

## 希少疾病用医薬品・医療機器の承認時の臨床症例について

## 1. 医薬品

販売名	一般名	製販業者	適応	申請区分	臨床試験の症例数	国内推定患者数
ナグラザイム点滴 静注液5mg	ガルスルファーゼ (遺伝子組み換え)	アンジェス MG	ムコ多糖症Ⅵ型	新有効成分含有 医薬品	海外 55例 (国内臨床研究 中間報告3例)	4人
エラプレース点滴 静注液6mg	イデュルスファー ゼ	ジェンザイム・ ジャパン	ムコ多糖症Ⅱ型	新有効成分含有 医薬品	海外 108例 (日本人:海外試験参 加 4例)	120~140人
沈降新型インフル エンザワクチン (H5N1)「北研」	沈降インフルエン ザワクチン (H5N1)	北里研究所	インフルエンザ (H5N1)の予防	新有効成分含有 医薬品	国内 420例 (海外なし)	—
沈降新型インフル エンザワクチン (H5N1)「ビケン」	沈降インフルエン ザワクチン (H5N1)	阪大微生物 研究所	インフルエンザ (H5N1)の予防	新有効成分含有 医薬品	国内 386例 (海外なし)	—
マイオザイム点滴 静注用50mg	アルグルコシダー ゼアルファ (遺伝子組換え)	ジェンザイム・ ジャパン	糖原病Ⅱ型	新有効成分含有 医薬品	海外 52例 (日本人:継続提供 プログラム参加5例)	2400人程度
アクトネル錠 17.5mg ベネット錠17.5mg	リセドロン酸ナトリ ウム水和物	味の素 武田薬品工 業	骨ペーজেット病	新効能・ 新用量 医薬品	国内 58例 海外 449例	多くとも300人
レバチオ錠20mg	シルデナフィルク エン酸塩	ファイザー	肺動脈性肺高血圧症	新効能・ 新用量・ 剤型追加 医薬品	海外 898例 (・国内試験実施中 中間成績:6例 ・国内自主臨床研究: 112例)	6000人程度
献血ベニロンⅠ- 静注用500mg	乾燥スル ホ化人免疫グロブ リン	化血研、帝人 ファーマ	低又は無ガンマグロブ リン血症 重度感染症における 抗生物質との併用	新効能・ 新用量 医薬品	国内 31例 (海外なし)	500人程度

# 希少疾病用医薬品・医療機器の承認時の臨床症例について

販売名	一般名	製販業者	適応	申請区分	臨床試験の症例数	国内推定患者数
ノーベルパール静注用250mg	静注用フェノバルビタールナトリウム	ノーベルファーマ	新生児けいれん	新投与経路医薬品	国内 10例 (海外なし)	4400~6700人
ルセンチス硝子体内注射液 2.3mg/0.23ml	ラニビズマブ	ノバルティスファーマ	中心窩下脈絡膜新生血管を伴う加齢性黄斑変性症	新有効成分含有医薬品	国内 88例 海外 1443例	約19,000人前後
マクジェン硝子体内注射用キット 0.3mg	ペガプタニブナトリウム	ファイザー	中心窩下脈絡膜新生血管を伴う加齢性黄斑変性症	新有効成分含有医薬品	国内 95例 海外 2422例 (重複含む)	17000~27000人程度
ビオプテン顆粒 2.5%	塩酸サプロプテリン	第一三共	テトラヒドロビオプテリン反応性高フェニルアラニン血症における血清フェニルアラニン値の低下	新効能・新用量医薬品	海外 788例 (重複含む)(国内臨床研究34例)	100~140人
アラノンジー静注用250mg	ネララビン	グラクソ・スミスクライン	再発又は難治性のT細胞急性リンパ性白血病など	新有効成分含有医薬品	海外 460例 (国内試験実施中)	1,300人以下
スプリセル錠 20mg スプリセル錠 50mg	ダサチニブ水和物	プリストル・マイヤーズ	イマチニブ抵抗性の慢性骨髄性白血病など	新有効成分含有医薬品	国内 54例 海外 1013例	600人以下
タシグナカプセル 200mg	ニロチニブ塩酸塩水和物	ノバルティス	イマチニブ抵抗性の慢性骨髄性白血病など	新有効成分含有医薬品	国内 45例 海外 490例	約1000人
ノベルジンカプセル25mg ノベルジンカプセル50mg	酢酸亜鉛水和物	ノーベルファーマ	ウィルソン病(肝レンズ核変性病)	新有効成分含有医薬品	国内 49例 海外 280例 (重複含む)	約3,400人

# 希少疾病用医薬品・医療機器の承認時の臨床症例について

販売名	一般名	製販業者	適応	申請区分	臨床試験の症例数	国内推定患者数
タリムス点眼液 0.1%	タクロリムス 水和物	アステラス 製薬 千寿製薬	春期カタル(抗アレルギー剤が不十分な場合)	新投与 経路 医薬品	国内 476例 (海外なし)	8700人
サレドカプセル 100	サリドマイド	藤本製薬	再発又は難治性の多発性骨髄腫	新有効 成分含有 医薬品	国内 34例 (海外なし)	14,000人以下

## 2. 医療機器

販売名	一般名	製販業者	適応	申請区分	臨床試験の症例数	国内推定患者数
コッドマンエンタープライズVRD	中心循環系血管内塞栓促進補綴材	ジョンソン・エンド・ジョンソン	コイル塞栓術時のコイル塊の親動脈への突出・逸脱を防ぐ	新医療機器 (臨床有)	国内 15例 海外 28例	最大33,000人程度
ノバコア左心室補助人工心臓システム	植込み型補助人工心臓	エドワーズライフサイエンス	血液循環補助	新規特定新	国内 6例 海外 139例	1000人以下/年
アイソレックス300	磁気細胞分離システム	タカラバイオ	骨髄移植時の造血幹細胞の分離採取	新規新用具	国内 46例 海外 170例	3200人程度
アダカラム	吸着型血液浄化器	JIMRO	活動期のクローン病患者の緩解導入	一変新用具	国内 21例 (海外なし)	4400~6000人程度
埋め込み型補助人工心臓Heart Mate XVE LVAS	植込み型補助人工心臓	ニプロ	血液循環補助	新規新用具	国内 6例 海外 214例	120~950人/年