

報道関係者 各位

令和2年6月19日

【照会先】

医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

課長 吉田 易範(内線 2733)

審査調整官 間宮 弘晃(内線 4233)

(直通電話) 03(3595)2431

医療機器審査管理課

課長 河野 典厚(内線 2911)

審査調整官 渡利 彰浩(内線 2787)

(直通電話) 03(3595)2419

(代表電話) 03(5253)1111

「先駆け審査指定制度」の対象品目を指定しました

～新たに7品目を指定。画期的な製品の日本における開発を促進～

厚生労働省は、昨年11月までに指定申請があった医薬品42品目、医療機器・体外診断用医薬品12品目、再生医療等製品12品目について評価を行い、本日付けで別紙の医薬品3品目、医療機器・体外診断用医薬品3品目、再生医療等製品1品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として指定しました。

「先駆け審査指定制度」とは、平成26年6月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂2014を踏まえて導入したものです。

この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な新薬などについて、開発の早期段階から対象品目に指定し、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたものです。

通常の新医薬品、新医療機器の場合、12か月を目標に承認審査を行っているところ、この制度の指定を受けた品目については、承認審査期間の目標が半分の6か月になります。

なお、この「先駆け審査指定制度」は、「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律等の一部を改正する法律」（令和元年法律第63号）により法制化され、本年9月1日に施行することとしております。

○別紙：指定品目

○参考資料1：医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第五回）について

（令和元年9月6日付け薬生薬審発0906第1号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知）

○参考資料2：医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第五回）について

（令和元年9月6日付け薬生機審発0906第1号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知）

○参考資料3：先駆け審査指定制度について

（平成26年度第5回（平成27年3月30日開催）薬事・食品衛生審議会薬事分科会資料）

＜医薬品＞

申請のあった42品目のうち、以下の3品目を指定する。

| | 品目名 (申請者) | 予定効能 | 指定理由 |
|---|--|------------------------------|--|
| 1 | CNT-01 (大阪大学医学 部附属病院) | 中性脂肪蓄積心筋 血管症の症状及び 予後改善 | <p>① 細胞内に蓄積した中性脂肪の代謝の改善等により、中性脂肪蓄積心筋血管症 (TGCV) に対する初めての治療薬となり得る。</p> <p>② TGCV は、心不全、狭心症、不整脈等の症状を示し、死亡に至ることもある重篤な疾患である。</p> <p>③ CNT-01 を用いた第Ⅱa 相試験、CNT-01 の主成分を含有する食品を用いた臨床研究において、細胞内中性脂肪代謝の改善等が認められた。</p> <p>④ 今後日本において有効性の検討のための臨床試験が実施され、世界に先駆けて日本で承認申請される予定である。</p> |
| 2 | エクリズマブ (遺伝子組換え) (アレクシオン ファーマ合同会 社) | ギラン・バレー症 候群 | <p>① C5 の関与する補体カスケードの遮断により、炎症誘発性メディエーターの放出及び細胞溶解性の孔形成を抑制する。ギラン・バレー症候群の治療薬として承認されている医薬品とは異なる作用機序。</p> <p>② 根治療法がなく、回復まで時間を要する又は後遺症が残る疾患である。</p> <p>③ 医師主導第Ⅱ相試験における24週時点で走行可能まで回復した症例の割合について、対照群と比較して、本剤の標準治療への上乗せ効果が認められた。</p> <p>④ 今後、国内第Ⅲ相試験を実施し、承認申請は世界に先駆けて日本で行う意向あり。</p> |
| 3 | M7824 (グラクソ・ス ミスクライン株 式会社) | 胆道癌 | <p>① TGFβ の中和作用及びPD-L1 阻害作用によって腫瘍微小環境における免疫抑制機構を阻害する。新規の作用機序を有する。</p> <p>② 対象疾患である胆道癌は生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ これまでの臨床試験成績に基づき胆道癌患者に対して高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 第Ⅱ相試験実施中。世界で初めて承認申請を行う対象として日本が含まれる予定。</p> |

<医療機器・体外診断用医薬品>

申請のあった12品目のうち、以下の3品目を指定する。

| | 品目名 (申請者) | 予定効能 | 指定理由 |
|---|---|--|---|
| 1 | 多孔化カバード ステント(仮称) (株式会社グッ ドマン) | 最大径7.0mm以 上のワイドネック 型又は紡錘状の未 破裂脳動脈瘤に対 する血管内治療。 | ① 脳動脈瘤に対する既存治療法の相反する問題点(早期の動脈瘤血 栓化と微小分岐血管の血流温存)を同時に解決すべく開発された 革新的なステントである。 ② 脳動脈瘤は破裂すると致命的なくも膜下出血を引き起こす。 ③ 微小血管の血流を温存しつつも、留置後早期から動脈瘤の血栓化 が期待できることから、既存治療法に比して、有効性の改善及び 安全性の向上が期待できる。 ④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請する予 定である。 |
| 2 | 心臓形状矯正ネ ット(仮称) (株式会社 iCorNet研究所) | 心拡大の進行した 非虚血性の拡張型 心筋症の患者に対 し、患者毎に最適 化設計された心臓 形状矯正ネットを 心室表面に装着す ることで、過大な 左心室壁張力を軽 減し、心臓リモデ リングの進展を抑 制。 | ① 心不全患者の心臓画像と圧データからあらかじめ最適化設計・製 造されたメッシュ状の袋を心室表面に被せることにより、過大な 左心室壁張力を軽減して心機能を改善し、心臓のリモデリングを 抑制する方法は画期的である。 ② 拡張型心筋症は進行性に心拡大と不全が進む疾患であり、病状が 進めば心臓移植が唯一の治療法となる。 ③ 物理的に心拡大を制御し、薬物療法では得られない心臓リモデリ ングによる心不全進行を抑制することが期待される。 ④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請する予 定である。 |
| 3 | 造血器腫瘍遺伝 子パネル検査 (仮称) (大塚製薬株式 会社) | 造血器腫瘍由来サ ンプルより抽出し たDNA又はRNA中 の造血器腫瘍遺伝 子異常の検出。 | ① 本品は、造血器腫瘍において特徴的な遺伝子変異を検出するとと もに、RNAを測定することで臨床的に重要である融合遺伝子の検 出率を向上させている。また、造血器腫瘍に対して遺伝子プロフ ァイリングを使用目的とした既承認の遺伝子パネル検査は事例 がなく画期的である。 ② 造血器腫瘍は、固形がんに比して化学療法が奏功する割合が一般 的に高いとされるが、依然として再発率は高く、予後不良となる 症例も少なくなく、生命に重大な影響がある重篤な疾患である。 ③ 網羅的な遺伝子変異プロファイルを取得することで、造血器腫瘍 の診断、治療選択、予後予測に資する広範な情報が一度に取得で きる。 ④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請を行う |

| | | | |
|--|--|--|--------|
| | | | 予定である。 |
|--|--|--|--------|

<再生医療等製品>

申請のあった12品目のうち、以下の1品目を指定する。

| | 品目名 (申請者) | 予定効能 | 指定理由 |
|---|----------------------------------|-------------------|--|
| 1 | 誘導型抑制性 T 細胞 (株式会社 JUNTEN BIO) | 肝移植後の免疫抑制剤の減量・中断。 | <p>⑤ 本品は、肝移植患者の由来の末梢血単核球を臓器ドナー由来の末梢血単核球等と共培養して誘導される CD4+CD25+Foxp3+T 細胞及び CD8+CD45RA-T 細胞である。ドナー抗原反応性エフェクターT細胞の活性化阻害、生体内での新規の抑制性 T 細胞の誘導によりドナー抗原特異的に免疫拒絶反応を減弱すると考えられており、新規作用機序を有し、画期性が高い。</p> <p>⑥ 肝移植を受けた患者では、移植臓器への拒絶反応の抑制のため免疫抑制剤の投与を生涯にわたり継続する必要があるが、免疫反応全般を抑制することによる易感染性、悪性腫瘍の発現、代謝疾患（高血圧、糖尿病等）への影響等の問題が知られており、肝移植後の主な死因とも関連している。</p> <p>⑦ 国内臨床研究（10例）において、生体肝移植後3年後の時点で7例（70%）で免疫抑制剤の中断が可能となっている。</p> <p>⑧ 国内での臨床試験を計画しており、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p> |