別添2：治験外データが利活用された薬剤リスト

国	薬剤名	適応	データソース（制度名）	データソース（試験名）	症例数	デザイン概要	薬事上の利用形態	薬事申請データパッケージ上の位置づけ
日本	リツキシマブ	難治性天疱瘡	患者申出療養	jRCTs031180405			当初申請資料に含めていなかったがPMDAからの照会に基づきデータ提出	臨床試験データの補完
日本	ダブラフェニブ、トラメチニブ	BRAF V600E変異陽性の進行・再発固形腫瘍	患者申出療養	jRCTs071210071	6	プラットフォーム試験・単群の特定臨床研究・小児	参考資料	臨床試験データの補完（有効性及び安全性）
			患者申出療養	BELIEVE/NCCH1901, jRCTs031190104	57	プラットフォーム試験・単群の特定臨床研究・成人	参考資料	臨床試験データの補完（有効性及び安全性）
日本	アテゾリズマブ	進行胞巣状軟部肉腫	患者申出療養	PARTNER/NCCH2220, jRCTs031230544	3	プラットフォーム試験・単群の特定臨床研究・小児	参考資料	臨床試験データの補完（有効性及び安全性）
日本	トラメチニブ	再発した低異型度漿液性卵巣癌、腹膜癌	患者申出療養	BELIEVE/NCCH1901, jRCTs031190104	5	プラットフォーム試験・単群の特定臨床研究	公知申請の根拠資料	有効性及び安全性を主張する臨床試験データ（国内でのエビデンス。他に海外RCT1試験あり）
			患者申出療養	BELIEVE/NCCH1901, jRCTs031190104	59	プラットフォーム試験・単群の特定臨床研究	公知申請の根拠資料	他疾患も含む投与経験に基づき安全性を主張する臨床試験データ（国内でのエビデンス。他に海外RCT1試験あり）
日本	テガフール・ギメラシル・オテラシルカリウム	エストロゲン受容体陽性HER2陰性乳がんに対する術後補助療法	先進医療B	POTENT試験, jRCTs051180057	1930	非盲検のランダム化比較試験・指針下の臨床試験として開始し途中から特定臨床研究として実施	評価資料	有効性及び安全性を主張する臨床試験データ（Pivotalデータ）
日本	131I-MIBG（3-ヨードベンジルグアニジン）	MIBG 集積陽性の治癒切除不能な褐色細胞腫・パラガングリオーマ	先進医療B	iCREK2014-10試験	20	単群	参考資料	臨床試験データの補完（安全性及び忍容性）
日本	ベペルミノゲン ペルプラスミド	標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及 びバージャー病）における潰瘍の改善	先進医療B	－	6	単群	評価資料	有効性及び安全性を主張する臨床試験データ（評価資料7試験のうちの1つ）
日本	メトレレプチン	脂肪萎縮症	臨床研究	KUTR-003-0	11	単群	参考資料	医師主導治験データの補完（有効性及び安全性）
			高度医療	KUTR-003-2	12	医師主導治験（KUTR-003-1：4例）、臨床研究（KUTR-003-0：8例）に参加した被験者に対する継続投与試験・単群	参考資料	医師主導治験データの補完（長期安全性及び長期有効性）
米国	アルペリシブ	PIK3CA関連過成長症候群（PROS）	－	EPIK-P1, NCT04285723	57	Compassionate use例の診療録情報を後方視的に収集した観察研究	－	有効性、安全性を主張するデータ（Pivotalデータ）
米国	ニチシノン	チロシン血症	－	Expanded Access (NTBC試験)	207	Expanded Accessデータ。非GCP下で行われたアカデミア主導のグローバル臨床試験(NTBC試験)。	－	有効性、安全性を主張するデータ（Pivotalデータ）
米国	フェニル酢酸ナトリウム・安息香酸ナトリウム	尿素サイクル異常症に伴う高アンモニア血症	－	Expanded Access	316	Expanded Accessデータ。	－	有効性、安全性を主張するデータ（Pivotalデータ）
米国	コール酸	胆汁酸代謝異常症	－	Expanded Access	63+22	Expanded Accessデータ、2件。	－	有効性、安全性を主張するデータ（Pivotalデータ）
米国	ウリジン・トリアセテート	フルオロウラシルあるいはカペシタビンの過量投与	－	Expanded Access	75+60	Expanded Accessデータ、2件。	－	有効性、安全性を主張するデータ（Pivotalデータ）