

報道関係者 各位

平成 30 年 3 月 27 日

【照会先】

医薬・生活衛生局医薬品審査管理課  
課長 山本 史 (内線 2733)  
課長補佐 荒木 康弘 (内線 2746)  
(直通電話) 03(3595)2431

医療機器審査管理課  
課長 中井 清人 (内線 2911)  
専門官 黒岩 健二 (内線 2916)  
(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 11 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 21 品目、医療機器・体外診断用医薬品 12 品目、再生医療等製品 13 品目について評価を行い、本日付けで別紙の医薬品 6 品目、医療機器 2 品目、再生医療等製品 3 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。

通常の新医薬品及び新医療機器の場合、12 か月を目標に審査を行っているところ、この制度を活用することで、審査期間の目標をこれまでの半分の 6 か月に短縮することが可能になります。

○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（第三回）について

(平成 29 年 10 月 5 日付け薬生薬審発 1005 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（第三回）について

(平成 29 年 10 月 5 日付け薬生機審発 1005 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)

## ＜医療用医薬品＞

申請のあった 21 品目のうち、以下の 6 品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	RTA 402 (協和発酵キ リン株)	糖尿病性腎臓病	<p>① 本剤は、体内のストレス防御反応において中心的な役割を果たす転写因子 Nuclear factor erythroid 2-related factor 2 (Nrf2) の分解を抑制し、過剰な酸化ストレス及び炎症から腎臓を保護すると考えられている。新規の作用機序を有する。</p> <p>② 対象疾患は、糖尿病に起因する腎臓病である。心筋梗塞や脳卒中等の重大な危険因子であるものの、多くは無症状のうちに腎機能が低下し、放置すると末期腎不全となり、透析や腎移植を必要とする。進行すると生命に関わる重篤な疾患。</p> <p>③ 既承認薬は、いずれの薬剤もその治療効果は腎機能の低下抑制であり、現時点で腎機能を改善する薬剤は存在しない。本剤は、臨床試験で腎機能の改善が認められている。</p> <p>④ 第Ⅲ相試験計画中。世界に先駆けて日本で承認申請される予定。</p>
2	JR-141 (JCR ファー マ株)	ムコ多糖症 II 型 (ハンター症候 群)	<p>① 既存の治療においては、欠損している酵素を補充するが、補充された酵素は中枢神経系に移行しないため、中枢神経症状に対して効果は期待できない。本剤は、対象疾患で欠損している酵素とトランスフェリン受容体の特異的に認識する抗体を結合させた医薬品である。これにより酵素を中枢神経系へ送達させる、新規の薬物送達技術を活用。</p> <p>② 対象疾患は、ライソゾーム内のイズロン酸 2-スルファターゼの遺伝的欠損又は活性低下によって生じる X 染色体連鎖劣性遺伝疾患であり、全身の組織にグリコサミノグリカンが蓄積し、知能低下、閉塞性呼吸障害等の多様な臨床症状が現れ、無治療の場合、重症型の患者は多くが 10 代、軽症型の一部患者も 20 代で死亡すると報告されている。生命に関わる遺伝性の重篤な疾患。</p> <p>③ 臨床試験で中枢神経系への移行が示唆されており、既存の酵素補充療法では認められない中枢神経系症状の改善が見込まれる。</p> <p>④ 第Ⅱ／Ⅲ相試験計画中。世界に先駆けて日本で承認申請される予定。</p>
3	タファミジス メグルミン	トランスサイレチ ン型心アミロイド	<p>① 現在の治療法は、対症療法他には、肝移植及び心臓移植のみであり、現在までに有効性が確認されている治療薬がない。本</p>

	(ファイザー株)	ーシス (TTR-CM)	<p>剤は、トランスサイレチン (TTR) の 4 量体を安定化させることにより、心筋へのアミロイド沈着を抑制して TTR-CM の進行を抑制する。</p> <p>② 対象疾患は、TTR が心臓に沈着して生じる疾患であり、労作性呼吸困難、起立性低血圧等の心疾患の症状等を示し、多くの患者は心突然死又は心不全及び心筋梗塞等により、死亡に至る。生命に関わる重篤な疾患である。</p> <p>③ 臨床試験において、本剤投与により、疾患の原因となる TTR 4 量体を安定化する作用が示されている。</p> <p>④ 第Ⅲ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>
4	MSC2156119J (メルクセロノ株)	MET エクソン 14 スキッピング変異を有する進行 (III B/IV 期) 非小細胞肺癌	<p>① がんゲノム情報に基づいて開発中の新規作用機序医薬品。肝細胞増殖因子受容体 (c-MET) に対して阻害作用を有する。</p> <p>② 対象疾患は、細胞増殖に関与する c-MET の機能が亢進するエクソン 14 のスキッピング変異 (非小細胞肺癌の 3%程度) を有する進行非小細胞肺癌。生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ 臨床試験成績に基づき、高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 国際共同第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>
5	Trastuzumab deruxtecan (第一三共株)	がん化学療法後に増悪した HER2 過剰発現が確認された治癒切除不能な進行・再発の胃癌	<p>① 抗ヒト上皮細胞増殖因子受容体 2 型 (HER2) 抗体に薬物 (癌細胞の細胞死を誘導する低分子化合物) を連結させた医薬品。申請者が開発した連結技術により、抗体に多数の薬物を結合させること等が可能になった。</p> <p>② 対象疾患は、HER2 の過剰発現 (胃癌の 15%程度) が認められる化学療法既治療の進行胃癌。生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ 臨床試験において、標準的な治療が無効となった患者で高い奏効率 (43%) を確認。</p> <p>④ 第Ⅱ相試験を実施中。世界に先駆けて日本で承認申請される予定。</p>
6	Entrectinib (Ignyta)	前治療後に疾患が進行又は許容可能な標準治療がない	<p>① がんゲノム情報に基づいて開発中の新規作用機序医薬品。TRK (tropomyosin receptor kinase) 等に対して阻害作用を有する。</p>

		<p>NTRK 融合遺伝子陽性の局所進行又は遠隔転移を有する成人及び小児固形がん患者の治療</p>	<p>② 対象疾患は、疾患の概要：Neurotrophic tyrosine receptor kinase（NTRK）融合遺伝子（主要な癌種では1%未満）を有する固形癌。生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ 臨床試験成績に基づき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2品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定される使用目的又は効果	指定理由
1	心・血管修復パッチ OFT-G1(仮称) (帝人(株))	吸収性合成高分子系、非吸収性合成高分子系、架橋ゼラチン膜から構成される心・血管修復パッチである。心血管系の外科手術における血流の修正、血液流路の確保および周辺組織の構築・再建に使用される。	<p>① 埋植後、患者の成長に伴って伸長可能な構造を有している点に新規性があり、画期性が高い。</p> <p>② 先天性心疾患は、生まれつき心臓や血管の形態や機能に異常がある疾患で、出生100人に1人の割合で発症し、本邦では年間約9000件の修復手術が行われている。手術の難易度は高いうえに幼少期に複数回の手術が必要となる場合もある重篤性の高い疾患である。</p> <p>③ 非臨床試験により既承認品と同等以上の強度・漏血性が確認されており、動物実験等において既承認品と比較して良好な組織再生や伸長性が認められている。今後、臨床的に本品の有効性と安全性が確認できれば、既存治療に比べ有効性及び安全性の大幅な改善が期待できる。</p> <p>④ 国内での治験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
2	CliniMACS CD34 System (ミルテニーバイオテク(株))	CD34陽性細胞を選択的分離し、得られたCD34陽性細胞を足場素材のコラーゲン使用軟組織注入材と共に、難治性骨折(偽関節)部位に投与することで骨癒合を促進させる。	<p>① 血管再生を通じて骨再生を促進する末梢血CD34陽性細胞を難治性骨折の治療に用いた製品はなく、新規性があり画期性が高い。</p> <p>② 骨折治療では骨癒合が得られず、難治性骨折となり社会生活が困難な状態が持続する場合がある。特に下肢に生じた場合は、歩行が大きく制限されるため、日常生活に支障をきたす。</p> <p>③ 臨床研究により、高い有効性を示唆する結果(高率で骨癒合)が得られた。</p> <p>④ 国内で臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>

<再生医療等製品>

申請のあった13品目のうち、以下の3品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定される効能、 効果又は性能	指定理由
1	TBI-1301 (タカラバイオ(株))	がん抗原を特異的に認識する受容体の遺伝子を、患者のリンパ球に体外で導入後、患者の体内に再投与することで、がん細胞を攻撃し、 <u>滑膜肉腫</u> の治療を行う。	<p>① 腫瘍抗原 (NY-ESO-1) 特異的に結合する T 細胞受容体 (TCR) の遺伝子を、レトロウイルスベクターにより患者自身の T リンパ球に体外で導入し、拡大培養後に自家輸注するという点において新規性があり、画期性が高い。</p> <p>② 悪性軟部腫瘍の一つで、悪性度が高く、局所転移及び遠隔転移を生じる予後不良の疾患である。化学療法、分子標的薬の奏効率は 10%程度である。</p> <p>③ 国内で 1 つの医師主導臨床試験が実施されており、滑膜肉腫 2 例で高い有効性を示唆する結果 (本品の使用による高い腫瘍縮小率 (約 40%)) が得られた。また、本品と同一の抗原を認識する類似製品での海外臨床試験 (18 例) において、高い有効性を示唆する結果 (本品の使用による高い奏効率 (61%)) が得られたとの報告がある。</p> <p>④ 国内で臨床試験 (企業治験) を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
2	CLBS12 (Caladrius Biosciences, Inc.)	患者自身の末梢血から CD34 陽性細胞を分離し、患者に再投与することで、CD34 陽性細胞が血管新生を促し、 <u>重症下肢虚血</u> 状態からの改善をもたらす。	<p>① CD34 陽性細胞が血管内皮細胞へ分化すること、また、血管新生を刺激する成長因子等を含んだエクソソームを分泌することが報告されており、虚血組織において血管新生を誘導し、微小循環の改善をもたらす点において新規性があり、画期性が高い。</p> <p>② 重症下肢虚血 (CLI) は、虚血性安静時疼痛、組織損傷又は壊疽を呈する病態で、重症下肢虚血患者の約 25%が 1 年以内に下肢が切断されている。</p> <p>③ 国内で 2 つの臨床試験 (28 例) が実施されており、高い有効性を示唆する結果 (本品の使用による高い CLI 離脱率 (71%)) が得られた。</p> <p>④ 国内で臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
3	AVXS-101 (AveXis, Inc.)	患者に SMN 遺伝子を導入することで、体内で SMN タンパクを産生させ	<p>① アデノ随伴ウイルスを使って SMN 遺伝子を導入する遺伝子治療法であり、既存の SMA 治療薬とは異なる作用機序を有する。</p> <p>② 脊髄性筋萎縮症 (spinal muscular atrophy : SMA) は、脊髄の</p>

		<p>補充し、神経・骨格筋の機能を改善することにより、<u>脊髄性筋萎縮症</u>の治療を行う。</p>	<p>前角細胞の変性による筋萎縮と進行性筋力低下を特徴とする下位運動ニューロン病で、指定難病に指定されている。I型 SMA 患者は生後 6 か月ごろまでに発症するが、早い場合は生後 2 週間で発症する。運動発達が停止し、体幹を動かすこともできない。I 型 SMA 患者の 90%以上が、2 歳になる前に死亡するか、終身の人工呼吸器装着が必要になる。</p> <p>③ 海外で臨床試験が実施されており、高い有効性を示唆する結果が得られている。投与した 15 例の全例が、生後 20 ヶ月を超えて、イベントフリーで生存しており、また申請予定の用量を投与した 12 例のうち 10 例（83%）が、支えなしで 10 秒以上座ることができる。安全性のプロフィールは良好である。</p> <p>④ 国内で治験を実施予定であり、日米欧において同時承認申請予定。</p>
--	--	--	--