

がん、小児等に係る開発の進まない未承認薬等の開発支援候補

1 未承認薬等: 未承認薬使用問題検討会議等において、早期に国内開発・治験が開始されるべきとの検討結果が出されているものの、開発・治験が進まないもの

(具体例) システアミン(シスチノーシス)、ベタイン(ホモシスチン尿症)、経口リン酸塩製剤(原発性低リン血症性クル病)、ストレプトゾシン(膵島細胞癌)、クロファラビン(小児急性リンパ性白血病)、フェニル酪酸ナトリウム(尿素サイクル異常症)、アレムツズマブ(B細胞性慢性リンパ性白血病)、タルク(悪性胸水)、スチリペントール(乳児重症ミオクロニーてんかん)、ルフィナマイド(レノックス・ガストー症候群)、メサドン(がん性疼痛)、ヒトヘミン(ポリフィリン症)、テトラベナジン(ハンチントン病)ほか

2 適応拡大: 医療上の重要性から、既に薬事法上の承認を受けている適応以外の適応にも薬事法上の承認を与える必要があるため、治験等が行われるもの。

学会等から適応拡大の要望の中から、有識者会議において、疾患分野にかたよりにく平均的に2~3品目を候補として選定する予定。