

平成 14 年度

未承認薬の個人輸入による使用実態及び適正使用のあり方に関する調査研究

アンケート調査の結果

発送			
2003年1月17日	国立病院等の施設長	(アンケート)	274件
	個人医師(輸入者)	(アンケート)	86件
2003年2月17日	日本骨髄腫患者の会	(アンケート)	69件
	より紹介の医師		

	発送数	合計	429件
返送			
			213件
	【内訳】		
	アンケート	131(うち有効129、無効2)	
	アンケート	170(うち有効154、無効16)	
	移転先不明等により返送		3件

	返送数	合計	216件

国立病院等の各施設長にアンケート 及びアンケート の依頼をしたところ、個人医師(アンケート)の回答があった数は、83件(うち有効67件、無効16件)である。

(8施設より診療科毎などの複数回答、個人医師宛及び日本骨髄腫患者の会よりの医師宛との重複依頼も含まれる)

本調査結果は、それぞれ設問ごとに、調査事項、集計結果、注釈()及びコメント()の順に記述した。

アンケート

回答数：131 件

(うち、有効 129、無効 2)

-A 貴施設における未承認薬の個人輸入および使用について

-A-1

過去 4 年間（平成 11 年度～平成 13 年度、および平成 14 年度）に、サリドマイドを含む未承認薬を貴施設の医師が海外から輸入して臨床使用した経験がありますか。（有効回答数 129 施設）

1. はい	65	50.4%
2. いいえ	64	49.6%

「1. はい」には、国立療養所の一括輸入による管理換え、および、患者による輸入も含まれる。

回答者の約半数（50.4%）にあたる 65 施設において、過去 4 年間にサリドマイドを含む未承認薬を海外から輸入して臨床使用した経験があった。

-A-2

貴施設には海外から未承認薬を輸入して臨床使用することに関する規定がありますか。（有効回答数 129 施設）

1. はい	48	37.2%
2. いいえ	79	61.2%
未回答	2	1.6%

「2. いいえ」のコメント

- ・規定は施設にはないが、使用する科から倫理委員会に書類を提出している
- ・未承認薬に対する規定はないが、倫理委員会での対応実績はある
- ・症例毎に倫理委員会の審査を受ける
- ・サリドマイドのみについてはある

未承認薬を輸入して臨床使用することに関する規定がある施設は 48 施設（37.2%）であり、規定がない施設数（79 施設、61.2%）がそれを上回っていた。

-A-3

-A-2 で「1. はい」と回答された施設に伺います。その規定の内容として、どのようなものがありますか。（複数回答可）（有効回答数 48 施設）

ア. 研究（実施）計画書について	28	58.3%
イ. 施設内審査委員会（倫理審査委員会・治験審査委員会など）について	44	91.7%
ウ. インフォームド・コンセントの手続きについて	34	70.8%
エ. 薬物の管理について	22	45.8%
オ. 記録の作成・保存について	17	35.4%
カ. その他	3	6.3%

「カ. その他」

- ・病院長決裁書による手続き
- ・サリドマイドについては、ア、イ、ウ、オである
- ・輸入方法、支払、実施報告を求める

海外から輸入した未承認薬を臨床使用することに関する規定がある 48 施設のうち、44 施設（91.7%）が施設内審査委員会等について規定しており、インフォームド・コンセントの手続き（34 施設、70.8%）、研究（実施）計画書（28 施設、58.3%）がそれに続いた。薬物の管理及び記録の作成・保存に関する規定を定めている施設は、それぞれ 22 施設（45.8%）及び 17 施設（35.4%）であった。

-A-4

-A-3 を回答された施設に伺います。貴施設としてはどのようにそれらを規定していますか。(有効回答数：ア 28 施設、イ 4 施設、ウ 3 施設、エ 2 施設、オ 1 施設、カ 3 施設)

	1. 臨床研究に準じている	2. 研究に準じている	3. 通常の治療行為と同様の扱いにしている	4. その他	未回答	4. その他の内容
ア	23 82.1%	1 3.6%	3 10.7%	1 3.6%	0 0.0%	・医療・治験 倫理審議委員会(IRB) 審議事項
イ	34 77.3%	2 4.5%	4 9.1%	3 6.8%	1 2.3%	輸入手続書類により ・医療・治験・倫理審議委員会(IRB) 審議事項
ウ	25 73.5%	1 2.9%	5 14.7%	1 2.9%	2 5.9%	・医療・治験・倫理審議委員会(IRB) 審議事項
エ	15 68.2%	0 0.0%	4 18.2%	2 9.1%	1 4.5%	他の処方薬とは別に施錠して保管 処方箋毎、記帳 在庫管理。
オ	12 70.6%	0 0.0%	3 17.6%	1 5.9%	1 5.9%	
カ	0 0.0%	0 0.0%	1 33.3%	0 0.0%	2 66.7%	

施設内審査委員会などについて規定している 4 施設 (イ)、インフォームド・コンセントの手続きについて規定している 3 施設 (ウ) 及び研究 (実施) 計画書について規定している 28 施設 (ア) など、規定を定めている 48 施設のうち、「その他」と回答した 3 施設の場合を除きいずれも臨床研究に準じて規定しているとの回答が最も多かった。

-A-5

-A-2 で「2. いいえ」と回答された施設に伺います。近い将来、海外から未承認薬を輸入して臨床使用することに関する規定を設ける予定がありますか。(有効回答数 79 施設)

1. はい	7	8.9%
2. いいえ	60	75.9%
未回答	12	15.2%

海外から未承認薬を輸入して臨床使用することに関する規定がない施設のうち 7 施設 (8.9%) が、近い将来、規定を設ける予定があると回答した。

-A-6

-A-5 で「1. はい」と回答された施設に伺います。規定の内容として、どのようなものがありますか。(複数回答可) 有効回答数 7 施設)

ア. 研究 (実施) 計画書について	5	71.4%
イ. 施設内審査委員会 (倫理審査委員会・治験審査委員会など) について	7	100.0%
ウ. インフォームド・コンセントの手続きについて	5	71.4%
エ. 薬物の管理について	5	71.4%
オ. 記録の作成・保存について	4	57.1%
カ. その他の規定	0	0.0%
キ. 未定	0	0.0%

今後、規定を設ける予定があると回答した 7 施設のすべてで施設内審査委員会などについての規定を設ける予定がある。また、研究 (実施) 計画書、インフォームド・コンセントの手続き、及び薬物の管理についても、5 施設 (71.4%) で規定を設ける予定があると回答した。

貴施設では未承認薬の輸入および臨床使用について、どのような記録をおもちですか。また、各記録の保存年限は何年ですか。
 (複数回答可)(有効回答数 61 施設)

		うち、 永久保 存	うち、 保存年限 規定なし	平均保存 年数(年)	その他
ア．研究(実施)計画書	34 55.7%	1	4	7.0	・試験終了後3年 ・終了後5年 ・研究終了
イ．施設内審査委員会(倫理審査委員 会・治験審査委員会など)の記録	48 78.7%	1	5	6.5	・治験に準ずる ・試験終了後3年 ・終了後5年 ・5年以上 ・承認または中止による終了報告から 3年の遅い日まで
ウ．患者さんの同意書	42 68.9%	0	3	7.4	・試験終了後3年 ・終了後5年 ・5年以上 ・承認または中止による終了報告から 3年の遅い日まで ・カルテの保存と同じ ・現在のところ、永久保存
エ．薬監証明(またはその写し)	15 24.6%	0	0	5.7	
オ．輸入に関する伝票	18 29.5%	0	0	6.1	・承認または中止による終了報告から 3年の遅い日まで
カ．在庫量	22 36.1%	1	3	7.4	・使用終了時～数年 ・承認または中止による終了報告から 3年の遅い日まで
キ．使用量	25 41.0%	1	3	6.9	・使用終了時～数年 ・5年以上 ・承認または中止による終了報告から 3年の遅い日まで
ク．廃棄量	15 24.6%	1	2	7.0	・使用終了時～数年 ・承認または中止による終了報告から 3年の遅い日まで
ケ．病院情報システム(処方オーダリン グシステム、診療報酬明細書など) のデータベース上の電子的な記録	11 18.0%	1	0	5.7	・5年以上
コ．その他	7 11.5%				
未回答	68				

コ．その他の内容

- ・同意説明書、実施状況報告書、スタッフリスト、終了報告書等の治験に準じた書類(3年)
- ・通常の診療行為におけるカルテの保存に準ずる(10年)
- ・行政文書保存規定に因らない診療科(永久)
- ・ハンセン病科のカルテ、他科のカルテ(永久)

保有している記録について、回答のあった61施設のうち、48施設(78.7%)において施設内審査委員会などの記録を所有しており、次に、患者さんの同意書を所有する施設が42施設(68.9%)であった。未承認薬の在庫量、使用量及び廃棄量に関する記録については、それぞれ22施設(36.1%)、25施設(41.0%)及び15施設(24.6%)であった。平均保存年数については、施設内審査委員会などの記録が平均6.5年、患者さんの同意書が平均7.4年であったほか、すべての記録について概ね5～7年程度であった。

-A-1 で「1 はい」と回答された施設に伺います。平成 11 年度以降に貴施設で臨床使用した具体的な医薬品名と使用目的（傷病の治療、臨床研究等）、使用理由（疾患名）、輸入量および対象患者数について、わかる範囲内でご記入ください（有効回答数 65 施設）

一般名（アルファベット順）	使用理由
abacavir sulfate	HIV
amphotericin B liposome	アルベルギルス肺炎、カンジダ症、肝移植後真菌感染症、全身真菌感染症、全身性または肺アスペルギルス病、肺アスペルギルス症の治療、真菌感染症、播種性カンジダ症、深在性真菌感染症
apraclonidine hydrochloride	緑内障の白内障術後眼圧上昇
arsenic trioxide	急性前骨髄球性白血病
Atovaquone	カリニ肺炎
Azathioprine	本邦には注射剤がないため
BCNU	悪性リンパ腫
Biotin	口腔乾燥
Budesonide	活動期潰瘍性大腸炎、潰瘍性大腸炎
Capecitabine	乳癌
Chlorambucil	CLL、マクログロブリン血症
Cidofovir	AIDS、PML、サイトメガロ網膜炎、骨髄移植液、アデノウイルス感染症（AML,FA） 骨髄移植後の出血性膀胱炎、骨髄移植時のアデノウイルス感染症
Cladribine	骨髄非破壊的同種造血幹細胞移植の前処置
Clozapine	分裂病
Cyclosporine	心臓移植時、肺移植後、生体肺移植、脳死肺移植、肺移植後
cysteamine bitartrate	日本で未発売のため
Diazoxide	インスリン産生腫瘍、持続性高インスリン血症性低血糖症、膵 β -cell adenoma、高インスリン血症、高インスリン血症による低血糖症、新生児持続性高インスリン血症性低血糖症
Doxolubicine HCL liposome	カポジ肉腫
Epoprostenol sodium	膠原病に伴う肺高血圧症
Etanercept	多発性骨髄腫
Famciclovir	ラミブジン抵抗性 B 型肝炎
Gefitinib	肺癌
gemtuzumab ozogamicin	急性骨髄性白血病、急性非リンパ腫白血病、治療抵抗性急性骨髄性白血病
GM-CSF	肺胞蛋白症、乳癌、卵巣癌などの癌免疫ワクチン療法において、ペプチドと本剤を併用して使用
Hyaluronate	しわの治療
Imatinib mesylate	胃 GIST (Gastrointestinal stromal tumor)、骨髄性白血病、消化管間葉系腫瘍、慢性骨髄性白血病
Interferon γ -1a	多発性硬化症
isosulfan blue	乳癌
Isotretinoin	神経芽腫、座瘡様発疹が難治な症例の治療、集簇性座瘡、神経芽腫、慢性膿皮症で集簇性
Melphalan	難治性造血器腫瘍、白血病、急性骨髄性白血病、骨髄腫、難治性多発性骨髄腫、多発性骨髄腫、PBSCT 前処置、リンパ腫、悪性リンパ腫、原発性アミロイドーシス、造血幹細胞移植、難治性コーイング肉腫、難治性横紋筋肉腫、末梢血幹細胞移植前処置、網膜芽細胞腫 眼球温熱療法
Metyrosine	悪性褐色細胞腫
mycophenolate mofetil	心臓移植時
neutral insulin	糖尿病
Oxaliplatin	大腸癌術後再発に対する全身化学療法
Palivizumab	RS ウィルス感染症
PEG-IFN	慢性 C 型肝炎
pentosan polysulfate sodium	クロイツフェルトヤコブ病
Rifabutin	抗 HIV 薬との併用を可能とするため、多剤耐性肺結核
Rituximab	悪性リンパ腫、B 細胞性悪性リンパ腫、再発性ろ胞性リンパ腫
Rivabirin	慢性 C 型肝炎、C 型肝炎、肝移植後再発性 C 型肝炎、肝移植後 C 型肝炎再発、急性骨髄性白血病、HCV、亜急性硬化性全脳炎
Sabril beutel	てんかん
Saquinavir	HIV
Silorimus	膵島移植後の免疫抑制
SM-26000	肺アルベルギウス症、播種性アルベルギウス症、カンジダ血症、Rhodotorula rubra
St Thomas 液	心臓移植時

一般名（アルファベット順）	使用理由
Temozolomide	神経膠腫、グリオーマ、悪性脳腫瘍、脳腫瘍 CENTRAL.PNET
Tiagabine	小児てんかん
Zidovudine	HIV
-galactosidase	ファブリー病
エルギナゼ	急性リンパ性白血病
チカリン	クロイツフェルト・ヤコブ病
サイエグロプリ	再生不良性貧血、移植片対宿主病、骨髄移植前処置、骨髄移植時のGVHD
ザザル	悪性膵島細胞腫瘍
ジクロ酢酸ナトリウム	ミトコンドリア脳症
ジゴシンアブ	ジゴシン中毒
スレプトゾシン	インスリン産生腫瘍
セルゾ	心臓移植時
ビガバトリ	難治性部分てんかん、てんかん、症候性局在関連性てんかん
ヒスタミン2塩酸塩	抗腫瘍効果の増強
プロパジソリシアネート	アカントアメーバ角膜炎
パタイン	ホモシスチン尿症（Ⅱ型）
ペンテトオト	膵臓グルカゴノーマの遠隔転移の有無・治療効果の判定
ユルグロン	心室性不整脈
抗CD13抗体	
大黃庶虫丸	
ハチ毒抗原	ハチ毒アナフィラキシー
不活化ポリオワクチン	本人もしくは家族が免疫不全
顆粒球マクロファージコロニー刺激因子 (GM-CSF) LeucomexR	肺胞タンパク症

回答のあった65施設において、平成11年度以降、別掲のサリドマイドを除き、のべ68種類の未承認薬が臨床使用されており、そのほとんどが傷病の治療を目的としたものであった（悪性腫瘍関連が21品目、感染症関連13品目と多かった。）。なお、輸入量及び対象患者数については回答が困難であったためか、未記載がほとんどであった。

-A-9

貴施設では、海外から輸入した未承認薬をどのように保管・管理していますか（複数回答可）。

左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数129施設）、右側の数字：過去4年間に未承認薬の臨床使用経験がある施設（-A-1より）（有効回答数65施設）

ア．他の処方薬（毒薬、劇薬を除く）の取扱いに準じて保管している	7	5.4%	7	10.8%
イ．他の処方薬とは別に施錠して保管している	17	13.2%	17	26.2%
ウ．毒薬の取扱いに準じて保管している	4	3.1%	3	4.6%
エ．劇薬の取扱いに準じて保管している	0	0.0%	0	0.0%
オ．治験薬の取扱いに準じて保管している	25	19.4%	23	35.4%
カ．その他	24	18.6%	22	33.8%
未回答	62	48.1%	2	3.1%

「カ．その他」

- ・ 医師保管(11)
- ・ 患者保管(2)
- ・ 患者持込のもので、患者管理(1)
- ・ 研究室保管(2)
- ・ 患者保管、臨床研究申請時の責任医師が保管(1)
- ・ 治療で使用する場合、医師が保管、使用管理した(1)
- ・ 個人保管(1)
- ・ 薬剤部で保管(1)
- ・ 処方記録を残し、原則、治験管理室か薬剤部で保管(1)
- ・ 薬剤科は関与したことがない。(1)

過去4年間に未承認薬を海外から輸入したことがある65施設について、23施設(35.4%)が治験薬の取扱いに準じて保管・管理しており、また、「その他」として「医師が保管している」と回答した施設が11施設(16.9%)あった。

-A-10

貴施設では、海外から輸入した未承認薬をどこに保管・管理していますか。(複数回答可)

左側の数字：アンケート回答者全員(有効回答数129施設)、右側の数字：過去4年間に未承認薬の臨床使用経験がある施設(-A-1より)(有効回答数65施設)

ア. 院内の薬剤部(科)	34	26.4%	31	47.7%
イ. 治験管理室	4	3.1%	4	6.2%
ウ. 病棟	14	10.9%	13	20.0%
エ. その他	27	20.9%	26	40.0%
未回答	59	45.7%	0	0.0%

「エ. その他」

- ・ 医師保管(8)
- ・ サリドマイド以外は医師管理(1)
- ・ 主治医の責任において保管(1)
- ・ 個人(1)
- ・ 患者の個人保存(1)
- ・ 患者持込のもので、患者管理(1)
- ・ 治験薬に準ずるか、医師保管(1)
- ・ 輸入者及び研究棟の決められた場所(1)
- ・ 研究室、患者保管(1)
- ・ 施錠できる保存庫(1)
- ・ 医局、研究室内の金庫(1)
- ・ 医局(1)
- ・ 医局、研究室(1)
- ・ 種類による(調剤薬の場合、原則薬剤部)(1)
- ・ 診療グループ(1)
- ・ 臨床研究担当講座(1)
- ・ 外来(形成)(1)

過去4年間に未承認薬を海外から輸入したことがある65施設について、未承認薬を保管・管理する場所としては、院内の薬剤部が最も多く31施設(47.7%)であった。病棟で保管・管理している施設がそれに続き13施設(20.0%)であった。

-A-11

未承認薬は誰が管理していますか(複数回答可)

左側の数字：アンケート回答者全員(有効回答数129施設)、右側の数字：過去4年間に未承認薬の臨床使用経験がある施設(-A-1より)(有効回答数65施設)

ア. 院内の薬剤師、薬剤部(科)	41	31.8%	35	53.8%
イ. 医師	34	26.4%	31	47.7%
ウ. その他	5	3.9%	5	7.7%
未回答	55	42.6%	0	0.0%

「ウ. その他」

- ・ 患者保管(2)
- ・ 主治医(1)
- ・ 外来では、患者もしくは家族(1)

過去4年間に未承認薬を海外から輸入したことがある65施設について、院内の薬剤師又は薬剤部として管理している施設が最も多く、35施設(53.8%)であり、医師と回答した施設がそれに続いた(31施設、47.7%)。

-A-12

入院患者に未承認薬を臨床使用している場合、未承認薬を別の患者に誤使用しないような工夫をしていますか。(複数回答可)

左側の数字：アンケート回答者全員(有効回答数129施設)、右側の数字：過去4年間に未承認薬の臨床使用経験がある施設(-A-1より)(有効回答数65施設)

ア. 薬剤部(科)で一括して管理している	33	25.6%	28	43.1%
イ. 使用時に、投薬指示の内容と使用患者を確認している	35	27.1%	33	50.8%
ウ. その他	17	13.2%	17	26.2%
未回答	62	48.1%	4	6.2%

「ウ．その他」

- ・医師が管理(5)
- ・医師が担当 NS に指示(1)
- ・施設した場所から、その都度取り出している(1)
- ・病棟に必要な分を払い出しても、施設した引き出しに一時保管している(1)
- ・同意文書提出患者であるかを確認。(1)
- ・同意書をもとに手術時に使用するため、手術患者の確認と同じ手順でなされている。(1)
- ・登録された患者以外はオーダされないようにロックをかけている。(1)
- ・これまであまり経験ないが、病棟に説明に行っている(1)
- ・他の薬剤と保管場所を別にするなど、取り扱い方法に注意している。(1)
- ・病棟へ払い出した後は看護師(1)
- ・輸入者が個人管理している。(1)
- ・他の人に分与しない様に厳重に注意している。(1)

過去4年間に未承認薬を海外から輸入したことがある65施設について、別の患者への誤使用を防ぐため、使用時に投薬指示の内容と使用患者を確認(33施設、50.8%)、または薬剤部(科)で一括して管理している(28施設、43.1%)。

-A-13

未承認薬の有効性、安全性などに関する情報(動物実験結果を含む)を収集していますか。

左側の数字: アンケート回答者全員(有効回答数129施設)、右側の数字: 過去4年間に未承認薬の臨床使用経験がある施設(-A-1より)(有効回答数65施設)

1. はい	61	47.3%	51	78.5%
2. いいえ	20	15.5%	9	13.8%
未回答	48	37.2%	5	7.7%

過去4年間に未承認薬を海外から輸入したことがある65施設について、未承認薬の有効性、安全性などに関する情報を収集している施設は51施設(78.5%)であった。

-A-14

未承認薬の使用にあたり、患者さんにどのように説明していますか。

左側の数字: アンケート回答者全員(有効回答数129施設)、右側の数字: 過去4年間に未承認薬の臨床使用経験がある施設(-A-1より)(有効回答数65施設)

1. 口頭	10	7.8%	9	13.8%
2. 文書	12	9.3%	10	15.4%
3. 文書と口頭	47	36.4%	43	66.2%
4. その他	1	0.8%	1	1.5%
5. 説明してない	0	0.0%	0	0.0%
未回答	59	45.7%	2	3.1%

「4. その他」

- ・当院では、患者さんがすでに他病院で説明を受けていることが多い。

過去4年間に未承認薬を海外から輸入したことがある65施設のうち、43施設(66.2%)において患者に対する説明を文書と口頭で行っており、口頭又は文書で行っている施設をあわせると62施設(95.4%)であった。

-A-15

未承認薬の使用にあたり、患者さんからどのように同意を得ていますか。

左側の数字: アンケート回答者全員(有効回答数129施設)、右側の数字: 過去4年間に未承認薬の臨床使用経験がある施設(-A-1より)(有効回答数65施設)

1. 口頭	10	7.8%	10	15.4%
2. 文書	59	45.7%	52	80.0%
3. その他	1	0.8%	1	1.5%
4. 同意を得ていない	0	0.0%	0	0.0%
未回答	59	45.7%	2	3.1%

「3. その他」

- ・当院では、患者さんがすでに他病院で説明を受けていることが多い。

過去4年間に未承認薬を海外から輸入したことがある65施設のうち、52施設(80.0%)において未承認薬の使用にあたり

患者から文書で同意を得ており、口頭による同意を得ている 10 施設 (15.4%) をあわせると、62 施設 (95.4%) であった。

-B 貴施設におけるサリドマイドの輸入および使用について

-B-1

サリドマイドを、1965 年～現在までの間に貴施設の医師が海外から輸入して臨床使用した経験がありますか。(有効回答数 129 施設)

1. はい	42	32.6%
2. いいえ	78	60.5%
未回答	9	7.0%

回答のあった 129 施設のうち、サリドマイドを海外から輸入して臨床使用した経験があると回答した施設は 42 名 (32.6%) であった。

-B-2

-B-1 で「1. はい」と回答された施設に伺います。具体的な使用目的(傷病の治療、臨床研究等)、使用理由(疾患名)、輸入量(単位:錠)および対象患者数について、平成 11 年度以降わかる範囲内でご記入ください。(有効回答数 42 施設)

輸入量および対象患者数については未記載が多かったが、参考のため記載

使用目的	使用理由	輸入量	対象患者数
傷病の治療	骨髄腫	16,050	25
	多発性骨髄腫	43,618	139
	難治性多発性骨髄腫	7,100	32
	治療抵抗性多発性骨髄腫	6,750	16
	ENL(らい性結節性紅斑)	2,000	11
	ハンセン病	23,865	363
	ベーチェット病	30	1
	難治性腸管ベーチェット病		2
	若年性関節リウマチ	100	1
	難治性巨大血管腫	100	1
	急性白血球 GVHD	112	1
	難治性慢性 GVHD	1,100	2
	腎癌多発転移		1
	AIDS 他		3
	治療抵抗性の低形成白血症、骨髄異形成症候群、再生不良性貧血		5
	悪性リンパ腫		
	多剤耐性骨髄腫		
	成人 T 細胞白血病		
	再発乳癌		
臨床研究	少量サリドマイド+少量デキサメサゾン併用療法による難治性多発性骨髄腫の治療研究	4,000	
	治療抵抗性多発性骨髄腫患者を対象としたサリドマイド・デキサメタゾン併用療法のパイロット試験	1,989	3
合 計		106,814	606

海外からサリドマイドを輸入し臨床使用した経験がある 42 施設のすべてが、傷病の治療または臨床研究を目的とした輸入・使用であり、患者数は 606 症例で 10 万 6,814 錠(カプセル)が使用されていた。具体的な疾患名としては、多発性骨髄腫(骨髄腫、難治性多発性骨髄腫、治療抵抗性多発性骨髄腫を含む。)及びハンセン病(ENL;らい性結節性紅斑を含む。)が多かった。

-B-3

-B-1 で「1. はい」と回答された施設に伺います。サリドマイドを臨床使用している医師の専門分野について教えてください。(有効回答数 42 施設)

血液内科	19	45.2%
血液・腫瘍内科	3	7.1%
血液	2	4.8%
血液、腫瘍	1	2.4%
血液・腫瘍内科、小児科	1	2.4%
血液腫瘍内科、皮膚科	1	2.4%
血液免疫内科	1	2.4%
内科	2	4.8%
内科(血液、呼吸器、感染症)	1	2.4%
内科、小児科、血液疾患分野	1	2.4%
ハンセン病	3	7.1%
ハンセン病科、眼科、内科	1	2.4%
泌尿器科	1	2.4%
皮膚科	2	4.8%
未回答	3	7.1%

海外からサリドマイドを輸入し臨床使用した経験がある 42 施設のほとんどにおいて、骨髄腫またはハンセン病を担当する血液または内科を専門分野としており、そのうち血液内科と回答した施設が最も多く 19 施設(45.2%)であった。

-B-4

サリドマイドを臨床使用する医師について、貴施設としての規定がありますか。

左側の数字 :アンケート回答者全員(有効回答数 129 施設)、右側の数字 :貴施設の医師がサリドマイドの臨床使用経験がある施設(-B-1 より)(有効回答数 42 施設)

1. はい	17	13.2%	17	40.5%
2. いいえ	51	39.5%	24	57.1%
未回答	61	47.3%	1	2.4%

海外からサリドマイドを輸入し臨床使用した経験がある 42 施設について、施設としての規定を有する施設は 17 施設(40.5%)であった。

-B-5

-B-4 で「1. ある」と回答された施設に伺います。どのように規定されていますか。(複数回答可)(有効回答数 17 施設)

ア. 臨床使用する医師を特定している	13	76.5%
イ. 診療科を特定している	8	47.1%
ウ. サリドマイドに関する専門の診療科を設置している	0	0.0%
エ. その他	4	23.5%

「エ. その他」

- ・医療・治験・倫理審議委員会(IRB)で使用を承認された診療科の医師が、承認された患者に使用
- ・倫理委員会
- ・臨床試験申請時提出のスタッフリスト記載医師
- ・倫理委員会に出席を求め、委員の各種質問に答えさせる

海外からサリドマイドを輸入し臨床使用するにあたり規定を有する 17 施設について、臨床使用する医師を特定している 13 施設(76.5%)をはじめとして、診療科の特定(8 施設、47.1%)または院内の倫理委員会などにより規定していた。

-B-6

-B-1 で「1. はい」と回答された施設に伺います。サリドマイドの使用について、倫理審査委員会あるいは治験審査委員会などの施設内審査委員会において、審査がなされましたか。(有効回答数 42 施設)

1. はい	32	76.2%
2. いいえ	8	19.0%
未回答	2	4.8%

海外からサリドマイドを輸入し臨床使用した経験がある 42 施設のうち、32 施設(76.2%)において倫理審査委員会あるいは治験審査委員会などの施設内審査委員会における審査が行われていたが、8 施設(19.0%)では施設内審査委員会での審査が

行われていなかった。

-B-7

-B-6 で「1. はい」と回答された施設に伺います。サリドマイドの使用に関する施設内審査委員会の審査結果の記録は保存されていますか。(有効回答数 32 施設)

1. はい	31	96.9%
2. いいえ	0	0.0%
未回答	1	3.1%

サリドマイドの使用にあたり施設内審査委員会の審査を行っている 32 施設のうち、31 施設 (96.9%) において審査結果の記録を保存していた。

-B-8

-B-7 で「1. はい」と回答された施設をお願いします。サリドマイドの使用に関する施設内審査委員会の審査結果の写しを、本用紙とともにご送付いただけませんか。(有効回答数 31 施設)

1. はい	17	54.8%
2. いいえ	10	32.3%
未回答	4	12.9%

実際に送付のあった施設：13

-C 未承認薬の輸入および使用の規制等について

-C-1

未承認薬を輸入して臨床使用することについて、それらに関する規定等のガイドラインの必要性について、どのようにお考えですか。

左側の数字 : アンケート回答者全員 (有効回答数 129 施設)、右側の数字 : 貴施設の医師がサリドマイドの臨床使用経験がある施設 (-B-1 より)(有効回答数 42 施設)。

1. 必要である	91	70.5%	36	85.7%
2. 必要でない	5	3.9%	1	2.4%
3. わからない	19	14.7%	3	7.1%
4. 未回答	14	10.9%	2	4.8%

【理由】

【別添】

未承認薬を輸入して臨床使用するにあたり、回答のあった 129 施設のうち 91 施設 (70.5%) が規定等のガイドラインは必要との回答であり、必要でないと回答した施設は 5 施設 (3.9%) であった。

また、サリドマイドを実際に臨床使用した経験がある 42 施設においては、36 施設 (85.7%) が必要であるとの回答であり、必要でないと回答した施設は 1 施設 (2.4%) であった。

ガイドラインが必要とする理由としては適正な使用や安全性が多くあげられた。一方、必要ないとした理由としては、法的整備を求める意見のほか、医師の裁量にまかせるとする意見があった。また、わからないと回答した意見の中には、規定があまり拘束力のあるものと遵守が難しい、研究目的の場合ある程度のガイドラインが必要との意見があった。

なお、主な意見は以下のとおり。

未承認薬について「必要である」:

- ・日本人集団における臨床評価に資することが可能な基本的ガイドラインはあった方が良い。
- ・施設によって未承認薬に対する対応が違くと混乱を起こすので、一定のガイドラインは必要。
- ・患者個人が輸入して、勝手に服用するにしても問題がないわけではない。ましてや医師が・・・ということであれば、現実 G L がなければなりません。
- ・安全性及び品質の確認が必要であり患者に対するインフォームドコンセントが必要であるため、費用負担をどうするかという問題があるため。
- ・医師の裁量権の無制限な乱用を防ぐため。
- ・試験的使用との立場から プロトコル、IRB の承認、IC、を条件に使用可とする。IC には 未承認薬であること、補償が無いこと、使用後はただちに破棄することを必ず記入すること。
- ・副作用などの管理、薬剤の管理を行って、他患者への流用、効果のない疾患への使用のないようにするべきである。
- ・日本の医療環境における日本人の至適投与量がまだ調べられていない。従って、有効性と安全性の情報が日本人で不足しているため、国民の健康を守る立場から、野放しにしておくことはできないと考える。

- ・国が認めた医薬品ではないものをヒトに用いるため、ガイドラインにより使用すべきである。
- ・「国立ハンセン病療養所サリドマイド取扱い基準」「サリドマイドの取扱いに関するガイドライン」が定められています。未承認薬について「必要でない」:
- ・ガイドラインではなく、法的整備を行うべきである。
- ・院内で取り決めればよい。

-C-2

未承認薬を輸入して臨床使用することについて、医師主導の治験（承認申請を目的として、医療機関がメーカーから薬物の提供を受けて行う治験）とする必要性があると思いますか。

左側の数字 :アンケート 回答者全員（有効回答数 129 施設）、右側の数字 :貴施設の医師がサリドマイドの臨床使用経験がある施設（-B-1 より）（有効回答数 42 施設）。

1. 思う	58	45.0%	26	61.9%
2. 思わない	16	12.4%	6	14.3%
3. わからない	41	31.8%	8	19.0%
4. 未回答	14	10.9%	2	4.8%

【理由】

【別添】

未承認薬を輸入して臨床使用するにあたり、回答のあった 129 施設のうち 58 施設（45.0%）において医師主導の治験として行うことが必要との回答であり、必要とは思わないと回答した施設は 16 施設（12.4%）であった。

また、サリドマイドを実際に臨床使用した経験がある 42 施設においては、26 施設（61.9%）が医師主導の治験による実施が必要であるとの回答であり、必要とは思わないと回答した施設は 6 施設（14.3%）であった。

医師主導の治験を必要とする理由としては、有効性・安全性の確認、一定の条件・計画下での使用などがあげられた。一方、必要とは思わないとした理由としては、海外データの利用などがあげられた。

なお、主な意見は以下のとおり。

医師主導の治験の必要性があると「思う」:

- ・新GCPに準じた方法
- ・メーカーが輸入しないならば、どこかが管理し、その評価を義務づけるべきである。HIV治療薬や熱帯感染症治療薬と同じ方式が好ましいと思う。また、メーカー輸入でも、個別使用では、データ散逸の危険性があり、研究班を組織すべき。
- ・臨床上有効で副作用の少ない薬剤に対しては、医師主導の治験を行い承認を得るルートのシステム化が必要と考える。
- ・患者の負担軽減
- ・未承認薬であるため承認に向けての治験から開始するのが原則と思う。
- ・医薬品の薬価等と治験費用を勘案すると医師主導の治験になる。
- ・経済的な要素を考慮して、企業が開発している現状では、医療に必要不可欠な薬は医師主導の治験をする必要がある。
- ・市販後臨床試験と同様のチェック体制が必要。
- ・全国的に同じプロトコルで行われる事により、より安全で有効な使用法が開発される。

医師主導の治験の必要性があると「思わない」:

- ・サリドマイドの場合、ハンセン病療養所では、世界保健機関 国立療養所多磨全生園 各国立療養所（ハンセン病療養所）という流れで、無料供与を受けている。従って、医師主導の治験（メーカーからの提供）は必要ではない。
- ・医師主導型治験にしても、まだ GL は決定なく、責任問題が未解決のまま。治験しても、解決ではない。もっと国がかかるべきです。

-C-3

サリドマイドを輸入して臨床使用することについて、それらに関する規定等のガイドラインの必要性について、どのようにお考えですか。

左側の数字 :アンケート 回答者全員（有効回答数 129 施設）、右側の数字 :貴施設の医師がサリドマイドの臨床使用経験がある施設（-B-1 より）（有効回答数 42 施設）。

1. 必要である	77	59.7%	37	88.1%
2. 必要でない	6	4.7%	1	2.4%
3. わからない	33	25.6%	3	7.1%
4. 未回答	13	10.1%	1	2.4%

【理由】

【別添】

未承認薬を輸入して臨床使用するにあたり、回答のあった129施設のうち77施設(59.7%)において医師主導の治験に関する規定等のガイドラインが必要との回答であり、必要とは思わないと回答した施設は6施設(4.7%)であった。

また、サリドマイドを実際に臨床使用した経験がある42施設においては、37施設(88.1%)が医師主導の治験に関する規定等のガイドラインが必要との回答であり、必要とは思わないと回答した施設は1施設(2.4%)であった。

医師主導の治験におけるガイドライン等の規定が必要として理由としては、薬害を繰り返さないための安全な使用、医師の裁量による無制限な濫用の防止などがあげられた。一方、必要でないとした理由としては、医師の裁量にまかせる、薬事法上の承認取得が先である、院内で決めればよい等があげられた。

なお、主な意見は以下のとおり。

サリドマイドの使用にあたりガイドラインは「必要である」:

- ・適格な承認判断の妨げとなる不適切な使用・報道を排除するため。
- ・社会への影響を考え、ガイドライン作成が必要と考えるが、それにより患者が治療を受ける機会が減少する心配がある。
- ・サリドマイドに限らない
- ・各医療機関での取り扱いが標準化される。

サリドマイドの使用にあたりガイドラインは「必要でない」:

- ・法的整備を急ぐべきである。
- ・使用しない
- ・特にサリドマイドに限るのではなく、他の薬剤にも対応できる規定でなければならない。
- ・薬事法上の承認を取得して使用すべきであるから。

-C-4

サリドマイドは、薬事法上の承認を取得して使用されるべきと思いますか。

左側の数字 :アンケート回答者全員(有効回答数129施設)、右側の数字 :貴施設の医師がサリドマイドの臨床使用経験がある施設(-B-1より)(有効回答数42施設)

1. 思う	74	57.4%	33	78.6%
2. 思わない	6	4.7%	2	4.8%
3. わからない	37	28.7%	6	14.3%
4. 未回答	12	9.3%	1	2.4%

【理由】

【別添】

未承認薬を輸入して臨床使用するにあたり、回答のあった129施設のうち74施設(57.4%)において薬事法上の承認を取得して使用されるべきとの回答であり、承認が必要とは思わないと回答した施設は6施設(4.7%)であった。

また、サリドマイドを実際に臨床使用した経験がある42施設においては、33施設(78.6%)が薬事法上の承認を取得して使用されるべきとの回答であり、承認が必要とは思わないと回答した施設は2施設(4.8%)であった。

薬事法上の承認取得が必要とした理由としては、安全・適切な使用、有効性・安全性の確認の必要性などがあげられた。一方、承認が必要とは思わないとした理由としては、安易に使われないよう原則使用不可能にしておくことがよい等があげられた。

なお、主な意見は以下のとおり。

サリドマイドは承認を取得して使用されるべきと「思う」:

- ・治療効果の報告を義務づけるべきである。
- ・日本国の薬事行政内にきちんと組み込むこと。
- ・今のよう形では、責任がどこにあるのか全く明らかにされないまま進んでいる。十分なInformed Consentでも患者に全責任といえない。医師は勿論、病院も倫理委員会も責任とれません。本当に有用なら承認すべき。
- ・本当に骨髄腫に効果があるのなら、薬事法の承認を得るべきで、今のままでは事故などについて責任の所在がはっきりしない。
 1. 世界的に十分な臨床治験の蓄積がある。
 2. 適用患者には残された「最後の生き延びるチャンス」を公的に認めても良い。
 3. 適用制限を設ければ承認し得る薬物である。
 4. 製品についての性状等についての公的管理ができる。
 5. 被使用患者の安全性が確保できる。

・医師のみならず、国が責任を負うべし

サリドマイドは承認を取得して使用されるべきと「2. 思わない」

- ・安易に使われ、過去の悲惨な状況を再現する恐れがあるから、原則使用不可能にしておくのが良いと思う。

-C-5

-C-4 で「1. 思う」と回答された施設に伺います。医師主導の治験（承認申請を目的として、医療機関がメーカーから薬物の提供を受けて行う治験）とする必要があると思いますか。

左側の数字 : アンケート回答者全員（有効回答数 74 施設）、右側の数字 : 貴施設の医師がサリドマイドの臨床使用経験がある施設（-B-1 より）（有効回答数 42 施設）

1. 思う	46	62.2%	27	64.3%
2. 思わない	11	14.9%	5	11.9%
3. わからない	12	16.2%	3	7.1%
4. 未回答	5	6.8%	7	16.7%

【理由】

【別添】

未承認薬を輸入して臨床使用するにあたり、回答のあった 74 施設のうち 46 施設（62.3%）において薬事法上の承認取得にあたって医師主導の治験を行う必要があるとの回答であり、医師主導の治験が必要とは思わないと回答した施設は 11 施設（14.9%）であった。

また、サリドマイドを実際に臨床使用した経験がある 42 施設においては、27 施設（64.3%）が薬事法上の承認取得にあたり医師主導の治験を行う必要があるとの回答であり、医師主導の治験が必要とは思わないと回答した施設は 5 施設（11.9%）であった。

薬事法上の承認取得にあたって医師主導の治験が必要とした理由としては、有効性・安全性の確認、メーカーによる治験の困難性などがあげられた。一方、医師主導の治験が必要とは思わないとした理由としては、海外での実績、メーカーによる実施等があげられた。

なお、主な意見は以下のとおり。

サリドマイドについて医師主導の治験を行う必要があると「思う」:

- ・ 医師が有効と判断している以上、有効と判断した代表者を中心として、研究班をつくり、きちっとした薬品管理、治療成績の管理、副作用の確認を行うべき。
- ・ 製薬会社主導の治験にそぐわないと思われるので。
- ・ そうしないと医師への事務上の負担が多すぎ、限界がある。
- ・ 実際に対象となる患者を治療しているのは、医師であるから治験責任者が医師となるのは当然である。
- ・ 品質面で十分管理が行われているという安心感が必要
- ・ 医師主導の治験がすぐに行われるなら賛成。しかし、それにより患者が治療を受けられる施設が限定されるデメリットもある。
- ・ 本院は、特定機能病院として最先端の医療を提供する責務を負っており、未承認薬とはいえ、現実にその薬剤による治療が有効であると考えられる以上、医師主導の治験を行うことにより、承認されれば保険診療となり、患者の負担も軽減された上での治療が可能と考えられる。

サリドマイドについて医師主導の治験を行う必要があることについて「わからない」:

- ・ 医師主導であれ、メーカー主導であれ、きちんとした責任体制の中での実施でなければならない。代替のない薬剤の個人輸入は医師主導型治験とは本来異なるもので国が責任持つべきものとする。

-D

未承認薬（サリドマイドを含む）の使用の契機、有効性、安全性、意義、今後の規制のあり方等について、コメントがありましたら、ご自由にお書き下さい。

【別添】

回答のあったコメントについては、別添のとおりであるが、そのうち主な意見を以下のとおり列記した。

- ・ 責任体制が明らかでない中で、個人輸入にしる、医師主導型治験（GL がまだできていないのに既に走っている）にしる、行われていて不安。また、厚労省が認めた研究班として個人輸入して... といった話を倫理委員会で討論することの無意味、恐怖といったことはありません。情報化時代でどんどん増えるでしょう。他に代替できない薬剤をという時は、何らかな形で国が承認するのが先決です。
- ・ HIV 研究班、熱帯感染症研究班に準ずる形が現状では理解されやすいと思う。安全性の問題もあり、個別輸入を野放しにすべきではない。
- ・ 未承認薬の費用負担を誰が行うか明確にすべきである。個人の利益にかかるものであるから、治験でなければ輸入にかかる費用から購入費用まですべて本人負担であると思う。また、便宜をはかった費用も負担すべきである。

- ・未承認薬を使った医療は現行の保険制度ならば自由診療にあたる。検査を保険で、未承認薬は自由診療で、では混合診療にあたる。この点も明確にしておくべきである。現行の保険解釈ならば、未承認薬が対象となる疾患に対する医療行為はすべて自由診療になってしまうと思われる。
- ・ 1．らい性結節性紅斑（ENL）治療の第一選択薬剤
- 2．ハンセン病療養所（13園）として一括購入（数年前）（厚労省認可）
- 3．多摩全生園にて保管
- 4．各園に分割保管（必要量）
 当園には、20錠保管（H12.3.2入庫）
- 5．一度も使用されず、20錠そのまま施錠保管されている。
- 6．今度使用される可能性はほとんどない（菌陽性者0）
- 7．使用に当たっては、当園「サリドマイド取扱準則」に基づき、説明文書、同意文書等により署名捺印の上、投与。
- ・ マスコミ主導のあり方は避けるよう、行政上の速やかな、かつ冷静な対応をお願いします。
- ・ 海外にて明らかな有効性を示す薬剤については、国内においても迅速に使用できるようなシステムを構築して欲しい。
- ・ 臨床使用のデータは、すべて蓄積できるようなシステムとする。

アンケート

回答数：170 件

(うち、有効 154、無効 16)

-A 先生ご自身のことについて

-A-1

性別 左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数 154 名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（-C-1 より）（有効回答数 126 名）

1. 男	136	88.3%	110	87.3%
2. 女	18	11.7%	16	12.7%

アンケートに回答のあった医師 154 名の性別は、男が 136 名（88.3%）、女が 18 名（11.7%）であった。また、サリドマイドの使用経験がある医師 126 名の性別は、男が 110 名（87.3%）、女が 16 名（12.7%）であった。

-A-2

年齢 左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数 154 名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（-C-1 より）（有効回答数 126 名）

1. 30 歳代	28	18.2%	24	19.0%
2. 40 歳代	67	43.5%	61	48.4%
3. 50 歳代	46	29.9%	34	27.0%
4. 60 歳代	12	7.8%	6	4.8%
未回答	1	0.6%	1	0.8%
平均年齢	46.8 歳		45.9 歳	

アンケートに回答のあった医師 154 名の年齢は、40 歳代が最も多く 67 名（43.5%）であり、50 歳代が 46 名（29.9%）とそれに続いた。また、サリドマイドの使用経験がある医師 126 名については、40 歳代が 61 名（48.4%）と最も多く、50 歳代が 34 名（27.0%）とそれに続いた。

-A-3

勤務先について

施設の種類 左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数 154 名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（-C-1 より）（有効回答数 126 名）

1. 大学病院	68	44.2%	57	45.2%
2. 国立病院	24	15.6%	15	11.9%
3. 国立療養所	17	11.0%	9	7.1%
4. 公立病院	16	10.4%	16	12.7%
5. 民間病院	21	13.6%	21	16.7%
6. 診療所	3	1.9%	3	2.4%
7. その他	5	3.2%	5	4.0%

「7. その他」

- ・赤十字病院
- ・公務員共済直営病院

アンケートに回答のあった医師 154 名が所属する施設としては、大学病院と回答した医師が 68 名（44.2%）と最も多かった。また、サリドマイドの使用経験がある医師 126 名についても、大学病院が 57 名（45.2%）と最も多かった。

病床数 左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数 154 名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（-C-1 より）（有効回答数 126 名）

1. 0～19 床	3	1.9%	3	2.4%
2. 20～99 床	3	1.9%	3	2.4%
3. 100～199 床	5	3.2%	5	4.0%
4. 200～499 床	45	29.2%	32	25.4%
5. 500 床以上	97	63.0%	82	65.1%
未回答	1	0.6%	1	0.8%

アンケートに回答のあった医師 154 名が所属する施設の病床数としては、500 床以上と回答した医師が 97 名（63.0%）

と最も多く、200～499床が45名(29.2%)とそれに続いた。また、サリドマイドの使用経験がある医師126名についても、500床以上が82名(65.1%)と最も多く、200～499床が32名(25.4%)とそれに続いた。

委員会の設置状況(複数回答可)

左側の数字: アンケート回答者全員(有効回答数154名)、右側の数字: サリドマイドの使用経験がある医師(-C-1より)(有効回答数126名)。

1. 治験審査委員会	123	79.9%	96	76.2%
2. 倫理審査委員会	131	85.1%	106	84.1%
3. 薬事委員会	127	82.5%	100	79.4%
4. その他の委員会等	21	13.6%	19	15.1%
5. 特に設置していない	4	2.6%	4	3.2%
未回答	2	1.3%	2	1.6%

「4. その他の委員会等」

- ・安全対策委員会
- ・MRM委員会
- ・臨床検査精度管理委員会
- ・院内感染
- ・感染予防
- ・感染対策委員会
- ・感染症委員会
- ・リスクマネジメント
- ・リスク管理委員会
- ・医療事故防止委員会
- ・事故対策委員会等
- ・診療録委員会
- ・ヒトを対象とする医学研究審査委員会
- ・遺伝子解析の倫理審査委員会
- ・診療会議
- ・薬剤委員会
- ・輸血療法委員会
- ・ハンセン病化学療法研究班
- ・適応外使用調査委員

アンケートに回答のあった医師154名が所属する施設における委員会の設置状況について、倫理審査委員会を設置していると回答した131名(85.1%)をはじめとして、ほとんどが何らかの委員会を設置しており、特に設置していないと回答した医師は4名(2.6%)であった。また、サリドマイドの使用経験がある医師126名についても、特に設置していないと回答した医師は4名(3.2%)であり、ほとんどが何らかの委員会を設置していた。

専門分野 左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数 154名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（
-C-1より）（有効回答数 126名）

血液内科	71	46.1%	67	53.2%
血液・腫瘍内科	12	7.8%	12	9.5%
血液	8	5.2%	8	6.3%
血液・腫瘍	3	1.9%	3	2.4%
血液内科、呼吸器、膠原病	1	0.6%	0	0.0%
血液・腫瘍内科、癌の化学療法	1	0.6%	1	0.8%
腫瘍内科	1	0.6%	1	0.8%
内科	4	2.6%	3	2.4%
内科、皮膚科	1	0.6%	1	0.8%
血液疫学	1	0.6%	1	0.8%
血液免疫科	2	1.3%	2	1.6%
血液免疫内科	4	2.6%	3	2.4%
血液疾患、造血幹細胞移植	1	0.6%	1	0.8%
放射線科、血管内治療（RA、進行癌）	1	0.6%	1	0.8%
内分泌、代謝	1	0.6%	0	0.0%
呼吸器	1	0.6%	0	0.0%
呼吸器内科	1	0.6%	0	0.0%
循環器科	1	0.6%	0	0.0%
小児科	8	5.2%	4	3.2%
小児科、血液・腫瘍	1	0.6%	1	0.8%
小児腫瘍	1	0.6%	0	0.0%
消化器科、血液科	1	0.6%	1	0.8%
神経内科	3	1.9%	0	0.0%
整形外科	1	0.6%	1	0.8%
精神科	5	3.2%	0	0.0%
精神内科	1	0.6%	0	0.0%
泌尿器科	1	0.6%	1	0.8%
皮膚科	4	2.6%	4	3.2%
麻酔科	1	0.6%	1	0.8%
ハンセン病	5	3.2%	5	4.0%
リウマチ膠原病科、血液内科	1	0.6%	1	0.8%
外科	3	1.9%	2	1.6%
外科、腫瘍疫学	1	0.6%	1	0.8%
形成外科	1	0.6%	0	0.0%

アンケートに回答のあった医師 154名の専門分野について、血液内科が最も多く71名（46.1%）であった。また、サリドマイドの使用経験がある医師 126名についても、血液内科が最も多く67名（53.2%）であった。

-B サリドマイドの催奇形性について

-B-1

1950年代末～60年代初めのサリドマイドの催奇形性による副作用被害問題について知っていますか。

左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数 154名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（
-C-1より）（有効回答数 126名）

1.知っている	150	97.4%	124	98.4%
2.よく知らない	3	1.9%	2	1.6%
3.知らない	0	0.0%	0	0.0%
未回答	1	0.6%	0	0.0%

アンケートに回答のあった医師 154名のうち、150名（97.4%）が1950年代末から60年代初めのサリドマイドの催奇形性による副作用被害問題について知っていると回答し、よく知らないと回答した医師は3名（1.9%）であった。また、サリドマイドの使用経験がある医師 126名については、124名（98.4%）が知っていると回答し、よく知らないと回答した医師は2名（1.6%）であった。

「1. 知っている」と回答された方にお聞きします。サリドマイドによる副作用被害問題をどのようにご存知ですか。

(複数回答可) 左側の数字：アンケート回答者全員(有効回答数150名)、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師(-C-1より)(有効回答数124名)

ア. 1960年頃から当時の状況など知っている	101	67.3%	82	66.1%
イ. 今秋以降のマスコミ等の報道	40	26.7%	34	27.4%
ウ. 最近、文献(専門誌、書籍)を読んだ	41	27.3%	40	32.3%
エ. 最近、人から聞いた	7	4.7%	7	5.6%
オ. その他	25	16.7%	23	18.5%
未回答	9	-	4	-

「オ. その他」

- ・1960年頃には生まれていませんが、以前よりサリドマイド薬害については知っています。
- ・1960年当時は生まれたばかりで状況は知らないが、その後の報道などで以前から知っている
- ・1970年代、マスコミ報道で
- ・1980年頃から当時の状況など知っている
- ・ハンセン病学会、国際ハンセン病学会、アメリカ合衆国ハンセン病登録官などと個別に話し、ディスカッションしている
- ・以前より、マスコミ報道などにより知っていた
- ・以前より、小学校等でも話しがあったので知っている。
- ・以前よりサリドマイドの催奇形性については新聞報道などにより知っていた
- ・以前より知っている
- ・医学部の授業でもありましたし、社会的常識として、以前より知っておりました。今回もサリドマイド使用に当って、Lenz博士のLancetの論文にも目を通しております。
- ・医師になる前のマスコミの騒ぎを知っている
- ・医師の常識として以前から詳しく知っている
- ・一般常識として学生の頃から知っている
- ・一般常識の範囲の知識として、子供の頃から知っていた
- ・学生の頃、覚えた
- ・学生時代の講義などにより(1980年代)
- ・学生時代の講義他
- ・小学生の頃、学んだ
- ・大学のころ学んで以来知っている
- ・中学生頃には新聞等で知っていた
- ・文献etcを読んだ。
- ・文献上知っていた
- ・輸入開始時、各情報を集めた

サリドマイドの副作用問題について知っていると回答した医師150名のうち、1960年頃から当時の状況などを知っている医師が101名(67.3%)おり、平成14年秋以降のマスコミ等の報道及び最近文献(専門誌、書籍)を読んだと回答した医師はそれぞれ40名(26.7%)及び41名(27.3%)であった。また、サリドマイドの使用経験がある医師として副作用問題について知っていると回答した医師124名については、1960年頃から当時の状況などを知っている医師が82名(66.1%)おり、平成14年秋以降のマスコミ等の報道及び最近文献(専門誌、書籍)を読んだと回答した医師はそれぞれ34名(27.4%)及び40名(32.3%)であった。

-C サリドマイドの使用経験について

-C-1

サリドマイドは、わが国では1962年に販売が中止されましたが、1965年以降海外で新たな薬効に関する研究が行われ再び使用されるようになりました。先生は、これまでにサリドマイドを患者に使用した経験がありますか。(有効回答数154名)

1. ある(1962年以前)	0	0.0%
2. ある(1962年以降)	126	81.8%
3. ある(1962年以前と1962年以降の両方)	0	0.0%
4. ない	25	16.2%
未回答	3	1.9%

アンケートに回答のあった医師154名のうち、サリドマイドの販売が中止された1962年以降、新たに使用した経験がある医師は126名(81.8%)であった。

-C-2

-C-1で「1.ある(1962年以前)」、「2.ある(1962年以降)」、および「3.ある(1962年以前と1962年以降の両方)」のいずれかを選択された方にお聞きします。サリドマイドをはじめて患者に使用したのは、いつですか。(有効回答数126名)

1.～平成元年	5	4.0%
2.平成2年～平成3年	0	0.0%
3.平成4年～平成5年	3	2.4%
4.平成6年～平成7年	0	0.0%
5.平成8年～平成9年	1	0.8%
6.平成10年～平成11年	6	4.8%
7.平成12年～平成13年	50	39.7%
8.平成14年～	48	38.1%
未回答	13	10.3%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、はじめて患者に使用した時期としては、平成12年以降がほとんどであり、平成12年～13年及び平成14年以降をあわせて98名(77.8%)であった。

-C-3

-C-1で「1.ある(1962年以前)」、「2.ある(1962年以降)」、および「3.ある(1962年以前と1962年以降の両方)」のいずれかを選択された方にお聞きします。これまでに何人くらいの患者に使用しましたか。(有効回答数126名)

1.1～5人	81	64.3%
2.6～10人	16	12.7%
3.11人～15人	9	7.1%
4.16人～20人	3	2.4%
5.21人～25人	2	1.6%
6.26人～30人	1	0.8%
7.31人～	5	4.0%
未回答	9	7.1%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、使用患者数については、1～5人と回答した医師が81名(64.3%)と最も多く、6～10人(16名、12.7%)、11～15人(9名、7.1%)がそれに続いた。

-C-4

最近1年間(平成14年1月から12月まで)にサリドマイドを使用しましたか。(有効回答数126名)

1.使用した	109	86.5%
2.使用していない	17	13.5%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、109名(86.5%)が平成14年1月から12月までの最近1年間にサリドマイドを使用していた。

-C-5

-C-4で「1.使用した」と回答された方にお聞きします。最近1年間(平成14年1月から12月まで)に、何人の患者に使用しましたか。(有効回答数109名)

1.1～5人	84	77.1%
2.6～10人	16	14.7%
3.11人～15人	3	2.8%
4.16人～20人	3	2.8%
5.21人～25人	0	0.0%
6.26人～30人	0	0.0%
7.31人～	3	2.8%

平成14年1月から12月までの最近1年間にサリドマイドを使用していた医師109名のうち、使用患者数については、1～5人と回答した医師が84名(77.1%)と最も多く、6～10人(16名、14.7%)がそれに続いた。

-C-6

-C-4で「2.使用していない」と回答された方にお聞きします。もっとも最近使用したのはいつですか(有効回答数17名)

1.平成11年	1	5.9%
2.平成12年	5	29.4%
3.平成13年	10	58.8%
未回答	1	5.9%

平成14年1月から12月までの最近1年間にサリドマイドを使用していない医師17名の中には、その前年の平成13年には使用している医師が10名(58.8%)含まれており、過去2年間で使用した医師として集計すると、126名中119名(94.4%)となった。

-C-7

使用したサリドマイドの販売名(商品名)、剤型、輸入先国、包装形態等を教えてください。(複数回答可)(有効回答数126名)

商品名	会社名	輸入先国		
Talizer	Serral	メキシコ	64	50.8%
Sauramide	Penn	イギリス	55	43.7%
Talidomida	Sociedade Farmaceutica Brasifa	ブラジル	5	4.0%
Thalidomide "Grunenthal" 100	Grunenthal	ドイツ	2	1.6%
Thalomid	Sociedade Farmaceutica Brasifa	ブラジル	1	0.8%
Thalomid	Celgene	メキシコ	1	0.8%
Thalomid	Celgene	イギリス	1	0.8%
Talidomide	Lazar	アルゼンチン	1	0.8%
Talidomida	Fundacao Pro-Sangue/Hemocentro	ブラジル	1	0.8%
Sauramide	P&D Pharmaceuticals	イギリス	1	0.8%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名の輸入先国としては、65名(51.6%)が商品名は異なるもののメキシコから輸入していた。その他、イギリスからの輸入が57名(45.2%)、ブラジルからが6名(4.8%)、ドイツからが2名(1.6%)、アルゼンチンからが1名(0.8%)であった。

一回の輸入量と最近1年間の輸入回数

平成14年～平成15年2月までの一回の輸入量(延べ件数)

1. 1～100錠もしくはカプセル	29
2. 101～200錠もしくはカプセル	50
3. 201～300錠もしくはカプセル	43
3. 301～400錠もしくはカプセル	11
4. 401～500錠もしくはカプセル	37
5. 501～1,000錠もしくはカプセル	44
6. 1,000錠もしくはカプセル～	44

平成14年～15年2月までの1回あたりの輸入量としては、101～200錠(カプセル)が最も多く50件であり、501～1,000錠(カプセル)または1,000錠(カプセル)以上がともに44件で続いた。

輸入量の合計(単位:錠もしくはカプセル)

1. 平成14年～平成15年2月	206,232
2. ～平成13年12月	63,050

平成14年～15年2月までの輸入量として回答のあった数量を合計すると、20万6,232錠(カプセル)であった。

平成14年～平成15年2月までの輸入回数(延べ件数)

1. 1～2回	53
2. 3～4回	18
3. 5～6回	15
4. 7～8回	3
5. 9回以上	2

平成14年～15年2月までの輸入回数として回答のあった件数を集計すると、1～2回が53件と最も多かった。

輸入回数の合計

1. 平成14年～平成15年2月	258
2. ～平成13年12月	75

平成14年～15年2月までの輸入回数として回答のあった件数を集計すると、258回であった。

-D サリドマイドの使用理由と用法用量

-D-1

サリドマイドを使用する理由は何ですか。(複数回答可)(有効回答数 126名)

ア．多発性骨髄腫	102	81.0%
イ．その他の骨髄腫	3	2.4%
ウ．骨髄腫以外の悪性腫瘍	11	8.7%
エ．ハンセン病(ENLを含む)	10	7.9%
オ．他の皮膚疾患	2	1.6%
カ．その他	12	9.5%

「ウ．骨髄腫以外の悪性腫瘍」の具体例

- ・多発性転移のある腎癌
- ・大腸ガン、肝臓ガン
- ・固形癌全般(胃・大腸・肺など)
- ・主に痛みを伴う転移を有する進行癌
- ・悪性リンパ腫
- ・MDS、血管内腫
- ・脳腫瘍、骨転移、肝臓癌等の癌全般
- ・癌末期
- ・卵巣癌
- ・軟部肉腫(多発肺転移例)
- ・淡明型軟骨肉腫(多発骨転移例)

「オ．他の皮膚疾患」の具体例

- ・血管肉腫(頭部)
- ・小児難治性腸管ペーチェット

「カ．その他」

- ・難治性腸管ペーシェット病、難治性全身性若年性関節リウマチ
- ・クローン病 10代に発症し、現在43歳で短腸症候群(10数回のオペ既往あり)。腹痛がずっと続いている
- ・GVHD post BMT
- ・慢性GVHDのコントロール
- ・難治性慢性GVHD
- ・慢性関節リウマチ
- ・造血幹細胞移植後のGVHD治療
- ・慢性移植片対宿主病

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名について、多発性骨髄腫を目的としてサリドマイドを使用する医師が最も多く102名(81.0%)であり、その他の骨髄腫とあわせると105名(83.3%)であった。

-D-2

サリドマイドを使用する患者について、対象患者の制限、標準投与期間、有効性判定基準、安全性基準(例えば、投与中止基準)等の項目を明確にした「適用基準」はありますか。

左側の数字：アンケート回答者全員(有効回答数154名)、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師(-C-1より)(有効回答数126名)。

1．ある	68	44.2%	68	54.0%
2．ない	59	38.3%	55	43.7%
未回答	27	17.5%	3	2.4%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、68名(54.0%)の医師がサリドマイドを使用する際の「適用基準」を有していた。

-D-3

-D-2で「1．ある」と回答された方にお聞きします。サリドマイドの「適用基準」について、可能な限り具体的にその内容を教えて下さい。(有効回答数68名)

【別添】

サリドマイドの適用基準について、対象患者の要件のみならず、除外基準や中止基準を設定している場合や投与期間、有効性

及び安全性に関する指標を設けている場合があった。

-D-4

通常、患者に使用する用法・用量及びその根拠について教えて下さい。(有効回答数68名)

用法・用量

1回あたりの投与期間

【別添】

用法用量は適応症によって異なると思われるが、1日あたり25mgから800mgまで幅があった。また、体重当たりの用法用量を採用している場合もあった。

-D-5

-D-1で選択した疾患に対する有効性についてコメントがありましたらお書き下さい。(有効回答数68名)

【別添】

多発性骨髄腫に対してサリドマイドを使用している医師のコメントとしては、効果がある、他の治療では効果のない患者において有効性を認める、サリドマイドによって骨髄腫の進行が安定な状況に保たれていれば有効と考えたい等の意見のほか、有効性は認められない、当初有効性があったが漸次無効へと変化した、骨髄腫のタイプによって有効性の違いがある等の意見もあった。

-E サリドマイドの入手方法

-E-1

個人輸入にあたりどのような方法で輸入しましたか。(複数回答可)(有効回答数126名)

1. 輸入代行者に手続きを依頼した	72	57.1%
2. すべて自分で手続きを行った	12	9.5%
3. その他	38	30.2%
未回答	6	4.8%

「3. その他」

- ・日本骨髄腫患者の会を通じて輸入
- ・国立療養所による管理換えにより入手

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、72名(57.1%)が個人輸入にあたり輸入代行者に手続きを依頼し、医師自らが個人輸入していると回答した医師は12名(9.5%)であった。

-E-2

サリドマイドを入手するにあたり、安全性に関する情報を入手していますか。(有効回答数126名)

1. 入手している	110	87.3%
2. 入手していない	8	6.3%
未回答	8	6.3%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、サリドマイドの入手にあたり110名(87.3%)の医師が安全性に関する情報を入手していると回答した。

-E-3

-E-2で「1. 入手している」と回答された方にお聞きします。サリドマイドを入手するにあたり、安全性に関する情報を入手するために、具体的にどこから情報を入手していますか。(複数回答可)(有効回答数110名)

1. 海外の添付文書	64	58.2%
2. 論文等の文献	76	69.1%
3. その他	27	24.5%

「3. その他」

- ・インターネット
- ・骨髄腫患者の会よりの資料
- ・海外の学会
- ・慶應大学より
- ・信州大学より

安全性に関する情報を入手している医師110名の情報入手先は、主に論文等の文献(76名、69.1%)、海外の添付文書

(64名、58.2%)であった。

-E-4

サリドマイドを入手するにあたり、有効性に関する情報を入手していますか。(有効回答数126名)

1. 入手している	119	94.4%
2. 入手していない	3	2.4%
未回答	4	3.2%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、サリドマイドの入手にあたり119名(94.4%)の医師が有効性に関する情報を入手していると回答した。

-E-5

-E-4で「1. 入手している」と回答された方にお聞きします。サリドマイドを入手するにあたり、有効性に関する情報を入手するために、具体的にどこから情報を入手していますか。(複数回答可)(有効回答数119名)

1. 海外の添付文書	32	26.9%
2. 論文等の文献	107	89.9%
3. その他	22	18.5%

「3. その他」

- ・インターネット
- ・骨髄腫患者の会よりの資料
- ・学会報告集
- ・信州大学より

有効性に関する情報を入手している医師119名の情報入手先は、論文等の文献(107名、89.9%)が多く、海外の添付文書(32名、26.9%)がそれに続いた。

-E-6

サリドマイドを入手するにあたり、品質に関する情報を入手していますか。(有効回答数126名)

1. 入手している	51	40.5%
2. 入手していない	70	55.6%
未回答	5	4.0%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、サリドマイドの入手にあたり51名(40.5%)の医師が品質に関する情報を入手していると回答した。

-E-7

-E-6で「1. 入手している」と回答された方にお聞きします。サリドマイドを入手するにあたり、品質に関する情報を入手するために、具体的にどこから情報を入手していますか。(複数回答可)(有効回答数51名)

1. 海外の添付文書	35	68.6%
2. 論文等の文献	5	9.8%
3. その他	19	37.3%

「3. その他」

- ・インターネット
- ・群馬大学の発表「難治性多発性骨髄腫患者における血中サリドマイド濃度と有効性」

品質に関する情報を入手している医師51名の情報入手先は、海外の添付文書(35名、68.6%)が最も多く、論文等の文献と回答した医師は5名(9.8%)であった。

-E-8

現在、複数の国で製造されているサリドマイド製品の中から、何を基準として製品を選択していますか。(複数回答可)(有効回答数126名)

1. 品質	17	13.5%
2. 価格	24	19.0%
3. 輸入方法	69	54.8%
4. その他	22	17.5%
未回答	9	7.1%

「4. その他」

- ・日本骨髄腫患者の会が輸入しているもの(9)

・取引が可能な会社

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名について、輸入方法を基準として製品を選択している医師が69名(54.8%)であった。

-E-9

サリドマイドの使用の決定に際し、考慮していることは何ですか。(複数回答可)(有効回答数126名)

1. 患者からの要請	64	50.8%
2. 医療機関としての判断	27	21.4%
3. 医師個人としての判断	46	36.5%
4. その他	8	6.3%
未回答	6	4.8%

「4. その他」

- ・医療チームとしての判断
- ・複数医師の判断
- ・倫理委員会での承認事項

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名について、サリドマイドの使用の決定にあたり考慮していることとして、患者からの要請と回答した医師が64名(50.8%)と最も多く、医師個人としての判断と回答した医師が46名(36.5%)でこれに続いた。

-F サリドマイドの使用目的

-F-1

サリドマイドは何を目的として輸入していますか。(複数回答可)(有効回答数126名)

1. 傷病の治療	121	96.0%
2. 臨床研究	16	12.7%
3. その他	1	0.8%
未回答	3	2.4%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のほとんどが、傷病の治療または臨床研究を目的としてサリドマイドを輸入していた。

-G 使用の手続きおよび患者への説明と同意

-G-1

サリドマイドを使用しはじめるにあたり、院内でどのような手続きをとりましたか。(複数回答可)(有効回答数126名)

ア. 病院長に許可を求めた	45	35.7%
イ. 医局長に許可を求めた	14	11.1%
ウ. 薬剤部(科)長に許可を求めた	11	8.7%
エ. 治験審査委員会に申請し許可を得た	20	15.9%
オ. 倫理審査委員会に申請し許可を得た	88	69.8%
カ. その他の手続き	12	9.5%
キ. 特にない	5	4.0%
未回答	3	2.4%

「カ. その他の手続き」

- ・「ヒトを対象とする医学研究審査委員会」に申請し、許可を得た
- ・Professor や医局カンファレンスで検討をかさねた。
- ・以前よりハンセン病療養所には、必要な薬として存在した
- ・医局長及び教授
- ・院内にてハンセン病治療経験の豊富な医師3人が本省から使用許可を得て、この3人の判断で投薬は可能であった。但し、説明に納得を得る過程は勿論経た。
- ・院内薬事委員会に院内特定薬としての申請をし、許可を得た
- ・患者への十分な説明と保管に関する注意事項を伝える
- ・治験審査委員会委員に相談した
- ・高度先進医療審査委員会
- ・自分が代表者であり、理事会、チーム、カンファレンスで討論を行った上で使用を開始しました
- ・理事長の許可

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、88名(69.8%)が倫理審査委員会に申請

し許可を得てサリドマイドを使用しているなど、院内の何らかの手続きをとっている医師がほとんどであった。

-G-2

患者が女性の場合、サリドマイドを処方する前に、次のことを確認していますか。(有効回答数126名)

閉経の有無

1. 確認している	90	71.4%
2. 確認していない	5	4.0%
未回答	31	24.6%

「1. 確認しているの」の具体的検査方法

- ・患者の自己申告
- ・口答・問診
- ・ホルモン検査

「未回答」のコメント

- ・女性患者に投与経験なし
- ・対象は小児

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、女性患者に対してサリドマイドを処方する前に閉経の有無を確認していると回答した医師は90名(71.4%)であり、確認していないと回答した医師は5名(4.0%)であった。

妊娠の有無

1. 確認している	74	58.7%
2. 確認していない	11	8.7%
未回答	41	32.5%

「1. 確認している」の具体的検査方法

- ・婦人科受診
- ・患者の自己申告
- ・口答・問診
- ・HCG、尿検査

「未回答」のコメント

- ・女性患者に投与経験なし
- ・対象は小児

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、女性患者に対してサリドマイドを処方する前に妊娠の有無を確認していると回答した医師は74名(58.7%)であり、確認していないと回答した医師は11名(8.7%)であった。

-G-3

患者が男性の場合、サリドマイドを使用する前に、そのパートナーについて次のことを確認していますか。(有効回答数126名)

閉経の有無

1. 確認している	47	37.3%
2. 確認していない	49	38.9%
未回答	30	23.8%

「1. 確認している」の具体的検査方法

- ・患者の自己申告
- ・口答・問診

「未回答」のコメント

- ・男性患者に投与経験なし
- ・対象は小児

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、男性患者に対してサリドマイドを処方する前にそのパートナーである女性の閉経の有無を確認していると回答した医師は47名(37.3%)であり、確認していないと回答した医師は49名(38.9%)であった。

妊娠の有無

1. 確認している	41	32.5%
2. 確認していない	49	38.9%
未回答	36	28.6%

「1. 確認している」の具体的検査方法

- ・口答・問診
- ・自己申告
- ・年齢で判断

「未回答」のコメント

- ・男性患者に投与経験なし
- ・対象は小児

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、男性患者に対してサリドマイドを処方する前にそのパートナーである女性の妊娠の有無を確認していると回答した医師は41名(32.5%)であり、確認していないと回答した医師は49名(38.9%)であった。

-G-4

患者またはそのパートナーが妊娠可能な女性の場合、サリドマイドによる治療を開始した後も継続的に妊娠検査を実施していますか。(有効回答数126名)

1. 実施している	2	1.6%
2. 実施していない	65	51.6%
未回答	59	46.8%

「2. 実施していない」のコメント

- ・いずれも高齢者
- 「未回答」のコメント
- ・すべて閉経後患者
- ・該当者なし
- ・適応から除外している
- ・対象は小児

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、患者自身が女性の場合または男性患者のパートナーである女性が妊娠可能な場合、サリドマイドによる治療を開始した後も継続して妊娠検査を実施していると回答した医師は2名(1.6%)であり、確認していないと回答した医師は65名(51.6%)であった。

-G-5

サリドマイドの有効性、安全性などに関する情報(動物実験結果を含む)を知っていますか。(有効回答数126名)

1. 知っている	118	93.7%
2. よく知らない	2	1.6%
3. 知らない	2	1.6%
未回答	4	3.2%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、サリドマイドの有効性、安全性などに関する情報を知っていると回答した医師は118名(93.7%)であった。

-G-6

-G-5で「1. 知っている」と回答された方にお聞きします。サリドマイドの使用にあたり、それらの情報をどのように収集しましたか。(複数回答可)(有効回答数118名)

ア. 国内又は海外の文献情報	109	92.4%
イ. インターネット等に掲載されている情報	65	55.1%
ウ. 学会発表情報	55	46.6%
エ. 外国における製品供給会社	35	29.7%
オ. その他	6	5.1%
未回答	1	0.8%

「オ. その他」

- ・骨髄腫患者の会からの情報
- ・投与経験者との個人的な情報交換

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師であって、サリドマイドの有効性、安全性などに関する情報を知っていると回答した医師118名の情報収集の方法として、国内又は海外の文献情報と回答した医師が109名(92.4%)であり、インターネット等に掲載されている情報(65名、55.1%)及び学会発表情報(55名、46.6%)がそれに続いた。

-G-7

サリドマイドの使用にあたり、患者にどのような説明をしましたか。(有効回答数126名)

説明方法

1. 口頭	14	11.1%
2. 文書	2	1.6%
3. 文書と口頭	108	85.7%
未回答	2	1.6%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、108名(85.7%)の医師が患者に対する説明を文書と口頭で行っており、口頭又は文書で行っている医師をあわせると124名(98.4%)であった。

説明内容(複数回答可)

ア. 使用目的	123	97.6%
イ. 予想される効果	122	96.8%
ウ. 予想される副作用	123	97.6%
エ. とくに胎児への危険性について	104	82.5%
オ. 避妊指導(患者が妊娠可能な女性の場合)	58	46.0%
カ. 避妊指導 (患者が男性の場合、妊婦との性交渉により精液中のサリドマイドが胎児に影響を与える可能性について)	64	50.8%
キ. サリドマイド剤の管理方法について	81	64.3%
ク. 他の治療法について	93	73.8%
未回答	2	1.6%

患者への説明の内容としては、サリドマイドの使用目的、予想される副作用が最も多く、ともに123名(97.6%)の医師から回答があり、予想される効果については122名(96.8%)であった。その他、とくに胎児への危険性について104名(82.5%)、他の治療法について93名(73.8%)、サリドマイド剤の管理方法について81名(64.3%)の医師が患者に説明していると回答した。

-G-8

-G-7で「2. 文書」または「3. 文書と口頭」と回答された方にお聞きします。患者に説明している文書の写しを、本用紙とともにご送付いただけませんか。(有効回答数110名)

1. 送付する	75	68.2%
2. 送付できない	33	30.0%
未回答	2	1.8%

実際に送付のあった医師:68

-G-9

サリドマイドの使用にあたり、患者からどのように同意を得ましたか。(有効回答数126名)

1. 口頭	17	13.5%
2. 文書	107	84.9%
3. その他	0	0.0%
未回答	2	1.6%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、107名(84.9%)の医師が患者からの同意を文書で得ており、口頭で得ている医師をあわせると124名(98.4%)であった。

-G-10

-G-9で「2. 文書」と回答された方にお聞きします。同意書の写しについて、患者個人情報等を部分削除の上、本用紙とともにご送付いただけませんか。(有効回答数107名)

1. 送付する	68	63.6%
2. 送付できない	39	36.4%

実際に送付のあった医師:62

サリドマイドの使用について患者の家族に説明していますか。(有効回答数126名)

1.説明している	113	89.7%
2.説明していない	10	7.9%
未回答	3	2.4%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、113名(89.7%)の医師がサリドマイドの患者への使用にあたり、患者の家族に説明していた。

-H サリドマイドの使用環境と管理体制

-H-1

サリドマイドを使用する患者はどの範囲ですか。(有効回答数126名)

ア.入院患者に限定	20	15.9%
イ.入院患者と外来患者(おもに入院患者)	52	41.3%
ウ.入院患者と外来患者(おもに外来患者)	44	34.9%
エ.外来患者に限定	6	4.8%
未回答	4	3.2%

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、52名(41.3%)の医師が主に入院患者を対象にサリドマイドを使用しており、入院患者に限定して使用している医師(20名、15.9%)とあわせると72名(57.1%)であった。また、主に外来患者対象に使用している医師は44名(34.9%)であり、外来患者に限定して使用している医師(6名、4.8%)とあわせると50名(39.7%)であった。

-H-2

サリドマイドをどのように保管し、また使用の状況を管理していますか。(複数回答可)(有効回答数126名)

ア.他の処方薬(毒薬、劇薬を除く)の取扱いに準じて保管している	15	11.9%
イ.他の処方薬とは別に施錠して保管している	49	38.9%
ウ.毒薬の取扱いに準じて保管している	9	7.1%
エ.劇薬の取扱いに準じて保管している	9	7.1%
オ.治験薬の取扱いに準じて保管している	34	27.0%
カ.使用記録を記帳している	36	28.6%
キ.その他	13	10.3%
未回答	7	5.6%

「キ.その他」

- ・患者管理(6)
- ・患者の親権者が管理(1)
- ・薬剤部で保管(1)
- ・他の処方薬とは別に、冷蔵庫に専用の箱を設けて管理(1)
- ・特別に管理(医師責任者)している(1)
- ・薬局では、臨時購入薬の中に保管(1)

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、49名(38.9%)の医師が他の処方薬とは別に施錠して保管しており、毒薬の取扱いに準じて保管、劇薬の取扱いに準じて保管及び治験薬の取扱いに準じて保管が、それぞれ9名(7.1%)、9名(7.1%)及び34名(27.0%)であった。また、使用記録を記帳している医師は36名(28.6%)であった。

-H-3

サリドマイドをどこに保管していますか。(有効回答数126名)

ア.院内の薬剤部(科)	46	36.5%
イ.治験管理室	7	5.6%
ウ.病棟	16	12.7%
エ.自らの机またはロッカー等	35	27.8%
オ.その他	16	12.7%
未回答	6	4.8%

「オ.その他」

- ・金庫(2)
- ・患者管理(2)
- ・患者の親権者(1)

- ・医局の所定の場所(1)
- ・医局の保管庫(1)
- ・医局の薬剤保管用のロッカー(1)
- ・診療科の保管庫(1)
- ・責任者保管(1)
- ・担当診療科(1)
- ・病棟カンファレンス室の鍵のかかるロッカー(1)
- ・薬品庫(1)
- ・自宅にサリドマイドを保管する金庫を購入して保管(1)

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、46名(36.5%)の医師が院内の薬剤部(科)にサリドマイドを保管しており、自らの机またはロッカーと回答した医師は35名(27.8%)であった。

-H-4

サリドマイドは誰が管理していますか。(有効回答数126名)

ア.自身	55	43.7%
イ.院内の薬剤師、薬剤部(科)	49	38.9%
ウ.その他	18	14.3%
未回答	4	3.2%

「ウ.その他」

- ・患者自身(3)
- ・患者親権者(1)
- ・看護師(薬剤師)(4)
- ・医師責任者(2)
- ・担当医師(1)
- ・管理責任者(1)
- ・薬剤部+医師(1)
- ・医局内の研究補助員(1)
- ・事務(1)
- ・当科(1)
- ・御本人(1)

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、55名(43.7%)の医師がサリドマイドを自身の管理下においており、「その他」として「担当医師」と回答した1名を加えると56名(44.4%)となる。また、院内の薬剤部(科)で管理させている医師が49名(38.9%)であった。その他、患者または親族による管理との回答が5名(4.0%)であった。

-H-5

入院患者にサリドマイドを使用している場合、サリドマイドを別の患者に誤使用しないような工夫をしていますか。

(複数回答可)(有効回答数126名)

ア.薬剤部(科)で一括して管理している	37	29.4%
イ.使用時に、投薬指示の内容と使用患者を確認している	82	65.1%
ウ.その他	20	15.9%
未回答	8	6.3%

「ウ.その他」

- ・患者管理
- ・患者親権者立会いのもとで内服
- ・担当ナースが直接内服前に持参させて、内服(入院中)
- ・サリドマイドの箱に患者名を書いている
- ・医師、薬剤師の両者から説明している
- ・各患者用に処方箋の手書発行している
- ・患者毎の管理としている
- ・施錠した場所からその都度取り出している
- ・自己管理

- ・主治医が患者に直接渡し、他の医師、看護師、薬剤師の手を経ることがないようにしている
- ・親権者立ち会いのもとで内服
- ・多く購入した場合、当面使用する分についてのみ病棟で預かり、他の薬とは別の場所に保管、毎回看護師が配薬する。残りの薬は患者または家族が保管する。外来患者については、全て患者または家族が保管する
- ・直接手渡し
- ・投薬している患者に自己管理がきちんと出来なければ、以後薬を処方しないと説明している。
- ・同時期に複数患者に使用しない
- ・特別に管理している
- ・入院中は必ず各自保管と、医師と看護師の指導を併用

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名について、82名(65.1%)の医師がサリドマイドを別の患者に誤使用しない工夫として、投薬指示の内容と使用患者の確認を行っており、薬剤部(科)での一括管理が37名(29.4%)でこれに続いた。

-H-6

外来患者にサリドマイドを使用する際、患者が正しく服用するためにどのような表示を行っていますか。(複数回答可)(有効回答数126名)

ア.販売名	28	22.2%
イ.用法・用量	68	54.0%
ウ.保管の方法	30	23.8%
エ.その他の表示	9	7.1%
オ.何も表示していない	23	18.3%
未回答	23	18.3%

「エ.その他の表示」

- ・他へ譲渡しない
- ・文書で回収指示を患者さんに渡している
- ・容器毎渡す
- ・医師が薬剤師に調整してもらい、1包1包渡している
- ・内服量を記載したメモを渡す
- ・服用確認表、シートの回収
- ・手書きで服用指導
- ・販売名がわかりにくいので、サリドマイドと書いている

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名について、外来患者がサリドマイドを正しく服用するための表示として、用法・用量を表示している医師が68名(54.0%)であり、保管方法(30名、23.8%)及び販売名(28名、22.2%)がこれに続いた。また、何も表示していない医師は23名(18.3%)であった。

-H-7

患者が確実に服用していることを確認するために何をしていますか。(複数回答可)(有効回答数126名)

ア.飲み残した薬剤の返還	33	26.2%
イ.服用した後の空き包装の医師への返還	5	4.0%
ウ.口頭で確認	92	73.0%
エ.その他	18	14.3%
オ.特に何もしていない	10	7.9%
未回答	5	4.0%

「エ.その他」

- ・空き包装の治験管理室へ返還
- ・TEL問合せ。ハガキでの定期チェック
- ・飲み残した薬剤を持参させ、確認
- ・家族に確認
- ・介助者による眠前内服を基本としている
- ・確実に服用しないのであれば、以後処方しないと患者に伝えるようにしています。
- ・看護師が服薬確認、目視。
- ・集中治療室だったので、スタッフ監視下
- ・初回治療は入院が原則であり、NSによる配薬、服薬確認を行っている。外来では、特別な確認を行っていない。

- ・担当ナースが口頭とその他（空包み）で確認
- ・短期処方としている
- ・日数分受診日または処方日）にあわせて、のみ処方を出す。
- ・入院については、看護師が毎服薬確認を手渡した時に行う。外来については何もしていない
- ・入院患者で ADL が悪いので看護師が内服確認している
- ・入院中なので、看護師が 1 回ずつ配薬し内服を確認
- ・文章にて日常生活の再診表を書かせ、また、薬剤の注文書にて確認

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名について、患者が確実に服用していることを口頭で確認している医師が92名（73.0%）であった。また、飲み残した薬剤を返還させている医師は33名（26.2%）であり、服用した後の空き包装を医師へ返還させている医師も5名（4.0%）いた。特に何も行っていない医師は10名（7.9%）であった。

-H-8

患者に交付したサリドマイドが居宅において患者以外の者に誤飲されないような工夫は考えていますか。（複数回答可）（有効回答数126名）

ア．患者に対して、子供らの手の届かない場所で保管する旨説明している	71	56.3%
イ．チャイルドプルーフの容器に入れて、小児等が勝手に薬剤を取り出せないようにしている	2	1.6%
ウ．その他	11	8.7%
エ．特に考えていない	27	21.4%
未回答	20	15.9%

「ウ．その他」

- ・家族の方にきちんと管理していただくよう本人を含めて話をした
- ・口頭で、注意した管理をお願いしている
- ・入院患者のみに使用した
- ・未使用な薬剤は可能な限り回収するよう努力しております
- ・注意を十分に喚起するよう反復して説明
- ・患者の管理に委ねている
- ・1日に必要な量しか渡さない
- ・ハガキ等で定期的に警告。特に TEL にてチェック

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名について、患者の居宅においてサリドマイドが他の者に誤飲されないよう、71名（56.3%）の医師が患者に対して子供らの手の届かない場所で保管する旨説明している。一方、特に考えていないと回答した医師は27名（21.4%）であった。

-H-9

患者が死亡した場合等、患者の手元に残っているサリドマイドを回収しましたか。（有効回答数126名）

ア．患者全員から回収している	55	43.7%
イ．一部の患者から回収している	19	15.1%
ウ．回収していない	15	11.9%
未回答	37	29.4%

未回答のコメント

- ・該当者なし

1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名のうち、患者が死亡した場合などにおいて、患者の手元に残っているサリドマイドを全ての患者から回収している医師は55名（43.7%）であり、一部の患者から回収している医師とあわせると74名（58.7%）であった。一方、回収していないと回答した医師は15名（11.9%）であった。

-H-10

-H-9 で「ア．患者全員から回収している」または「イ．一部の患者から回収している」と答えた方にお聞きします。患者または家族に残薬の回収について説明していますか。（有効回答数74名）

ア．患者本人に説明している	11	14.9%
イ．家族に説明している	7	9.5%
ウ．患者本人と家族の両方に説明している	44	59.5%
エ．説明していない	9	12.2%
未回答	3	4.1%

サリドマイドを交付した患者の手元に残った分を全てまたは一部の患者から回収している医師74名のうち、回収することに

ついて患者本人と家族の両方に説明している医師は44名(59.5%)であり、患者本人または家族に説明している医師を含めると62名(83.8%)であった。一方、説明していないと回答した医師は9名(12.2%)であった。

-H-11

アメリカでは1998年にサリドマイドを承認するにあたり、S.T.E.P.S.?という厳しい管理体制を実施していますが、それについてどう思いますか。

【別添】

主な意見

- ・日本においても同様の管理体制が必要と考えられる。その上で、サリドマイドが薬事法上に承認されることを希望します。
- ・妊娠可能な女性患者へのサリドマイド使用まで考えると、当然、厳しい管理体制が必要。
- ・基本的には管理体制は必要だとは思いますが、日本の実状に合わせた変更が必要。
- ・日本でも厚生労働省が主体となって行うべき
- ・理想的と思うが、今の日本の現状では、医師の負担の増加が危惧される。
- ・骨髄腫の治療目的に限定して考えると、この管理体制は必要ない。
- ・サリドマイド被害者の心情などを考慮すれば、厳重な管理体制は本来当然ともいえる。
- ・患者の多くが高齢者であり、患者自体の催奇性対策は不要と思われる。しかし、家族(特に子や孫など)には十分な注意が必要と思われ、この点に関する管理システムは必要と思われる。
- ・重要なことですが、あまりに煩雑にすることは賛成ではありません。現在出回っている薬剤の中には、もっと副作用の強いものがあるはず。それと比較してサリドマイドのみこういった煩雑な管理体制を施行することは、患者さん自身の利益を損なう可能性があります。
- ・当然多くの患者さんに恩恵があるような主旨で必要と考える。
- ・規制ばかりするのではなく、未承認薬については諸外国のEBMに基づき、多くの薬剤が使用できるように関係部局がもっと積極的に係わるべきと考えます。日本の医療は非常に閉鎖的であり、新薬の承認も遅く問題である。
- ・今後、低用量が増加することが予測され、必要なことと思われる。
- ・できる限り、STEPSに準じた厳しい管理体制をしき、その上で保険診療としてサリドマイドを承認した、その体制確立は、できるだけ早急に
- ・準じて出来る体制を整備している。現実には、財政的援助がなく、準備は我々医師個人の負担となっています。
- ・必要なことだと思う。このような努力が米国での承認になると思う。
- ・妊娠の可能性のある女性には処方すべきではない。ただし、実際に化学療法抵抗性となった女性が妊娠できる状態にあるとは考えにくい。
- ・妊娠女性内服については、他の抗癌剤も同様に催奇形性の恐れがあるので、きちんとサリドマイドを“抗癌剤”との認識とすべきではないか。
- ・米国でのこのような厳重な管理を早期に導入することは、日本で現在行われているような中途半端な方法と異なり、はっきりとした態度であり、日本も見習うべきである。

主な意見としては、厳しい管理体制を当然とする意見のほか、わが国での同様の管理体制が必要とする意見が多かった。その他、厳しすぎるようにも思うが承認されて一般的に処方できるようになる際は妊娠に関するトラブルが生じないように基準が必要とする意見や煩雑すぎるという意見もあった。

-H-12

今後の日本でサリドマイドによる新たな被害を防ぐために、どのような方法を取るべきとお考えですか。(複数回答可)

左側の数字：アンケート回答者全員(有効回答数154名)、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師(-C-1より)(有効回答数126名)

ア．サリドマイドを使用する医師を制限する	56	36.4%	52	41.3%
イ．サリドマイドを使用する場合は届け出るようにする	78	50.6%	69	54.8%
ウ．サリドマイドの管理・保管方法を厳格にする	92	59.7%	83	65.9%
エ．サリドマイドを服用する患者への教育・啓蒙	111	72.1%	100	79.4%
オ．その他	13	8.4%	13	10.3%
未回答	17	11.0%	3	2.4%

「オ．その他」

- ・STEPSのようなシステムを作るべきである
- ・法的な整備をしっかりとらせるべきである
- ・ガイドライン、規程、等を作成して、それに準じる

- ・サリドマイドの仲介業者を限定する
- ・サリドマイド販売に当たって、業者に利益があがらないようにすることが大事だと思われる。利益が上がれば売ると買う人が混沌とする
- ・医薬品として、適応を明らかにし、承認薬とする
- ・公的医療機関、行政での公平・公式な治療効果調査・運営システムの調査を願います。
- ・抗がん剤としてのみ承認する。他の抗がん剤も同様の妊婦への害があるため、同様の扱いでよいと思われる。
- ・残薬の処分方法の取り決め
- ・他の抗がん剤と同様であり、他の経口抗がん剤処方と区別する理由はない
- ・多発性骨髄腫の場合、患者の会と専門医の部会が主導して輸入し、審査に合格した症例に対し、主治医に供給してはどうか。
- ・適応をしっかりと定めて、openな形で使用する。
- ・麻薬の管理と同じようにする。処方も可能にする。

回答のあった154名の医師からは、サリドマイドによる新たな被害を防ぐためには服用する患者への教育・啓蒙を行うべきとする意見が111名(72.1%)と最も多く、管理・保管方法の厳格化が92名(59.7%)とこれに続いた。また、1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名においても、サリドマイドによる新たな被害を防ぐためには服用する患者への教育・啓蒙を行うべきとする意見が最も多く100名(79.4%)であり、管理・保管方法の厳格化が83名(65.9%)とこれに続いた。

-H-13

サリドマイドを輸入して使用することについて、それらに関する規定等のガイドラインの必要性について、どのようにお考えですか。

左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数154名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（-C-1より）（有効回答数126名）

1. 必要である	105	68.2%	97	77.0%
2. 必要でない	9	5.8%	9	7.1%
3. わからない	22	14.3%	14	11.1%
未回答	18	11.7%	6	4.8%

【理由】

【別添】

主な意見

ガイドラインが「必要である」:

- ・品質に関する詳しい、信頼できる情報が得られる。(使用者側)輸入代、価格の統一が望ましい。サリドマイド使用・輸入の一括管理ができる。
- ・現行では、患者の強い要望に押し切られる形で担当医がサリドマイドの有効性、安全性を十分に把握しきれないまま、サリドマイドが使用されている例もあると考えられるため。
- ・我々の病院でも患者からの要望で使用した経緯あり。情報が氾濫しており、また過去に薬害を起こした薬であり、国が作成すべきと思います。
- ・学会などと指針を作成すればと考えます。
- ・副作用が顕著な場合がある薬剤を無制限に、無監視下で使用すべきではないため、このアンケートで当方の不備な点が明らかになった。これらの是正にも一定のルールが必要。
- ・使用する医師としても、ガイドラインがあった方が同薬を使い易い。また、ガイドラインを患者や家族に呈示することによって、薬の管理等について教育する効果も生まれると思います。
- ・輸入などきちんとすべきである。
- ・ガイドラインはEBMに準拠した、あるいは厚生労働省や学会が作成するもの科学的な、という意味合いよりむしろ、サリドマイド被害者にむけたメッセージ的な意味合いが必要です。サリドマイドは本来「特異かつ重篤な副作用をもつ抗腫瘍剤(あるいは抗炎症剤)」であるはずですが、何といてもこの薬剤の過去の歴史が重すぎます。一方、サリドマイドの純医学的適応は広がっていく可能性があります。今の段階で何らかの社会的けじめをつけないと、サリドマイドの第二の不幸な歴史を作ることになりかねません。「ガイドライン」は必要ですが、それは他の「ガン治療ガイドライン」などとは思想において異なるものにならざるを得ません。
- ・海外で行われているように種々の難治性疾患への効果が期待できるため投与が必要な患者は少なくない。国内で製造承認が得られるまでは、輸入が必要だが、効果判定など評価可能な体制作りを行うべき。

ガイドラインが「必要でない」:

- ・本来国内で、厚生労働省が認めて法律に従って販売されるべきであり、現在の様な個人輸入をして使用することは異常であり、長期に続くべきことではない。
- ・ガイドラインを作るより、早く、サリドマイド使用のためのシステム構築が必要。ガイドラインには拘束力がない。
 回答のあった154名の医師のうち、サリドマイドを輸入して使用することに規定等のガイドラインが必要とする意見は105名(68.2%)あり、必要でないとする意見は9名(5.8%)であった。また、1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名においては、ガイドラインが必要とする意見は97名(77.0%)あり、必要でないとする意見は9名(7.1%)であった。
 ガイドライン等を必要とする理由としては、不適切な使用をふせぐ、乱用をふせぐ、薬害を防ぐなどがあげられた。一方、必要でないとした理由としては、本来承認されて販売されるべきとする意見や現行規制で対応可能などの意見があった。

-H-14

サリドマイドは、薬事法上の承認を取得して使用されるべきと思いますか。

左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数154名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（ -C-1より）（有効回答数126名）

1. 思う	111	72.1%	103	81.7%
2. 思わない	5	3.2%	5	4.0%
3. わからない	25	16.2%	16	12.7%
未回答	13	8.4%	2	1.6%

【理由】

【別添】

主な意見

承認取得して使用する必要があると「思う」

- ・対象が明確になると思います。（多発性骨髄腫、ハンセン病）、患者さんの負担の問題（軽減されると思います。）、管理法が徹底される。
- ・未承認のまま、個人輸入で使うという現状が続くと危険
- ・今後も広い領域で使用される可能性があり、保険適応も必要と考えられるため。
- ・副作用の把握がしやすくなるため。
- ・個人輸入をするために厚生労働省あて申請書を書いていました。全て輸入した医師個人に責任を負わせる現行のシステムは、明らかに日本国の責任逃れです。
- ・従来、化学療法無効などにより、治療が行えず事実上放置されていた患者に対し、エビデンスのある治療を試みることができると。輸入代行業者を通しての輸入は高価であり、そのため不正もおきやすく、正規の薬剤として投与する方がむしろ安全。
- ・混合診療を避けるため。
- ・難治性疾患の患者からの要請があるにもかかわらず、いつまでも医療現場だけに使用責任を押し付けるのは国として無責任。薬事法上承認するか、さもなければ全面輸入禁止にしてしまう（その場合、医師は、サリドマイドを使わなかった責任を患者から問われることはない）など、国として態度をはっきりさせてくれなくては困る。
- ・副作用の判明しているある意味「危険」な薬であるので、真に必要であると判断されれば、薬事法上もきちんと承認した上で、使用すべきであるとする。その上で、使用かどうかの最終判断は、患者本人が決定すべきであるとする。
- ・国が黙認する形はやはりまずいと思います。しかし、その過程には配慮を要します。やはりサリドマイドは「特別の薬です。」承認取得して使用する必要があると「思わない」
- ・「多発性骨髄腫」にのみ言えば、既に、明らかな臨床上的効果が認められ、実際に国内で使用されている。治験をやるといっても、その間に治療してもらえない患者が増えるだけである。
承認取得して使用する必要があると「わからない」
- ・承認が望ましいが、承認がなければ使用できないことが続くと、癌治療を望む患者さんに対応できないことも問題となるため
 回答のあった154名の医師のうち、サリドマイドを薬事法上の承認を取得して使用されるべきとする意見は111名(72.1%)あり、承認取得が必要とは思わないとする意見は5名(3.2%)であった。また、1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名においては、承認取得が必要とする意見は103名(81.7%)あり、必要とは思わないとする意見は5名(4.0%)であった。

薬事法上の承認取得が必要とする理由としては、治療薬として有用である、安全に使用する、経済的負担の軽減などがあげられた。一方、必要でないとした理由としては、現実的に難しい、治験をやるといってもその間治療してもらえない患者が増えるだけなどの意見があった。

-H-15

-H-14で「1. 思う」と回答された方にお聞きします。医師主導の治験（承認申請を目的として、医療機関がメーカーから薬物の提供を受けて行う治験）とする必要性があると思いますか。

左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数111名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（-C-1より）（有効回答数103名）

1. 思う	63	56.8%	61	59.2%
2. 思わない	25	22.5%	23	22.3%
3. わからない	22	19.8%	18	17.5%
未回答	1	0.9%	1	1.0%

【理由】

【別添】

主な意見

医師主導の治験は必要であると「思う」

- ・メーカーが行うとは思えないから。
- ・医師主導の治験の方が承認が円滑に行われる可能性が高い
- ・日本人を対象とした臨床試験や治験は必要と思います。このため我々は、単施設での臨床試験を行い成果を発表して参りました。次に、進むべきステップは、多施設で多数の患者さんを対象にした第 相後期・第 相試験であり、その際、品質管理や膨大なデータ処理が必要と思います。それには、厚労省指導のもと、メーカーとタイアップして行うしか方法はないと思います。

医師主導の治験は必要であると「思わない」

- ・メーカーのすべき事項
- ・すでに十二分に海外での証拠があり、今更治験でもないと思う。やるとすれば、IMiDs や PS-341 の治験の方だと思います。日本人のエビデンスと称して、追試（古いデータ）をしてもナンセンス!と思います。

サリドマイドについて薬事法上の承認取得が必要と回答した111名の医師のうち、医師主導の治験が必要と回答した医師は63名（56.8%）であり、必要とは思わないと回答した医師は25名（22.5%）であった。また、1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師であって、かつ薬事法上の承認取得が必要と回答した103名の医師においては、医師主導の治験が必要と回答した医師が61名（59.2%）あり、必要とは思わないと回答した医師は23名（22.3%）であった。医師主導の治験が必要とする理由としては、有効性・副作用を明らかにする、それしか方法がない、メーカー主導では治験ができないなどがあげられた。一方、必要でないとした理由としては、治験に時間がかかる、有効性・副作用の十分なデータが既にあるなどの意見があった。

-I 副作用への対処方法

-I-1

サリドマイドを使用中の患者に副作用が発生した場合の対処方法について、あらかじめ考えていますか。

左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数154名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（-C-1より）（有効回答数126名）

1. 考えている	105	68.2%	103	81.7%
2. 考えていない	18	11.7%	17	13.5%
未回答	31	20.1%	6	4.8%

回答のあった154名の医師のうち、サリドマイドを使用中の患者に副作用が発生した場合の対処方法についてあらかじめ考えていると回答した医師は105名（68.2%）であり、考えていないとした医師は18名（11.7%）であった。また、1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名においては、103名（81.7%）の医師があらかじめ対処方法を考えていると回答し、考えていないと回答した医師は17名（13.5%）であった。

-I-2

-I-1で「1. 考えている」と回答された方にお聞きします。副作用が発現した場合の具体的な対処方法を教えてください。（有効回答数105名）

【別添】

副作用が発現した場合の具体的な対処方法としては、減量又は使用の中止といった量的な調節とステロイドの使用による対症療法が多かった。

サリドマイドの使用による副作用が発生した場合を想定して、患者との間で補償問題について事前に話していますか。

左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数154名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（-C-1より）（有効回答数126名）

1.話している	30	19.5%	30	23.8%
2.話していない	91	59.1%	89	70.6%
未回答	33	21.4%	7	5.6%

回答のあった154名の医師のうち、サリドマイドの使用による副作用が発生した場合を想定して、患者との間で補償問題について事前に話していると回答した医師は30名（19.5%）であり、話し合っていないと回答した医師は91名（59.1%）であった。また、1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名においては、30名（23.8%）の医師が事前に話していると回答し、話していないと回答した医師は89名（70.6%）であった。

サリドマイドに関する論文の公表について

左側の数字：アンケート回答者全員（有効回答数154名）、右側の数字：サリドマイドの使用経験がある医師（-C-1より）（有効回答数126名）

1.ある	28	18.2%	28	22.2%
2.ない	104	67.5%	95	75.4%
未回答	22	14.3%	3	2.4%

回答のあった154名の医師のうち、サリドマイドに関する論文を公表したことがあると回答した医師は28名（18.2%）であった。また、1962年以降、新たにサリドマイドを使用した経験のある医師126名においては、28名（22.2%）の医師が論文を公表していた。

サリドマイド使用の契機、有効性、安全性、意義、今後の規制のあり方等について、コメントがありましたら、ご自由にお書き下さい。

【別添】

主な意見

- ・我々は、単施設での臨床試験を行い、成果を発表しました。-H-15で述べたように、多施設での検討が必要と思われ2000年5月にがん集学的治療研究財団の特定研究に応募し、採択の内諾を得、プロトコル作成など準備を進めてきましたが、昨年末よりメディアが同薬の使用を取り上げ、社会問題となってしまいました。このため、同計画は中断し、厚労省からの指針を待機している状態です。医療サイドとしては、全国スタディー開始の準備はできており、薬の提供と品質管理をしてくれるメーカーの出現と厚労省からの指導と研究費サポートと研究班の設置もお願いしたいと思えます。医療サイドから見た現時点での問題は、サイドマイド投与を受けられる患者と受けられない患者がいるという不公平にあると思えます。我々もできる限りお受けしておりますが、キャパシティに限界があり、また遠方の患者さんは安全管理が行き届かないため、お断りしています。全国の骨髄腫の患者さんが、血液内科医の判断と管理のもと、サリドマイド療法が受けられる体制を早急に作る必要があります。
- ・患者さんは、医師が考える以上に、インターネットより情報を入手しており、素人ながらサリドマイド治療に精通しています。やみくもに規制するだけでは患者さん（=国民）の納得は得られません。一方で患者さんの利益優先という題目のもと、輸入されたサリドマイドが乱用されれば、新たな薬害を生む可能性は充分あります。従って、との整合性を求めれば、日本国がサリドマイドを薬事法のもとで認可し、使用施設（使用医師）対象となる疾患（患者さん）を明確にすべきと考えます。
- ・バイアグラRやグリベックRでできた事が、なぜサリドマイドでできないのでしょうか。
- ・サリドマイドは副作用の多い薬剤ですが、薬効も確かにあります。多発性骨髄腫患者の多くは高齢で、乏しい年金収入を削って購入される方もいらっしゃいます。私はなるべく安価に購入できるよう、努力してまいりましたが、先月患者の会が輸入代行を取りやめたことにより、輸入代が約4倍に増えました。これでは、適応のある方すべてにサリドマイドをお勧めすることができなくなります。何とか一刻も早く厳重な管理体制を整えた上で、安価な供給ができる（なるべく健保適応で）ようになることを願います。
- ・各種報道が行われれば、その放映内容（賛否）に関わらず、治療希望者が増加する現状には、かなり困惑します。現状、行政等の一定の見解決定まで受診者以外への公知（インターネット）は控えておりますが、各メディアでの興味的意見、賛否論は過去の被害者、あるいはがん患者の自己決定権等に悪影響ありと考えます。従いまして、早急な研究、とりまとめをお願いしたいと存じます。

- ・このアンケートは、ひたすらサリドマイドの催奇性を興味の焦点として作られている。
- ・医療者 患者（ ） 患者 回収 医療者（ ） 患者 大衆（ ） サリドマイドについて のサイクルが閉じていることが重要であり（すなわち、 の経路を断つシステム） その方法論を展開されることを望みます。すなわち、患者からサリドマイドを回収し、他人に渡さないシステムが必要
- ・サリドマイドの悪い面があるばかりに、このアンケートも「サリドマイド」を中心に行われているが、MS コンチン他外来処方する麻薬、アルケラン、ハイドレア、ラステット他、外来処方する抗がん剤等、サリドマイドに限らず厳重に管理が必要な薬は数多くあり、患者以外が誤飲すれば、生命に関わる点では、サリドマイド以上に危険が大きい。サリドマイドだけを問題視するのはおかしいと考える。また、サリドマイドが多発性骨髄腫に承認されていない点も問題と考える。
- ・現在、日本骨髄腫患者の会は、サリドマイドの輸入代行を、一連の騒ぎの後、中止しています。サリドマイドで治療中の患者さんは、他の抗がん剤が効かず、やっとサリドマイドで効果があったと喜んでいたのに、これから薬が入手する見込みがなく困っています。民間の代行業者では、これまでの1錠約250円の約3～4倍請求され1日の薬代だけで、2000円以上となり、高齢患者には払えない額です。
- ・大至急、混乱を收拾して、必要な患者にサリドマイドが安定して渡るようにして頂きたい。
- ・最近のマスコミの取り上げ方で、薬害患者に比重が重すぎる印象があります。治療を受けられずに苦しむ患者の人権についても配慮すべきです。
- ・現在の姿は、過渡期としては許されるかもしれないが、持続するのは好ましくない。早急に厚労省が責任をもって、使用についてガイドライン等をつくるべきである。輸入についても、患者の会が撤退したことで、代行業者からの入手では、価格が倍以上になり患者の負担も大きくなる。放置するのは厚労省の怠慢である。
- ・現在の立場は、多発性骨髄腫患者側なので、マスコミも両者の意見を十分に反映して報道して欲しい
- ・意義と今後の規制：サリドマイドの安全性の問題はありますが、骨髄腫に対する効果は確立しています。サリドマイドの抗骨髄腫効果と安価な点から、今後、使用頻度が増すことが予想されるため、サリドマイドの使用、副作用、管理・保管を規定するガイドラインが必要です。また経費や時間がかからないかたちでの医師主導の治験が必要であると思います。
- ・サリドマイドに限らず、日本で発売されていない抗腫瘍薬については、使用ガイドライン（各学会あるいは厚労省が主体となって）を作成すべきと思います。