 7 回高度医療評価会議)

## 議事概要

東北大学病院から申請のあった新規高度医療技術（対象疾患：重症虚血性心疾患）について、申請者からの申請書を基に、安全性・有効性等に関する評価が行われた。

その結果、当該技術を「継続審議」とし、本会議より指摘された条件を適切に反映し、再度高度医療評価会議にて審議することとした。

## 本会議での指摘事項

### 1．倫理面に関する指摘事項

患者相談等の対応に関する記載を修正すること。

説明同意文書の必須項目に定める、  
・ ・ ・ ・ ・ 及び を追加または的確に記載すること。

CCS 分類に関する説明を同意書内で記載すること。

補償内容に関する記載を適切に修正すること。

### 2．研究計画に関する指摘事項

新しい計画として研究計画書を作成し、倫理審査委員会の承認を得るのが適切であること。

申請書には研究デザインの記載がないため、どのようなデザインで試験を行うのかについて記載すること。

有効性・安全性の評価方法について主要評価項目を適切に設定すること。

有効性・安全性を確認するために必要な症例数を、生物統計学的設定根拠に基づいて設定する必要があること。

### 3．その他実施体制などに関する指摘事項

データのモニタリングに関して具体的に記載すること。

補償について倫理面でも指摘されているが、適切な補償(医療行為を含む)がなされる旨を申請書にも記載すること。

利益相反について、試験機器の開発に、本研究者が関与しているのかどうかなどについて記載すること。

## 第1回審議を踏まえた申請書の変更内容

別紙新旧対応表参照。

## 2) 第2回審議

開催日時：平成22年2月25日(木) 15:00～17:00(第14回高度医療評価会議)

### 議事概要

東北大学病院から申請のあった新規高度医療技術(対象疾患：重傷虚血性心疾患)について、指摘事項について修正した申請書を基に、安全性・有効性等に関する再評価が行われた。

その結果、当該技術を「条件付き適」とし、本会議より指摘された条件が適切に反映されたことが確認されれば、了承とし、先進医療専門家会議に報告することとした。

本会議での指摘事項

【倫理的観点からの評価】

倫理審査委員会に関する説明が抜けている。  
患者相談等の対応整備が十分でない。

【プロトコールの評価】

対照群をおかない single arm trial デザインであり、主要及び副次評価項目は治療前の状態と治療後 3 ヶ月目以降の状態の比較とされている。本デザイン及び評価項目については妥当と考える。しかし、症例数設定は以前に実施された 15 例の試験における治療群と対照群との差を基に計算されており、本試験における効果判定とは異なる推定方法である。本試験の場合、治療前の状態におけるニトログリセリン使用量の信頼区間をベースに症例数を設定すべきではないか。(その結果、症例数が減少すれば非常に望ましい)

本試験は、これから新たに始められるもののため、今までの経験症例数を本試験に追加して解析することは望ましくない。従って、実施症例数は、症例数設定の人数とすべきである。

症例報告書に、主要評価項目であるニトログリセリン使用量、副次評価項目である CCS クラススコアを記載する箇所が見あたらない。また、身体所見の中の「その他の所見」や 6 分間歩行の中の「その他の症状」が具体的にどのような内容を指すのかが漠然としているなど、データが適切に収集できない可能性がある。少なくとも主要および副次評価項目に関わるデータについては適切に収集できるよう改訂の必要性がある。

有害事象発生報告に使用する様式を作成すること。

第 2 回審議を踏まえた申請書の変更内容

別紙回答文書及び新旧対応表参照。

### 3 . 高度医療評価会議での検討結果

東北大学病院からの新規技術（重症虚血性心疾患に対する低出力体外衝撃波治療法）に関して、高度医療評価会議は、主として有効性・安全性等にかかる観点から以上の通り論点整理を進め、それらの結果を申請書に適切に反映させ、その内容については全構成員が確認を行った結果、当該新規技術の申請内容が高度医療として妥当であると判断した。

**高度医療 評価表 (番号 008)**

評価委員 主担当：山本  
副担当：猿田 副担当：田島 技術委員：

高度医療の名称	重症虚血性心疾患に対する低出力体外衝撃波治療法
申請医療機関の名称	東北大学病院 (協力医療機関は括弧で記載。)
医療技術の概要	薬物抵抗性の重症虚血性心疾患患者(カテーテルインターベンションや冠動脈バイパス術の非適応患者)に対して、心筋の虚血領域に体外より低出力衝撃波を照射することにより、心筋血流の改善・症状の改善を期待する治療。

**【技術の評価】 評価者：猿田**

1. 安全性	適・不適
2. 有用性	適・不適
3. 成熟度	適・不適
4. 期待される適応症、効能及び効果	適・不適
コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)	
実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)	

**【実施体制の評価】 評価者：山本**

5. 実施責任医師等の体制	適・不適
6. 緊急時の対応が可能な体制	適・不適
7. 医療安全対策に必要な体制	適・不適
8. 臨床研究に関する倫理指針に適合する体制	適・不適
9. 医薬品・医療機器の管理体制、入手方法等	適・不適
コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。) H17年に倫理審査委員会の承認を得ているため、H20年7月改訂告示以前の「臨床研究に関する倫理指針」への適合性を検討し、「適」と評価した。	
実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)	

【倫理的観点からの評価】 評価者：田島

10．同意に係る手続き、同意文書	適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
11．補償内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ 不適
<p>コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)</p> <p>説明文書に記入すべき必須項目に欠落がある。説明内容に分かりにくい点がある。 (患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。)</p>	
<p>実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)</p> <p>説明文書の必須項目中、 、 、 ～ 、 及び を追加または的確に記載する。治療対象者の適格基準の4項目目について、「Class ～」の内容が分かるように記載する。 同意文書に補償内容の項目を追加する。</p>	

【プロトコールの評価】 評価者：山本

12．倫理審査委員会の承認	(コメント参照)
13．予測される安全性情報	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ 不適
14．被験者の適格基準及び選定方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ 不適
15．治療計画の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ 不適
16．有効性及び安全性の評価方法	適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
17．モニタリング体制及び実施方法	適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
18．被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
19．試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
20．患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ 不適
21．起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
22．個人情報保護の方法	適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
<p>コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)</p> <p>H17年倫理審査委員会承認時の実施計画書と今回の申請書の記載に若干の齟齬がみられる。実施計画書には有効性評価項目が明記されていない。今回の申請書には明記されているが、その根拠が示されていない。実施計画書では、封筒法を用いたクロスオーバー法で予定症例数を30名としているが、申請書には研究デザインの記載がなく、予定症例数は115名(うち16名が既に実施)とされている。また、実施計画書には「補償はない」と記載されている(申請書にも「賠償責任保険による補償」と記載されているため、補償はないのかもしれない)。有効性、安全性の評価方法に関しては、クロスオーバー法での実施を踏まえた統計解析方法を含めた評価方法の記載が必要(生物統計家へのコンサルトが望ましい)。有害事象発現時の対処と補償(賠償?)に関する具体的記載も必要。データのモニタリング及び保存管理をどのように実施するのか、個人情報保護の観点も含め、具体的な記載が必要。利益相反についても記載が必要。</p>	



実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)

1. 上記「不適」項目について実施計画書の整備を行うこと。
2. 改訂された実施計画書を倫理審査委員会に提示し、承認を得ること。

【総評】(主担当の先生が御記載ください。)

総合評価	適	・	条件付き適	・	不適
予定症例数	115名	予定試験期間	H17年10月～H22年9月末まで		
実施条件：(修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。) 「倫理的観点の評価」および「プロトコールの評価」の実施条件を参照のこと。					
コメント欄(不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。) 重症虚血性心疾患患者に対する低侵襲の新規医療技術であり、これまでの検討を見る限り、一定の効果が期待される。予定症例数も多数であり、確実に実施できれば有効性・安全性の評価を十分行える可能性が高いため、質の高い研究成果を得るために、実施計画書の整備を十分に行って頂きたい。					

審議の結果、次回以降の高度医療評価会議にて確認することとした。

## 高度医療 再評価表 (番号 008 )

評価委員 主担当：山本  
副担当：猿田 副担当：田島

高度医療の名称	重症虚血性心疾患に対する低出力体外衝撃波治療法
申請医療機関の名称	東北大学病院
医療技術の概要	薬物抵抗性の重症虚血性心疾患患者(カテーテルインターベンションや冠動脈バイパス術の非適応患者)に対して、心筋の虚血領域に体外より低出力衝撃波を照射することにより、心筋血流の改善・症状の改善を期待する治療。

## 【実施体制の評価】 評価者：猿田

1. 実施責任医師等の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
2. 実施医療機関の体制	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
3. 医療技術の有用性等	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)	
実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)	

## 【倫理的観点からの評価】 評価者：田島

4. 同意に係る手続き、同意文書	<input type="checkbox"/> 適 ・ <input checked="" type="checkbox"/> 不適
5. 補償内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。) の倫理審査委員会に関する説明が抜けている。 患者相談等の対応整備が十分でない。 (患者相談等の対応が整備されているか、についても記載下さい。)	
実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。) の倫理審査委員会に関する説明を記入する。 患者相談等の対応窓口として、担当医の連絡先のみならず、事務局の窓口も設置して記入する。	

【プロトコルの評価】 評価者：山本 \_\_\_\_\_

6 . 期待される適応症、効能及び効果	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
7 . 予測される安全性情報	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
8 . 被験者の適格基準及び選定方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input checked="" type="checkbox"/> 不適
9 . 治療計画の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
10 . 有効性及び安全性の評価方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
11 . モニタリング体制及び実施方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
12 . 被験者等に対して重大な事態が生じた場合の対処方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
13 . 試験に係る記録の取扱い及び管理・保存方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input checked="" type="checkbox"/> 不適
14 . 患者負担の内容	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
15 . 起こりうる利害の衝突及び研究者等の関連組織との関わり	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適
16 . 個人情報保護の方法	<input checked="" type="checkbox"/> 適 ・ <input type="checkbox"/> 不適

コメント欄：(「不適」とした場合には必ず記載ください。)

- Y 対照群をおかない single arm trial デザインであり、主要及び副次評価項目は治療前の状態と治療後3ヶ月目以降の状態の比較とされている。本デザイン及び評価項目については妥当と考える。しかし、症例数設定は以前に実施された15例の試験における治療群と対照群との差を基に計算されており、本試験における効果判定とは異なる推定方法である。本試験の場合、治療前の状態におけるニトログリセリン使用量の信頼区間をベースに症例数を設定すべきではないか。(その結果、症例数が減少すれば非常に望ましい)
- Y 本試験は、これから新たに始められるもののため、今までの経験症例数を本試験に追加して解析することは望ましくない。従って、実施症例数は、症例数設定の人数とすべきである。
- Y 症例報告書に、主要評価項目であるニトログリセリン使用量、副次評価項目であるCCSクラススコアを記載する箇所が見あたらない。また、身体所見の中の「その他の所見」や6分間歩行の中の「その他の症状」が具体的にどのような内容を指すのかが漠然としているなど、データが適切に収集できない可能性がある。少なくとも主要および副次評価項目に関わるデータについては適切に収集できるよう改訂の必要性がある。
- Y 有害事象発生報告に使用する様式を作成すること。

実施条件欄：(修正すれば適としてよいものは、その内容を記載ください。)

上記の指摘を修正すること。

【総評】(主担当の先生が御記載ください。)

総合評価	適	条件付き適	継続審議	不適
予定症例数	130 例	予定試験期間	5 年間	
実施条件 : ( 修正すれば適となる場合は、修正内容を記載ください。) 上記で指摘された内容を修正すること。				
コメント欄 ( 不適とした場合は、その理由を必ず記載ください。)  前回の指摘に対しておおむねよく改訂されている。症例数設定については、統計家とよく相談していただきたい。症例報告書については、データ収集に関わる重要な点であり、本試験が 5 年間という長期にわたって実施されるため、データ収集に不備がでないためにも、研究開始前に十分整えて頂きたい。				

# 重症虚血性心疾患に対する 低出力体外衝撃波治療法

代替治療法のない重症虚血性心疾患が対象

低出力の衝撃波を虚血心筋に照射 → 血管新生

↓  
虚血の改善



# 薬事承認までのロードマップ

「重症虚血性心疾患に対する  
低出力対外衝撃波治療法」

臨床研究

有効性・安全性の評価

治 験

薬事承認

高度医療  
実施期間

平成22～  
26年度

平成27  
年度以降

1. 医科

新たな保険適用 区分A2(特定包括)(特定の診療報酬項目において包括的に評価されているもの) 保険適用開始年月日:平成22年6月1日

業事法承認番号	販売名	保険適用希望者	特定診療報酬算定医療機器の区分
21100BZZ00571000	携帯型X線撮影装置 PF - 21	アールテック株式会社	診断用X線装置
21500BZY00051000	カフレータシリーズ	フィリップス・レスピロニクス合同会社	排痰補助装置
21600BZZ00538000	インバータ式回診用X線装置 MC - 125	アールテック株式会社	診断用X線装置
218AIBZX00041000	耳鼻科専用X線装置 ROL - 125	アールテック株式会社	診断用X線装置
219AIBZX00111000	インバータ式回診用X線装置 Beetle MC - 1000	アールテック株式会社	診断用X線装置
22200BZX00111000	人工呼吸器ANSWER(アンサー)	株式会社コーケン	人工呼吸器
22200BZX00146000	スパイロシフト SP - 370 COPD肺Per	株式会社フクダ産業	電子スパイロメータ
22200BZX00546000	ダイナスコープ 8000シリーズ DS - 8500システム	フクダ電子株式会社	モニタ
22200BZX00553000	メデュマット・スタンダードa(アシスト)	株式会社ワコー商事	人工呼吸器
22200BZX00594000	ベッドサイドモニタ PVM - 2701	日本光電工業株式会社	モニタ
222AABZX00002000	多機能心電計 ECG Explorer 500A	三栄メディスン株式会社	心電計( )
222ABBZX00005000	スパイグラス内視鏡セット	ボストン・サイエンティフィック ジャパン株式会社	内視鏡
222ABBZX00067000	EVIS LUCERA 超音波ガストロピデオスコープ OLYMPUS GF TYPE UCT260	オリンパスメディカルシステムズ株式会社	内視鏡
222ABBZX00068000	EVIS LUCERA 大腸ピデオスコープ OLYMPUS PCF TYPE PQ260シリーズ	オリンパスメディカルシステムズ株式会社	内視鏡
222ABBZX00081000	耳鼻咽喉ピデオスコープ OLYMPUS ENF TYPE Y0016	オリンパスメディカルシステムズ株式会社	内視鏡
222ABBZX00094000	日立MRイメージング装置 AIRIS Vento LT	株式会社日立メディコ	MRI装置
222ABBZX00096000	大腸ピデオスコープ OLYMPUS CF TYPE Y0023 -	オリンパスメディカルシステムズ株式会社	内視鏡
222ABBZX00110000	大腸ピデオスコープ OLYMPUS PCF TYPE Y0021	オリンパスメディカルシステムズ株式会社	内視鏡
222ADBZI00003000	アイキューブ	エレックス株式会社	超音波検査装置( )
222ADBZX00054000	FUJIFILM 超音波画像診断装置 FAZONE CB	富士フイルム株式会社	超音波検査装置( )
222AFBZX00056000	プロマックス 3D Max	株式会社ジーシー	CT撮影装置
222AGBZX00099000	ソリッドファイバースコープ MS - 611 ハイエンド	ファイバーテック株式会社	内視鏡
222AIBZX00010000	RHINO LIGHT 光線治療器	東洋メディック株式会社	光線治療器( )
222AIBZX00012000	デジタルラジオグラフィ装置 MG	アールテック株式会社	デジタル撮影装置

新たな保険適用 区分B(個別評価)(材料価格が個別に設定され評価されているもの) 保険適用開始年月日:平成22年6月1日

薬事法承認番号	販売名	保険適用希望者	決定機能区分	償還価格(円)
15400BZZ00906A01	ヘモソーパーCHS	クラレメディカル株式会社	048 吸着式血液浄化用浄化器(肝性昏睡用又は薬物中毒用)	¥60,000
16200BZZ01897A01	レナサポートPA	旭化成クラレメディカル株式会社	040 人工腎臓用特定保険医療材料(回路を含む。)(4)持続緩徐式血液濾過器	¥25,800
16300BZZ00991A01	サルフラックスFP	旭化成クラレメディカル株式会社	044 血漿交換用血漿分離器	¥28,300
16300BZZ00991A02	プラズマキュアーPE	旭化成クラレメディカル株式会社	044 血漿交換用血漿分離器	¥28,300
20300BZZ00626A01	ブラソーパーBRS	クラレメディカル株式会社	046 血漿交換療法用特定保険医療材料(1)血漿交換用ディスク-サフル選択的血漿成分吸着器(劇症肝炎用)	¥70,600
21200BZZ00555000	婦人科キット	株式会社ホギメディカル	029 吸引留置カテーテル(2)受動吸引型 フィルム・チューブドレーンチューブ型	¥923
21200BZZ00569000	整形外科キット	株式会社ホギメディカル	029 吸引留置カテーテル(2)受動吸引型 フィルム・チューブドレーンチューブ型	¥923
21200BZZ00569000			075 固定用金属線(1)金属線 ワイヤ-	1cm当たり¥20
21500BZY00346000	ST360 脊椎固定システム	ジンマー株式会社	064 脊椎固定用材料(6)脊椎スクリュー(可動型)	¥112,000
21700BZY00201000	ASD閉鎖セット	日本ライフライン株式会社	131 経皮的心房中隔欠損閉鎖セット	¥809,000
21700BZZ00292A01	レナサポートPS	旭化成クラレメディカル株式会社	040 人工腎臓用特定保険医療材料(回路を含む。)(4)持続緩徐式血液濾過器	¥25,800
21900BZZ00005000	胸部外科キット	株式会社ホギメディカル	029 吸引留置カテーテル(2)受動吸引型 フィルム・チューブドレーンチューブ型	¥923
21900BZZ00005000			075 固定用金属線(1)金属線 ワイヤ-	1cm当たり¥20
22100BZX01019000	CVレガフォースEX	テルモ株式会社	021 中心静脈用カテーテル(1)標準型 マルチル-メンイセルジンガー型	¥7,530
22200BZI00009000	パラダイムDR	日本ライフライン株式会社	117 埋込型除細動器(3)埋込型除細動器(型)	¥3,210,000
22200BZI00010000	パラダイムVR	日本ライフライン株式会社	117 埋込型除細動器(2)埋込型除細動器(型)	¥3,100,000
22200BZX00115A01	PTAバルーンカテーテルS5	株式会社カネカ	133 血管内手術用カテーテル(3)PTAバルーンカテーテル 一般型イ特殊型	¥108,000
22200BZX00547000	NexGen LPS - FLEX ポーラス フェモラル	ジンマー株式会社	058 人工膝関節用材料(1)大腿骨側材料 全置換用材料( )	¥309,000
22200BZX00555000	エシュロンTi	スミス・アンド・ネフュー オートペディックス株式会社	057 人工股関節用材料(2)大腿骨側材料 大腿骨ステム( )	¥557,000
22200BZX00575000	トリアスロン ロープロファイル脛骨トレイ	日本ストライカー株式会社	058 人工膝関節用材料(2)脛骨側材料 全置換用材料( )	¥182,000
22200BZX00577000	旭中空糸型血液透析濾過器	旭化成クラレメディカル株式会社	040 人工腎臓用特定保険医療材料(回路を含む。)(5)ヘモグリアフィルター	¥2,790
22200BZX00587000	エンドタック リライアンス SG AFx DF - 4	ボストン・サイエンティフィック ジャパン株式会社	118 埋込型除細動器用カテーテル電極(1)埋込型除細動器用カテーテル電極(シングル)	¥975,000
22200BZX00588000	テリジェン 100 DR DF - 4	ボストン・サイエンティフィック ジャパン株式会社	117 埋込型除細動器(3)埋込型除細動器(型)	¥3,210,000
22200BZX00589000	テリジェン 100 VR DF - 4	ボストン・サイエンティフィック ジャパン株式会社	117 埋込型除細動器(2)埋込型除細動器(型)	¥3,100,000
22200BZX00590000	エンドタック リライアンス G AFx DF - 4	ボストン・サイエンティフィック ジャパン株式会社	118 埋込型除細動器用カテーテル電極(1)埋込型除細動器用カテーテル電極(シングル)	¥975,000
22200BZX00591000	コグニス 100 DF - 4	ボストン・サイエンティフィック ジャパン株式会社	144 両室ヘーシング機能付き埋込型除細動器	¥4,190,000
22200BZX00592000	エンドタック リライアンス G DF - 4	ボストン・サイエンティフィック ジャパン株式会社	118 埋込型除細動器用カテーテル電極(1)埋込型除細動器用カテーテル電極(シングル)	¥975,000
22200BZX00593000	エンドタック リライアンス SG DF - 4	ボストン・サイエンティフィック ジャパン株式会社	118 埋込型除細動器用カテーテル電極(1)埋込型除細動器用カテーテル電極(シングル)	¥975,000
22200BZX00598000	Merci マイクロカテーテル	センチュリーメディカル株式会社	010 血管造影用マイクロカテーテル(1)オーバー-ザワイヤー 選択的アプローチ型 アフロードあり	¥50,300
22200BZX00599000	Merci バルーン付ガイディングカテーテル	センチュリーメディカル株式会社	133 血管内手術用カテーテル(6)オクリュージョンカテーテル 特殊型	¥131,000
22200BZX00603000	CPS デュオ	セント・ジュード・メディカル株式会社	012 血管造影用ガイドワイヤー(3)微細血管用	¥17,600
222ABBZX00075000	エクストラクションバルーンカテーテル プラス	ゼオンメディカル株式会社	136 胆道結石除去用カテーテルセット(2)経内視鏡バルーンカテーテル トリフル-メンの一部	

当該製品は、決定機能区分を満たす医療材料の一部であるため当該製品単体では算定できない。



新たな保険適用 区分C1(新機能)(新たな機能区分が必要で、技術は既に評価されているもの) 保険適用開始年月日:平成22年6月1日

薬事法承認番号	販売名	保険適用希望者	類似機能区分	暫定価格 (円)
22100BZX00891000	Cool Path アブレーションシステム	セント・ジュード・メディカル株式会社	123 経皮的カテーテル心筋焼灼術用カテーテル	¥175,000
22100BZX00994000	Cool Path Duo イリゲーションカテーテル	セント・ジュード・メディカル株式会社	123 経皮的カテーテル心筋焼灼術用カテーテル	¥175,000
22100BZX00954000	セルシウス サーマコール	ジョンソン・エンド・ジョンソン株式会社	123 経皮的カテーテル心筋焼灼術用カテーテル	¥175,000
22100BZX01009000	オプティセンス Optim	セント・ジュード・メディカル株式会社	113 埋込式心臓ペースメーカー用リード(1)リード 経静脈リードA標準型	¥155,000
22100BZX01037000	Quattrode リード	セント・ジュード・メディカル株式会社	113 埋込式心臓ペースメーカー用リード(2)アダプター	¥35,000
22200BZX00154000	プライムアドバンス	日本メドトロニック株式会社	087 埋込型脳・脊髄電気刺激装置(2)疼痛除去用(8極用)	¥1,460,000
22200BZX00155000	脊髄刺激装置用リードアダプタ	日本メドトロニック株式会社	113 埋込式心臓ペースメーカー用リード(2)アダプター	¥35,000

2. 歯科

新たな保険適用 区分A2(特定包括)(特定の診療報酬項目において包括的に評価されているもの) 保険適用開始年月日:平成22年6月1日

薬事法承認番号	販売名	保険適用希望者	特定診療報酬算定医療機器の区分
222AFBZX00056000	プロマックス 3D Max	株式会社ジーシー	歯科パノラマ断層撮影デジタル映像化処理装置
222AGBZX00096000	パックスラック D	株式会社近畿レントゲン工業社	歯科パノラマ断層撮影デジタル映像化処理装置
222AGBZX00096000			パノラマ断層撮影装置
222AGBZX00096A01	パントリア 7D	株式会社近畿レントゲン工業社	歯科パノラマ断層撮影デジタル映像化処理装置
222AGBZX00096A01			パノラマ断層撮影装置

新たな保険適用 区分B(個別評価)(材料価格が個別に設定され評価されているもの) 保険適用開始年月日:平成22年6月1日

薬事法承認番号	販売名	保険適用希望者	決定機能区分	償還価格(円)
221AKBZX00130000	ベルテックス CP	白水貿易株式会社	043 義歯床用アクリック即時硬化樹脂(粉末)	1g¥28
221AKBZX00130000			044 義歯床用アクリック即時硬化樹脂(液)	1mL¥19
221AKBZX00131000	ベルテックス リペア	白水貿易株式会社	043 義歯床用アクリック即時硬化樹脂(粉末)	1g¥28
221AKBZX00131000			044 義歯床用アクリック即時硬化樹脂(液)	1mL¥19
221AKBZX00132000	ベルテックス RS	白水貿易株式会社	041 義歯床用アクリック樹脂(粉末 JIS適合品)	1g¥5
221AKBZX00132000			042 義歯床用アクリック樹脂(液 JIS適合品)	1mL¥4
221AKBZX00133000	ベルテックス ハイインパクト	白水貿易株式会社	041 義歯床用アクリック樹脂(粉末 JIS適合品)	1g¥5
221AKBZX00133000			042 義歯床用アクリック樹脂(液 JIS適合品)	1mL¥4
222ADBZX00051000	オーソドンティックワイヤA	トミー株式会社	016 矯正用線(丸型)	1本¥380
222ADBZX00051000			017 矯正用線(角型)	1本¥261
222ADBZX00051000			018 矯正用線(特殊丸型)	1本¥370
222ADBZX00051000			019 矯正用線(特殊角型)	1本¥432
222ADBZX00058000	スーパーコア	サイブロン・デンタル株式会社	049 歯科充填用材料	1g¥704
222AFBZX00054000	P・D・R・ガラスアイオノマーセメントアリア	株式会社ノリタケデンタルサプライ	047 歯科用合着・接着材料(粉末・液)	1g¥103
222AFBZX00055000	シンシアブレース	株式会社ノリタケデンタルサプライ	004 ダイレクトボンド用ブラケット	1個¥286
222AFBZX00061000	P・Gシルバー	大浦貴金属工業株式会社	012 歯科鑄造用銀合金 第2種(銀60%以上インジウム5%以上 JIS適合品)	1g¥100
222AKBZX00025000	ゴムメタル	株式会社ロッキーマウンテンモリタ	018 矯正用線(特殊丸型)	1本¥370
222AKBZX00025000			019 矯正用線(特殊角型)	1本¥432

## 中医協における今後の検討課題に関する1号側（支払側）の意見

平成22年6月23日

平成24年度診療報酬改定に向けた今後の検討については、①中医協の枠組みで調査・検証すべきもの、②その他の調査を活用して検討を進めるべきもの—とを区分したうえで、検討項目、検討時期等を早急に整理するよう求めたい。

そのうえで、中医協において検討を進めるにあたっては、22年度改定答申・附帯意見で示された項目を前提に、基本診療料のあり方や医療・介護の同時改定に向けた検討項目など優先順位の高いものから、順次、調査・検証等を実施し、改定論議に間に合うよう報告を得ていく必要がある。また、レセプト電子請求を活用して診療行為別点数の算定状況を把握する等、必要なデータを迅速に収集する方向で準備を進めるべきである。

さらに、厚生労働省事務局には、各側意見を踏まえ、早急に検討スケジュールのたたき台を示すことを求めたい。

附帯意見のうち、支払側として特に優先的な調査・検証が必要と考える項目を以下に示す。

### I. 支払側の考え方

#### 附帯意見1「再診料や外来管理加算、入院基本料等の基本診療料について～」

(1) 外来に関わる初・再診料、外来診療料、各種加算（外来管理加算、地域医療貢献加算等）の意義や位置づけを検討すべき。

##### 【主な調査内容】

- ・ 外来管理加算と地域医療貢献加算の算定状況と効果検証

(2) 急性期医療の充実強化や病床の機能分化の推進に資する入院基本料等のあり方ならびに医療機関の特性に応じた加算や特定入院料によるメリハリのつけ方、それらの整理・合理化について検討すべき。

##### 【主な調査内容】

- ・ 一般病棟入院基本料の入院早期加算引上げに伴う影響
- ・ 亜急性期・回復期の病床機能や患者像の実態把握
- ・ 回復期リハビリテーション病棟入院料の算定状況、効果検証
- ・ 救急入院医療に関わる加算、特定入院料充実による影響
- ・ 各種加算の算定状況と創設時の目的と現状比較

#### 附帯意見2「慢性期入院医療の在り方を総合的に検討～」

一般病床における長期入院患者への医療区分・ADL区分に基づく包括評価の導入及び特定患者の定義および特定入院基本料のあり方を検討すべき。

##### 【主な調査内容】

- ・ 一般病床・療養病棟等における長期入院患者の実態把握

- ・有床診療所入院患者の実態把握、有床診療所入院基本料引上げによる影響（病床数、入院期間、医療必要度等）
- ・療養病棟入院基本料の再編に伴う影響（患者像や退院・転棟等の状況）

#### 附帯意見4「～、厳しい勤務実態にある病院勤務医の負担軽減及び処遇改善に係る措置～」

改定の効果や影響の検証結果、国の政策や予算上の措置等の関連情報の提供を受け、負担軽減に向けたさらなる見直しを検討すべき。

##### 【主な調査内容】

- ・医師事務作業補助者の配置状況や勤務医への負担軽減効果
- ・勤務医の負担軽減及び処遇改善に資する具体的計画の実施状況

#### 附帯意見6「看護職員の厳しい勤務実態等を十分把握～」

看護職員の確保・定着、医療安全の確保等に向けた検討をすべき。

##### 【主な調査内容】

- ・看護職員および看護補助職員の勤務実態調査（夜勤等の実態、看護補助者の配置等）
- ・7：1、10：1特別入院基本料および看護補助加算の算定状況

#### 附帯意見10「～DPCの調整係数の廃止・新たな機能評価係数の導入について～」

調整係数から新たな機能評価係数への円滑な置換えを検討するとともに、今回導入が見送られた項目の継続的検討を進める。

##### 【主な調査内容】

- ・新たな機能評価係数導入後の影響

#### 附帯意見11「診療報酬と介護報酬の同時改定に向け、必要な医療・介護サービスが～」

検証部会での検証（在宅医療の実施状況及び医療と介護の連携状況）も含め、医療・介護サービスの連携、患者の療養環境等の実態を把握した上で、▽医療と介護の機能分担と連携、整合性、▽利用者の立場に立ったシームレスなサービス提供、▽サービスの重複・空白部分－等の問題点を整理し、診療報酬・介護報酬体系の整理も含め、早期に診療報酬上の評価の在り方を検討すべき。

##### 【主な調査内容】

- ・医療機関と介護施設等の連携状況（各種加算等の算定状況と効果）
- ・在宅医療・看護のサービス提供に関わる実態調査

#### 附帯意見14「～診療報酬の請求方法や、指導・監査等適切な事後チェック～」

医療費の適正化、事務の効率化、中医協における検討に必要なエビデンスの確保のために、電子請求の全面的な普及を目指し、未コード化傷病名の解消や標準傷病名での請求の徹底など、電子化に対応したレセプト様式の見直しを検討すべき。

#### 附帯意見16「～調査・検証を行うこととする。～(5)後発医薬品の処方・調剤の状況～」

22年度改定で要件を見直した後発医薬品調剤体制加算、新設した後発医薬品使用体制加算について、算定状況、効果や影響等を検証、検討すべき。

## ○附帯意見以外の項目

22年度薬価制度改革の検証については、薬価専門部会において、新薬創出・適応外薬解消等促進加算の検証（財政影響、未承認薬・適応外薬の開発状況等）を制度の進捗状況等を踏まえながら、確実に実施すべき。

## Ⅱ. 診療側の提案に対する意見

診療側の次期診療報酬改定に向けた今後の検討課題に関する提案の中には、中医協以外で議論すべきものや、実態や問題がまだ明らかになっていない項目も含まれている。委員間で現状認識や問題意識を共有しつつ、優先順位を考慮しながらより有効な改善策について議論することに異存はないが、以下の項目については特に慎重な検討が必要であると考ええる。

- ・基本診療料のあり方や内容等について議論することは賛成だが、診療側の提案では、基本診療料の中で「技術」と「モノ」の評価の分離、キャピタル・コストや人件費等の積算根拠の明確化まで含めて具体的に検討すべきとされている。しかしながら、これらの項目については、技術料設定の考え方や基本診療料についての考え方など、様々な検討課題が考えられるため、検討の対象を絞り込むなど、慎重に検討すべき。
- ・ドクターフィーの導入については、診療報酬のあり方に大きな影響を及ぼすため、十分に慎重な検討を図るべき。
- ・地域特性を踏まえた診療報酬の在り方については、現行の地域加算との整合性、見直しを含めて、指標とすべきデータの検討、地域の実態等を精査した上で、地域特性を考慮した診療報酬の在り方について慎重に検討すべき。