

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬
検討会議」の検討結果に基づく開発要請等の
対応について

未承認薬・適応外薬解消に向けての検討について

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(未承認薬等)を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。

未承認薬・適応外薬に係る要望を公募。募集期間は第Ⅰ回は2009年6月18日から8月17日まで、第Ⅱ回は2011年8月2日から9月30日まで。2013年8月1日より要望の随時受け付け開始。

<公募した要望の要件(第Ⅱ回)>

次の(1)及び(2)の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

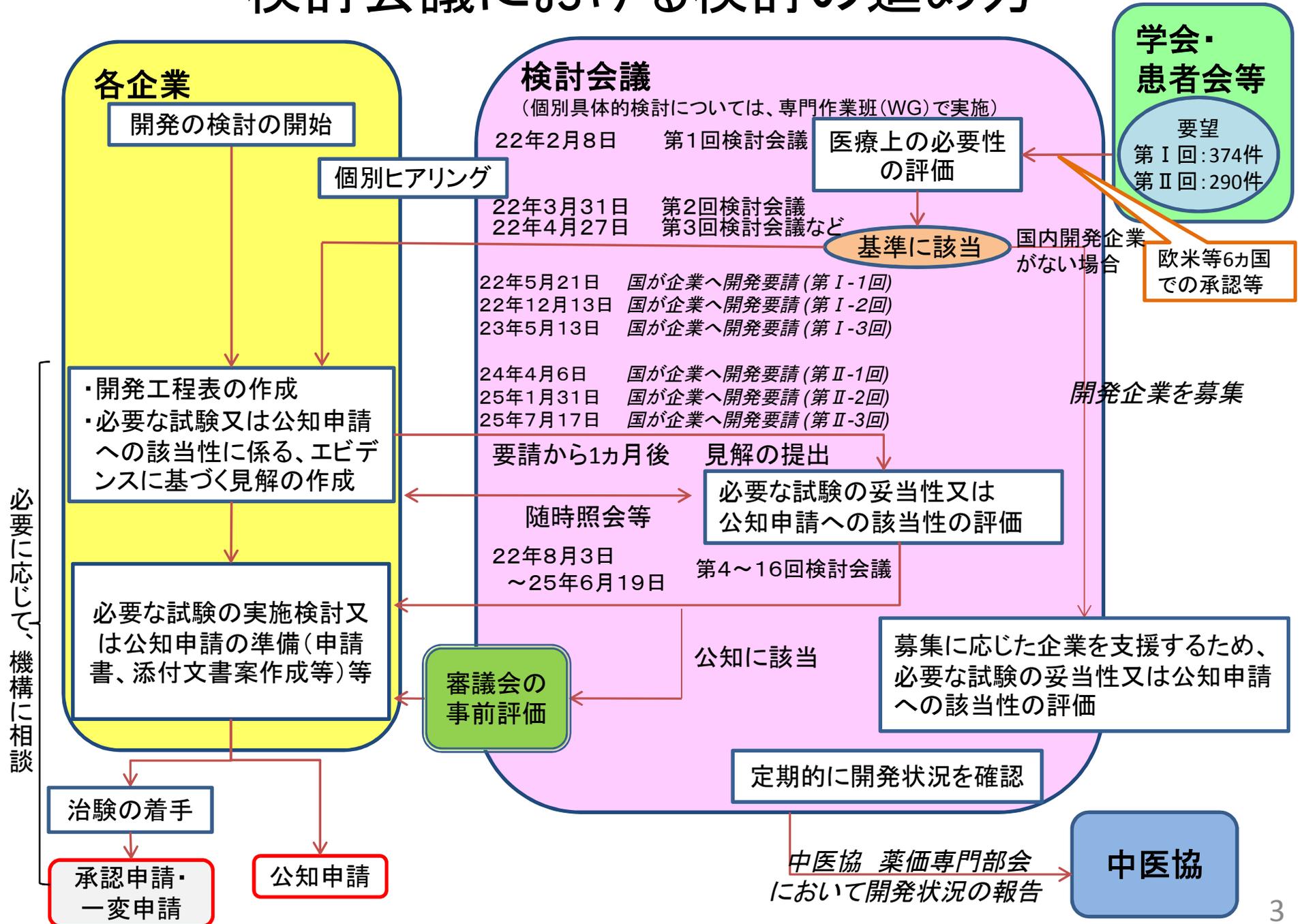
- (1) 適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合
 - ア 生命の重大な影響がある疾患(致死的な疾患)
 - イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
 - ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- (2) 医療上の有用性が次のいずれかの場合
 - ア 既存の療法が国内にない
 - イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
 - ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

○未承認薬
欧米等6ヶ国(米、英、独、仏、加、豪)のいずれかの国で承認されていること。

○適応外薬
欧米等6ヶ国(米、英、独、仏、加、豪)のいずれかの国で承認(一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む)されていること。

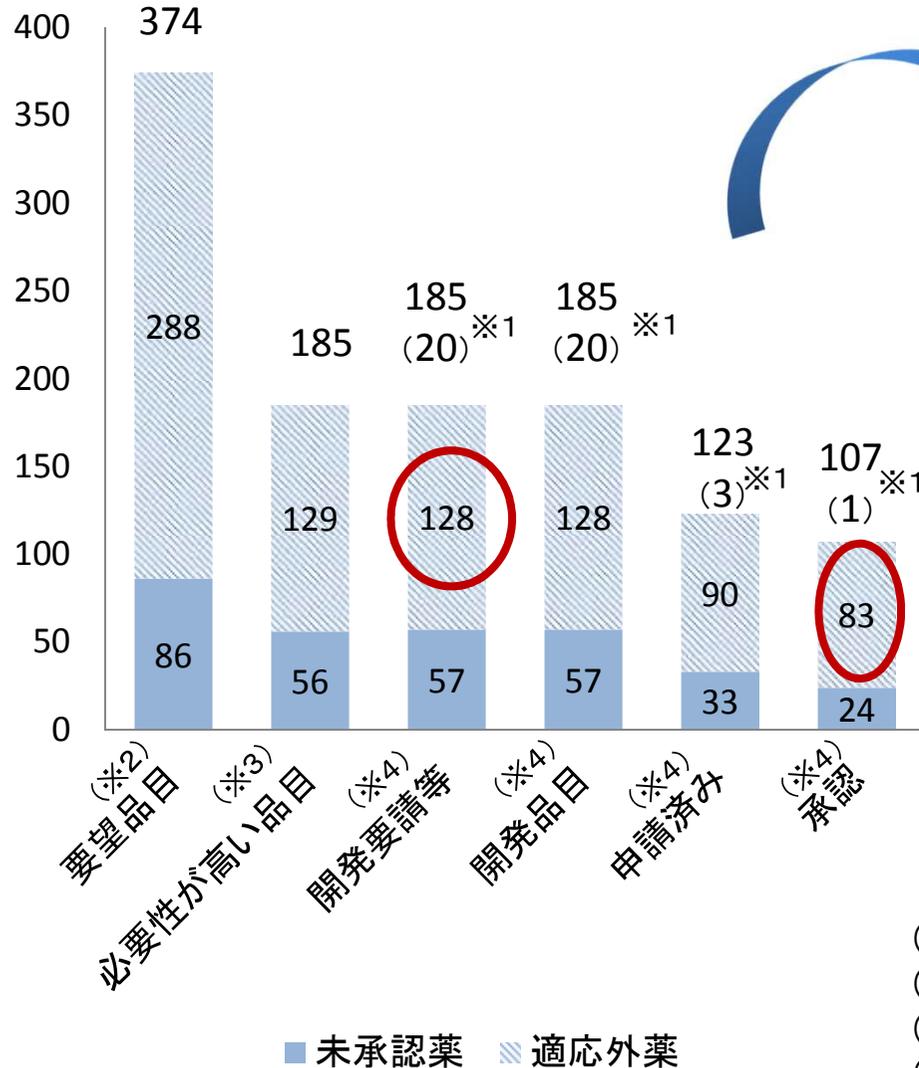


検討会議における検討の進め方

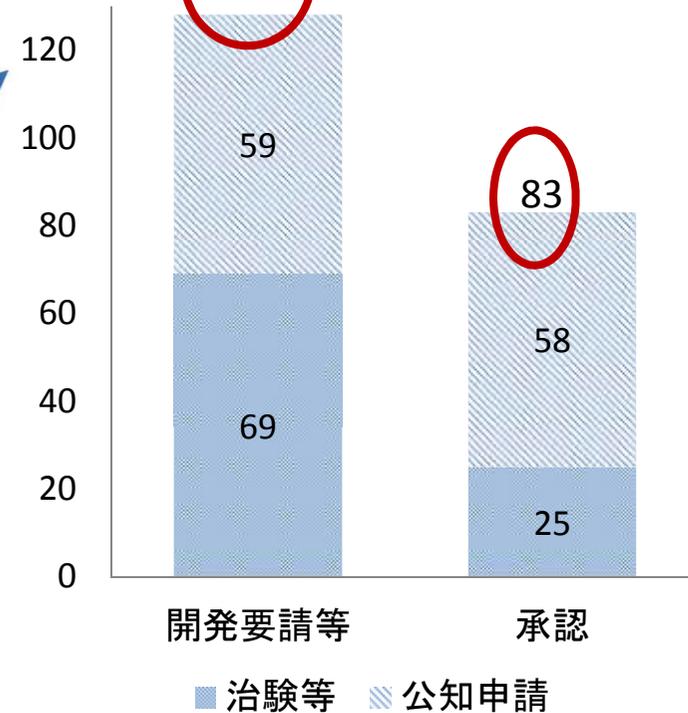


第 I 回要望募集の進捗について

進捗状況の内訳件数



適応外薬のうち開発要請と承認に係る開発状況



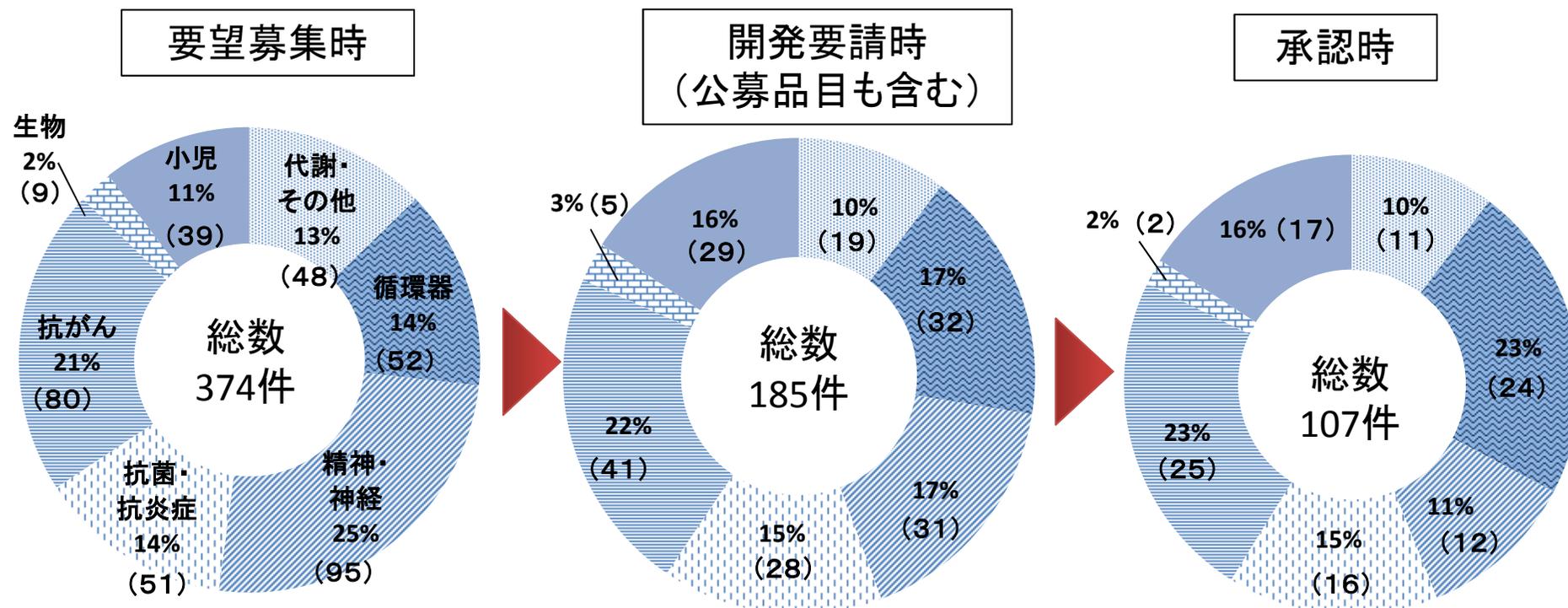
(※1) 公募品目の件数

(※2) 平成21年8月17日時点

(※3) 第17回検討会議(平成25年10月7日)までの検討

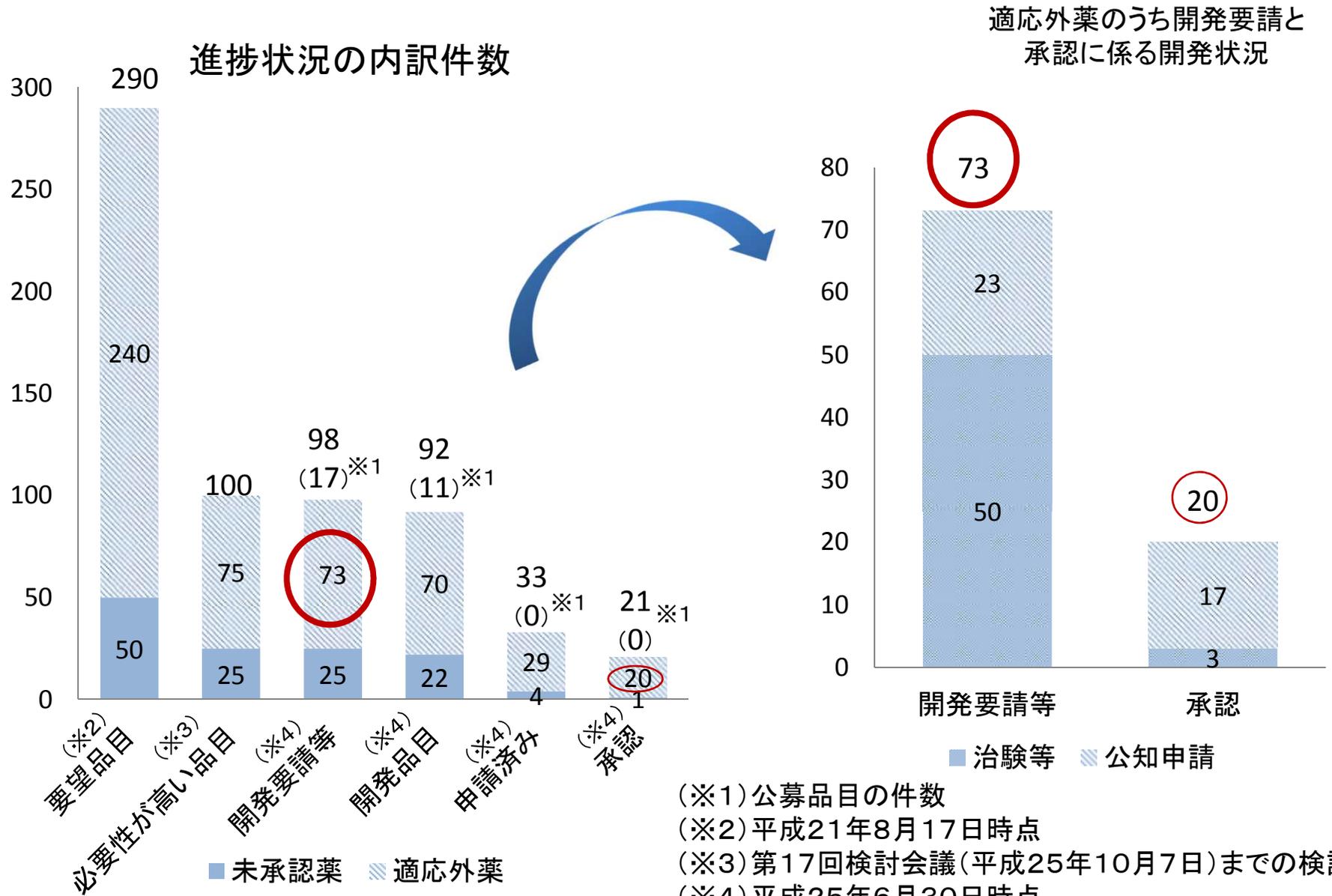
(※4) 平成25年6月30日時点

第 I 回要望募集の分野別の検討状況について



- 代謝・その他WG: 消化器官用薬(潰瘍性大腸炎など)、外皮用剤、免疫抑制剤、ホルモン剤(インスリンなど)、代謝性疾患用薬(骨粗鬆症用薬など)、その他(他のどの分野にも該当しないもの) ※()は件数
- 循環器WG: 循環器官用薬(高脂血症など)、抗パーキンソン病薬、泌尿・生殖器官用薬(避妊薬など)、配合剤(輸液など)、体内診断薬・放射性医薬品
- 精神・神経WG: 中枢神経系用薬(抗てんかん薬など)、末梢神経系用薬(抗けいれん薬など)、麻酔用薬(全身麻酔など)、感覚器官用薬(眼科用剤など)、麻薬
- 抗菌・抗炎症WG: 抗菌薬、抗ウイルス薬、抗エイズ薬、アレルギー用薬(アレルギー性鼻炎など)、膠原病薬(関節リウマチなど)、呼吸器官用薬(気管支喘息など)
- 抗がんWG: 固形癌(胃癌、肺癌、乳癌など)、血液腫瘍(白血病、多発性骨髄腫など)
- 生物WG: ワクチン、血液製剤
- 小児WG: 上記6つの分野のうち、主に小児に適用のもの

第Ⅱ回要望募集の進捗について



第 I 回要望に係る専門作業班（WG）の 検討状況の概要等について

1. 医療上の必要性の評価について

検討会議における医療上の必要性の評価は、下表のとおりであった。

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	10	5	10	3	11	56	185
		適応外薬	12	22	21	23	31	2	18	129	
	必要性高くない	未承認薬	4	1	2	0	2	1	1	11	81
		適応外薬	9	4	27	9	18	3	0	70	
海外承認等なし	未承認薬		3	2	3	5	4	0	1	18	104
	適応外薬		12	14	30	9	13	0	8	86	
承認済み	未承認薬		0	0	0	0	1	0	0	1	4
	適応外薬		0	0	2	0	1	0	0	3	
合計			48	52	95	51	80	9	39	374	

2. 医療上の必要性が高いとされた品目について

医療上の必要性が高いとされたものについては、下記の通り開発要請等を行っている。

- ①平成22年4月27日に開催された第3回会議までに医療上の必要性が高いとされたもの（108件）については、平成22年5月21日に企業に開発要請（92件）又は開発企業の募集（16件）を行った（第1回開発要請等）。
- ②第1回開発要請等以降、平成22年11月10日に開催された第6回会議までに医療上の必要性が高いとされたもの（74件）については、平成22年12月13日に企業に開発要請（72件）し、又は速やかに開発企業の募集（2件）を行った（第2回開発要請等）。
- ③平成23年4月18日に開催された第7回会議において医療上の必要性が高いとされたもの（4件）については、平成23年5月13日に企業に開発要請（3件）し、又は速やかに開発企業の募集（1件）を行った（第3回開発要請等）。

開発要請等を行ったものについては、承認申請のために実施が必要な試験の妥当性や公知申請への該当性の確認などを行うこととしている。

(1) 開発要請等したものの検討状況

第I回要望品目について、開発要請等したもののうち、実施が必要な試験や公知申請の妥当性について、各専門作業班（WG）における平成25年9月までの検討状況は下表のとおりである。

各WGの検討状況		合計	
企業に開発要請したもの		165	
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	60	
既に関済に着手しているもの (承認申請済みのものを含む)	未承認薬	29	53
	適応外薬	24	
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	14	52
	適応外薬	38	
実施が必要な試験や公知申請の妥当性について 検討中のもの	未承認薬	0	0
	適応外薬	0	
開発企業を公募したもの		20	
合計		185	

第Ⅱ回要望に係る専門作業班（WG）の
検討状況の概要等について

1. 医療上の必要性の評価について

平成25年6月19日に開催された第16回会議を踏まえた医療上の
必要性に係る評価の進捗状況は、下表のとおりであった。

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	0	8	2	3	8	1	3	25
		適応外薬	11	9	5	12	24	2	12	75
	必要性高くない	未承認薬	1	0	2	3	2	3	0	11
		適応外薬	4	2	13	24	21	1	5	70
検討対象外	未承認薬	3	0	0	1	3	0	6	13	
	適応外薬	18	7	9	15	14	1	11	75	
検討中	未承認薬	0	0	0	1	0	0	0	1	
	適応外薬	0	6	8	0	0	0	6	20	
合計			37	32	39	59	72	8	43	290

2. 第16回会議時点で検討中であったものに係る評価の進捗状況

第16回会議時点で医療上の必要性について検討中であったもの（21
件）について、平成25年9月までにWGで行われた医療上の必要性に係
る評価の進捗状況は、下表のとおりである。

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	0	0	0	0	0	0	0	0
		適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0
	必要性高くない	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0
		適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0
検討対象外	未承認薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
	適応外薬	0	0	0	0	0	0	0	0	
検討中	未承認薬	0	0	0	1	0	0	0	1	
	適応外薬	0	6	8	0	0	0	6	20	
合計			0	6	8	1	0	0	6	21

3. 医療上の必要性が高いとされた品目の現状について

医療上の必要性が高いとされ、下記のとおり開発要請等を行ったものについては、承認申請のために実施が必要な試験の妥当性や公知申請への該当性の確認などを行うこととしている。

- ① 平成24年3月23日に開催された第11回会議において医療上の必要性が高いとされた80件については、平成24年4月6日に企業に開発要請（67件）又は開発企業の募集（13件）を行った。
- ② 平成24年7月30日に開催された第12回会議において医療上の必要性が高いとされたイブプロフェン リジン塩（要望番号Ⅱ-33）について、開発企業の募集を行った。
- ③ 第12回から第14回会議（平成24年12月26日開催）において医療上の必要性が高いとされた17件については、平成25年1月31日に企業に開発要請（14件）又は開発企業の募集（3件）を行った。
- ④ 第15回（平成25年3月25日開催）及び第16回会議（平成25年6月19日開催）において医療上の必要性が高いとされた2件については、平成25年7月17日に企業に開発要請（2件）を行った。

これらについて、平成25年9月までの検討状況は下表のとおりである。

各WGの検討状況		合計	
企業に開発要請したもの		83	
公知申請が妥当であるもの	適応外薬	26	
既開発に着手しているもの (承認申請済みのものを含む)	未承認薬	5	15
	適応外薬	10	
治験の実施等が必要と考えられるもの	未承認薬	4	23
	適応外薬	19	
実施が必要な試験や公知申請の妥当性 について検討中のもの	未承認薬	4	19
	適応外薬	15	
開発企業を公募したもの		17	
合計		100	

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

- 下表の医薬品については、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で医療上の必要性が高いという評価を得て、開発企業の募集を行った医薬品のリストです。
- 開発企業の募集又は開発要請の取扱いについては、「開発要請先企業の指定の考え方について」(参考資料4-2)に基づいて決定しています。

<第I回要望募集>

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	フェニル酪酸ナトリウム	尿素サイクル異常症	シミックホールディングス(株)(承認後、オーファンパシフィック(株)へ承継)	承認済
2	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	キッセイ薬品工業(株)	承認申請中
3	ベタイン	ホモシスチン尿症	(株)レクメド	承認申請中
4	メロニダゾール	静注剤の剤形追加、嫌気性菌感染症、アメーバ赤痢	ファイザー(株)	承認申請中
5	ニチシノン	チロシン血症I型	アステラス製薬(株)	承認申請準備中
6	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	グラクソ・スミスクライン(株)	承認申請準備中
7	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	藤本製薬(株)	治験実施中
8	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	富士製薬工業(株)	治験準備中
9	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	富士製薬工業(株)	治験準備中
10	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	武田薬品工業(株)	未公表
11	メチレンブルー	薬剤性のメトヘモグロビン血症	第一三共(株)	未公表
12	ハイドロモルフォン塩酸塩	癌性疼痛の軽減	第一三共(株)	未公表
13	モルヒネ塩酸塩水和物	中等度から高度の疼痛をとまなう各種癌における鎮痛及び難治性慢性疼痛に対する鎮痛における体内植え込み型薬剤投与ポンプを用いた脊髄くも膜下腔内持続投与	あり(企業名未公表)	未公表
14	アルデスロイキン	悪性黒色腫	あり(企業名未公表)	未公表
15	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	(株)ポーラファルマ(共同開発企業名未公表)	未公表
16	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	あり(企業名未公表)	未公表
17	3,4-ジアミノピリジン	Lambert-Eaton筋無力症候群による筋力低下の改善	あり(企業名未公表)	未公表
18	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	あり(企業名未公表)	未公表

19	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、臍嚢胞線維症の気道感染症	あり(企業名未公表)	未公表
20	ナフシリン	ペニシリナーゼ産生ブドウ球菌による感染症	あり(企業名未公表)	未公表

<第Ⅱ回要望募集>

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	ヒスタミン二塩酸塩	アレルギー皮膚テスト実施時の陽性コントロールとして使用する(成人)	日本たばこ産業(株) 鳥居薬品(株)	治験実施中
2	ヒスタミン二塩酸塩	アレルギー皮膚テスト実施時の陽性コントロールとして使用する(小児)	日本たばこ産業(株) 鳥居薬品(株)	治験実施中
3	メサコリン塩化物	気管支喘息の診断(成人)	(株)三和化学研究所	未公表
4	メサコリン塩化物	気管支喘息の診断(小児)	参天製薬(株)	未公表
5	カルグルミック酸	イソ吉草酸血症、メチルマロン酸血症、プロピオン酸血症における高アンモニア血症の改善	(株)ポーラファルマ (共同開発企業名未公表)	未公表
6	ジメチルスルホキシド	間質性膀胱炎	あり(企業名未公表)	未公表
7	メチロシン	褐色細胞腫	あり(企業名未公表)	未公表
8	ペガデマーゼ	アデノシン・デアミナーゼ(ADA)欠損症に対する酵素補充療法	帝人ファーマ(株)	未公表
9	チオテバ	自家又は同種造血幹細胞移植の前治療(成人)	あり(企業名未公表)	未公表
10	チオテバ	自家又は同種造血幹細胞移植の前治療(小児)	あり(企業名未公表)	未公表
11	イブプロフェン リジン塩	早産児動脈管開存症	千寿製薬(株) (共同開発企業名未公表)	未公表
12	ベンジルペニシリンベンザチン	注射剤の剤形追加 神経梅毒を除いた、第1期、第2期、早期潜伏性梅毒、後期潜伏性梅毒、感染期間不明な後期梅毒の治療(成人)	なし	未公表
13	ベンジルペニシリンベンザチン	注射剤の剤形追加 神経梅毒を除いた、第1期、第2期、早期潜伏性梅毒、後期潜伏性梅毒、感染期間不明な後期梅毒の治療(小児)	なし	未公表
14	スルファジアジン	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発予防	なし	未公表
15	3-ヨードベンジルグアニジン(¹³¹ I)	神経芽腫	なし	未公表
16	3-ヨードベンジルグアニジン(¹³¹ I)	褐色細胞腫	なし	未公表
17	3-ヨードベンジルグアニジン(¹³¹ I)	甲状腺随様癌	なし	未公表