

菌状糸肉腫 (CTCL, cutaneous T-cell lymphomaに分類される)

Mycosis Fungoides and the Sezary Syndrome

一般名	商品名	NCI-PDQ(01/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
シクロホファミド	エンドキサン	○	○(CTCLとして)	○	—
chlorambucil	Leukeran tablet	○(プレドニゾンとの併用)	○(other usesで言及)	—	未承認
メトトレキサート	メトトレキサート	○	—	○	—
硫酸ビンブラスチン	エクザール、注射用ビンブラスチン	—	○(序文で記載)	○	—
リン酸フルダラビン	フルダラ	○	○(other usesで言及)	—	—
クラドリピン	ロイスタチン	○	—	—	—
トレチノイン	ベサノイド	—	—	—	—
Bexarotene(synthetic retinoid)	Targretin	○	○(CTCLとして)	○(CTCLとして)	未承認
インターフェロンアルファ	スミフェロン	○(interferon αとして記載)	n.d.	未承認	—
interferon Alfa-n3(ヒト白血球由来)	Alferon-N	○(interferon αとして記載)	○	—	未承認
インターフェロンアルファ-2i	キャンフェロン A、ロフェロン A	○(interferon αとして記載)	○	—	—
インターフェロンアルファ-2b	イントロン A	○(interferon αとして記載)	○	—	—
インターフェロンガンマ-n1	オーガンマ 100	○(interferon γとして記載)	n.d.	未承認	○
interferon gamma-1b	ACTIMMUNE	○(interferon γとして記載)	—	—	未承認
プレドニゾン	プレドニン、プレドニゾン	○(chlorambucilとの併用)	—	—	—
psoralen(PUVA療法として)		○	—	?	未承認
mechlorethamine(nitrogen mustard)	Mustargen for injection	○	—	○	未承認
carmustine(BCNU)	BiCNU for injection	○	○(other usesで言及)	—	未承認
denileukin difitox(IL-2)	Ontak for injection	○	○	○	未承認
131I-labeled murine MoAb	—	○	n.d.	未承認	未承認

AHFS, AMERICAN SOCIETY OF HEALTH-SYSTEM PHARMACISTS DRUG INFORMATION

国立がんセンター中央病院 藤原 作成 2002/11/6

骨肉腫・悪性線維性組織球腫

Osteosarcoma/ Malignant Fibrous Histiocytoma of Bone

一般名	商品名	NCI-PDQ (10/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
シクロホファミド	エンドキサン	○	○ (second line)	—	△ (骨腫瘍として)
イホスファミド	注射用イホマイド	○	○	—	○
メルファラン	アルケラン	—	○ (other uses で)	—	—
メトレキサート	メトレキセート	○ (high dose)	○ (other uses で)	○ (high dose with LV rescue)	△ (肉腫として MTX 100-300)
塩酸ドキソルビシン(アドリア)	アドリアシン	○	○ (序文で言及)	○	○
エトポシド	ベプシド、ラステット	○	—	—	—
シスプラチン	プリプラチン、ランダ	○	○ (other uses で)	—	○
カルボプラチン	パラプラチン	○	—	—	—

AHFS, AMERICAN SOCIETY OF HEALTH-SYSTEM PHARMACISTS DRUG INFORMATION

国立がんセンター中央病院 藤原 作成 2002/11/6

成人軟部肉腫

Adult Soft Tissue Sarcoma

一般名	商品名	NCI-PDQ(03/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
イホスファミド	注射用イホマイド	◎(メスナ併用)	○	-	(骨肉腫で適応)
ダカルバジン	ダカルバジン	◎	○(other uses)	-	-
メトレキサート	メトレキサート	○	-	-(MTX+LVで骨肉腫)	○(メトレキサート・ホリナート)
酒石酸ピノレルビン	ナベルピン	○	-	-	-
塩酸ドキソルビシン(アドリアマ)	アドリアシン	◎	○(序文で)	○	-
イマチニブ	グリベック	○(GIST)	○(other uses)	-	-
Doxorubicin liposome	DOXIL	○	-	-	未承認

AHFS, AMERICAN SOCIETY OF HEALTH-SYSTEM PHARMACISTS DRUG INFORMATION

国立がんセンター中央病院 藤原 作成 2002/11/6

ユーイング腫瘍

Ewing's Family of Tumors (including primitive neuroectodermal tumors (PNET or peripheral neuroepithelioma))

一般名	商品名	NCI-PDQ (10/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
シクロホファミド	エンドキサソ	◎ (VAC/IE)	○	—	△ (骨髄腫として)
イホスファミド	注射用イホマイド	◎ (VAC/IE)	○	—	△ (骨肉腫として)
硫酸ビシクリスチン	オンコピン	◎ (VAC/IE)	○ (other usesで)	—	△ (小児腫瘍として)
塩酸ドキソルピシン (アドリアマ)	アドリアシン	◎ (VAC/IE)	○ (other usesで)	△ (soft tissue and bone sarco)	△ (骨肉腫として)
アクチノマイシンD	コスメゲン	(使用されなくなったとの記述)	(最近は好まれないとの記載)	○	—
エトポシド	ベブシド、ラステット	◎ (VAC/IE)	○ (other usesで)	—	—

AHFS, AMERICAN SOCIETY OF HEALTH-SYSTEM PHARMACISTS DRUG INFORMATION

国立がんセンター中央病院 藤原 作成 2002/11/6

神経芽細胞腫

Neuroblastoma

一般名	商品名	NCI-PDQ(07/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
シクロホファミド	エンドキサン	○	○	○	○
イホスファミド	注射用イホマイド	○	—	—	—
メルファラン	アルケラン	○(移植前処置)	—	—	○
硫酸ビンクリスチン	オンコピン	○	○	○	○
塩酸ドキソルピシン(アドリアマ	アドリアシン	○	○(序文で言及)	○	—
エトポシド	ベプシド、ラステット	○	○	—	—
teniposide	VUMON	○	—	—	未承認
塩酸イリノテカン	カンプト、トポテシン	—	—	—	—
塩酸ノグテカン(topotecan)	ハイカムチン	○(再発時)	—	—	—
シスプラチン	プリプラチン、ランダ	○	○	—	○
カルボプラチン	パラプラチン	○	○	—	—
13-cis-retinoic acid (isotretin	Accutane (Roche)	○(COG high risk)	—	—	未承認
anti-G(D2) MoAb	MSKKCG	○	n.d.	未承認	未承認
131I-MIBG (metaiodobenzu	Giannina Gaslini Children'	○	n.d.	未承認	未承認

AHFS, AMERICAN SOCIETY OF HEALTH-SYSTEM PHARMACISTS DRUG INFORMATION

国立がんセンター中央病院 藤原 作成 2002/11/8

小児横紋筋肉腫

Childhood Rhabdomyosarcoma

一般名	商品名	NCI-PDQ(08/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
シクロホファミド	エンドキサン	◎	○	-	○
イホスファミド	注射用イホマイド	○	○	-	-
硫酸ビンクリスチン	オンコビン	◎	○	○	○
アクチノマイシンD	コスメゲン	◎	○	○	-
エトポシド	ベプシド、ラステット	○	○(other uses)	-	-
塩酸イリノテカン	カンプト、トポテシン	△(under clin evaluation)	-	-	-
塩酸ノギテカン	ハイカムチン	△(under clin evaluation)	-	-	-
カルボプラチン	パラプラチン	○	-	-	-

AHFS, AMERICAN SOCIETY OF HEALTH-SYSTEM PHARMACISTS DRUG INFORMATION

国立がんセンター中央病院 藤原 作成 2002/11/8

ウィルムス腫瘍・小児腎腫瘍

Wilm's Tumor and Other Childhood Kidney Tumors

ウィルムス腫瘍

一般名	商品名	NCI-PDQ (09/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
シクロホファミド	エンドキサン	◎ (メスナ併用)	○ (other uses)	-	-
イホスファミド	注射用イホマイド	○ (再発時)	-	-	-
硫酸ビンクリスチン	オンコピン	◎	○	○	○
塩酸ドキソルビシン(アドリアマ)	アドリアシン	◎	-	○	-
アクチノマイシンD	コスメゲン	◎	○	○	○
エトポシド	ベプシド、ラステット	◎	○	-	-
カルボプラチン	パラプラチン	○ (再発時)	○	-	-

Clear Cell Sarcoma of the Kidney

一般名	商品名	NCI-PDQ (09/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
シクロホファミド	エンドキサン	△ (臨床試験中)	-	-	-
イホスファミド	注射用イホマイド	○	-	-	-
硫酸ビンクリスチン	オンコピン	◎	-	-	-
塩酸ドキソルビシン(アドリアマ)	アドリアシン	◎	-	-	-
アクチノマイシンD	コスメゲン	◎	-	-	-
エトポシド	ベプシド、ラステット	△ (臨床試験中)	-	-	-

Rhabdoid Tumor of the Kidney

一般名	商品名	NCI-PDQ (09/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
シクロホファミド	エンドキサン	△ (臨床試験中)	-	-	-
イホスファミド	注射用イホマイド	○	-	-	-
エトポシド	ベプシド、ラステット	○	-	-	-
塩酸イリノテカン	カンプト、トポテシン	○	-	-	-
シスプラチン	プリプラチン、ランダ	○	-	-	-
カルボプラチン	パラプラチン	△ (臨床試験中)	-	-	-

Neuroepithelial Tumor of the Kidney

一般名	商品名	NCI-PDQ (09/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
Ewing's /PNET protocol (Am J Surg Pathol 25: 133-146, 2001)					

AHFS, AMERICAN SOCIETY OF HEALTH-SYSTEM PHARMACISTS DRUG INFORMATION

国立がんセンター中央病院 藤原 作成 2002/11/6

性腺外胚細胞腫瘍

Extragenital Germ Cell Tumors

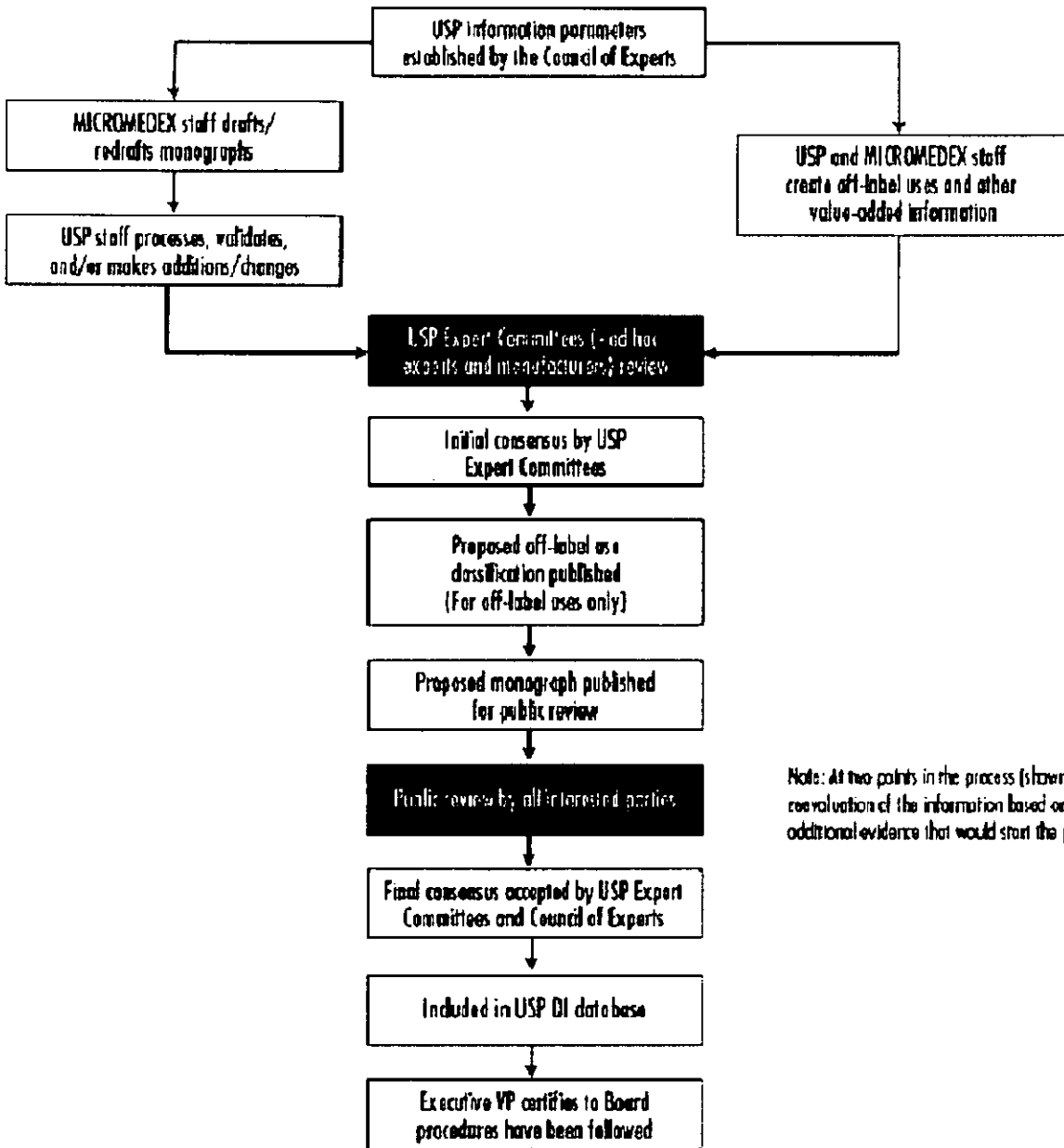
seminoma & non-seminoma (embryonal carcinoma, malignant teratoma, endodermal sinus tumor, choriocarcinoma, mixed germ cell tumor)

一般名	商品名	NCI-PDQ (07/2002)	2002AHFS	FDA	厚生労働省
イホスファミド	注射用イホマイド	○(VIP)	—	—	—
硫酸ビンプラスチン	ニクザール、注射用ビンプラスチン	○(salvage)	○(other uses で記載)	—	—
プレオマイシン	プレオ、油性プレオ	◎(BEP)	○(other uses で記載)	—	—
エトポシド	ベプシド、ラステット	◎(BEP, VIP)	○	—	—
シスプラチン	プリプラチン、ランダ	◎(BEP, VIP)	○	—	—
カルボプラチン	パラプラチン	—	—	—	—

AHFS, AMERICAN SOCIETY OF HEALTH-SYSTEM PHARMACISTS DRUG INFORMATION

国立がんセンター中央病院 藤原 作成 2002/11/8

1. 国内・国外で未承認
治験
2. 国外で承認・国内未承認
治験（第I相試験は必須・ブリッジングスタディ・完全な臨床試験（Late PII2本））
疑問：国外で十分なエビデンスのあるとき第I相のデータのみで承認はできないか？
Ethnic differenceの問題、国内の症例での十分な毒性観察の必要性
3. 国外・国内で承認・適応外
 - A. 国外で十分なデータ（+）
国内でも標準的治療として使用（Off label useでも保険査定はない）
 - B. 国外で不十分なデータ
国内で標準的治療として使用（Off label useでも保険査定はない）



Note: At two points in the process (shown in black) there may be reevaluation of the information based on dissenting views or additional evidence that would start the process over again.



UNITED STATES PHARMACOPEIA
Application for Submitting an *Oncologic* Off-label Use
for Inclusion in the *USP DI*

Due to the volume of oncologic off-label use submissions received, **only one request per manufacturer will be accepted at a time.** Once a submission is reviewed and the consensus of the USP Expert Committees is placed on the USP website (www.usp.org), another submission may be made

REQUESTOR INFORMATION

NAME OF REQUESTOR/ORGANIZATION		DATE OF SUBMISSION
TELEPHONE NUMBER (Include area code)	FAX NUMBER (Include area code)	E-MAIL ADDRESS
ADDRESS (Number, Street, City, State, and Zip Code)		

DRUG INFORMATION

NAME(S) OF DRUG (Generic and Trade)	MANUFACTURER (S)
-------------------------------------	------------------

OFF-LABEL USE INFORMATION

PROPOSED OFF-LABEL INDICATION (Covered by this submission)
PROPOSED OFF-LABEL DOSE
DOSAGE FORM(S)
STRENGTH(S)
ROUTE(S) OF ADMINISTRATION
LABELED INDICATION(S)

SEEKING FOOD AND DRUG ADMINISTRATION (FDA) APPROVAL FOR THIS OFF-LABEL INDICATION AND/OR DOSE? <input type="checkbox"/> Yes <input type="checkbox"/> No	
PURPOSE FOR SUBMITTING THIS OFF-LABEL USE TO THE USP	
NUMBER AND TYPES (e.g., double-blind randomized controlled trials) OF DOCUMENTATION SUPPORTING THIS OFF-LABEL USE	
COPIES OF DOCUMENTATION INCLUDED WITH APPLICATION? <input type="checkbox"/> Yes <input type="checkbox"/> No	
EVIDENCE LEVEL CRITERIA TO CONSIDER OFF-LABEL USE (IN ORDER OF WEIGHT CARRIED) (Check all that are met):	
1	Randomized trial(s) documenting a statistically significant/clear advantage regarding response rate, overall survival (OS), time to disease progression (TDP), 1-year survival, performance status (PS), toxicities, and/or quality of life (QOL) greater than or equal to the current treatment standard, <i>P</i> value < 0.05
2	Multi-institutional, Phase II trial(s), significant sample size, documented significant advantage/benefit regarding response rate (tumor markers where appropriate), clinical benefit response (as listed in the Journal of the National Cancer Institute [JNCI]), OS, TDP, 1-year survival, PS, toxicities, and/or QOL greater than or equal to the current treatment standard
3	Single-institution, Phase II trial(s), useful if the study was validated, substantial number of patients, outstanding clinical center/investigator, documented significant advantage/benefit regarding response rate (tumor markers where appropriate), clinical benefit response (as listed in JNCI), OS, TDP, 1-year survival, PS toxicities, and/or QOL greater than or equal to the current treatment standard
4	For evidence using an off-label agent (drug "T") in combination therapy regimens, comparative data are required
	A. Standard therapy (AB) vs. standard + off-label agent (ABT). Needs comparative data with AB sufficient body of evidence and adequate (statistically justified) sample size, best if the study has a randomized design, better and/or less toxic than AB, significant advantage over AB
	B. Standard combination therapy (ABC) vs. ABT. Documentation that substituting T for C is reasonable, comparative response rate (RR) and side effect profile, sufficient body of evidence and adequate sample size
THE FOLLOWING CRITERIA MAY BE USED IN SPECIAL CIRCUMSTANCES	
5	Phase I trial(s) with response data, used as supportive data—it cannot stand alone
6	Other—if there is a clear, unmet need, the USP Expert Committee will review and consider
7	Animal and cell line studies cannot be used
DISCLAIMER STATEMENT	
The United States Pharmacopeial Convention Inc. has requested this information from the manufacturer for scientific evaluation and possible publication.	
I/We understand that the finalized off-label use, categorized as recommended by USP Expert Committees, will appear in the USP DI and cannot be withheld. In cases where an unfavorable consensus is reached, the off-label use may be reviewed again when more data become available.	

SIGNATURE	PRINTED OR TYPED NAME AND TITLE	DATE
<p>Send completed application to: United States Pharmacopeia Off-Label Submissions Information Programs 12601 Twinbrook Parkway Rockville, MD 20852 Or fax to: (301) 816-8517</p>		
FOR USP USE ONLY		
DATE RECEIVED	DATE EVALUATED	
EXPERT COMMITTEE DECISION	DATE OF CONSENSUS	