

厚生労働科学特別研究班

「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」

Drug Loss: A Survey of the Actual Conditions and the Construction of Solutions

国立がん研究センター中央病院

先端医療科 医員 佐藤 潤

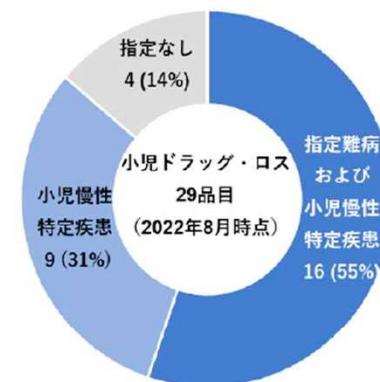
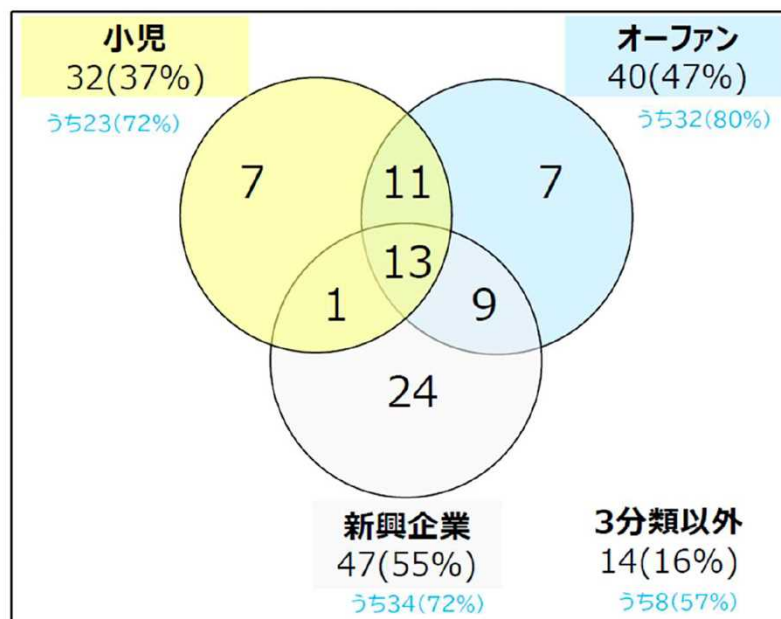
概要

1. 研究班の事業内容
 2. 事業結果概要
 3. 今後の予定
-

「未承認薬（ドラッグ・ロス）」の現状（医学界全体）

- 2016年以降の承認品目のうち、海外承認ありかつ国内開発のない医薬品が**86品目**存在している。
（製薬協による調査）

2023年3月末時 国内状況			
未承認	143	開発なし	86
		開発中	57
承認 (2021- 2023.3)	33		

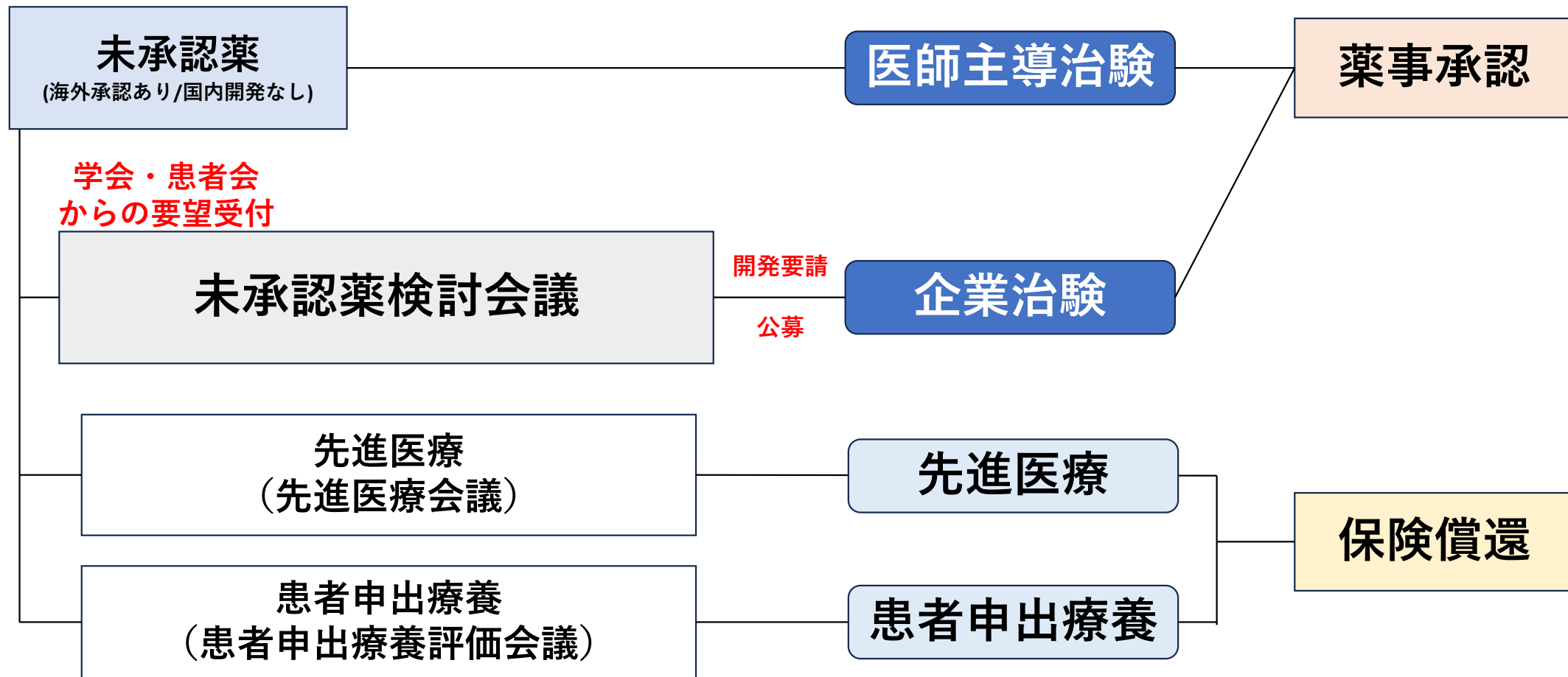


*青字:日本で当該疾患での当該作用機序薬がない品目数 -新規性-
(Evaluate!に記載された作用機序で、FDAのPIから疾患領域を推定)

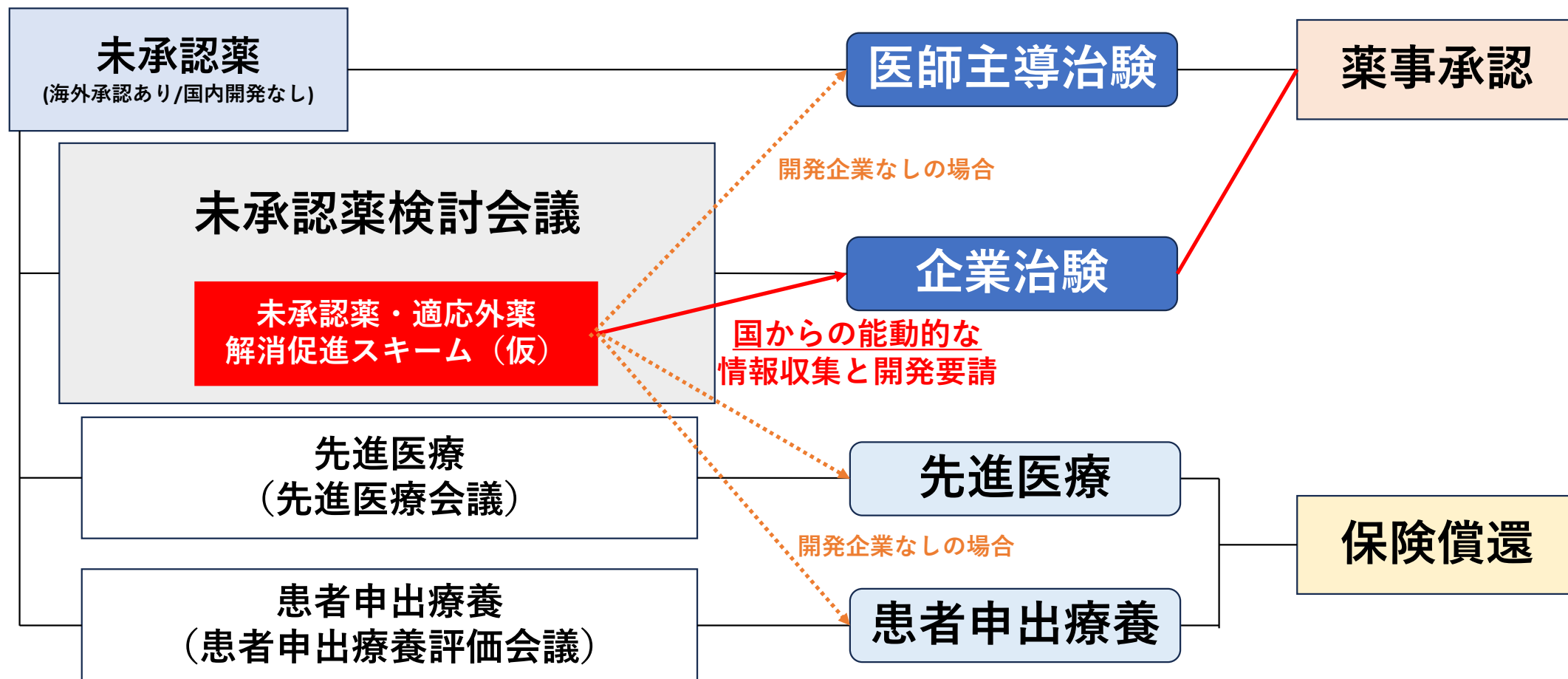
出所: PMDA, FDA, EMA の各公開情報、明日の新薬(株式会社テクノミック)をもとに医薬産業政策研究所にて作成
注1: 2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計
注2: 2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計
注3: 欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計
注4: 欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までを受けた品目をオーファンとして集計
注5: 2022年8月時点で小児慢性特定疾患の承認品目を小児慢性として集計

注: 2010年-2021年にFDA承認されたNMEのうち、Orphan Drug指定を受けた215品目が調査対象。うち2022年8月末時点で110品目が国内未承認である。
出典: 「ドラッグ・ロス:小児慢性特定疾患の特許その1 一希少疾患」政策研ニュースNo.69 2023年7月 より改変
出所: PMDA, FDA, EMA の各公開情報、明日の新薬(株式会社テクノミック)、厚生労働省「指定難病・指定難病病名一覧表(令和3年11月1日版)」, 小児慢性特定疾患情報センター「小児慢性特定疾患の対症薬リスト(令和4年4月1日版)」をもとに医薬産業政策研究所にて作成

「未承認薬（ドラッグ・ロス）」への対応（現状）



「未承認薬（ドラッグ・ロス）」への対応（対応案）



研究班の構成

交付基準額 金27,300,000円
(うち間接経費5,118,000円)

特別研究班（本会議）

- 1.抗がん剤領域長：佐藤
- 2.抗菌薬・抗炎症薬領域長：時田先生
- 3.循環器領域長：星出先生
- 4.精神・神経領域長：中村先生
- 5.代謝・その他領域長：辻本先生
- 6.小児領域長：土田先生

専門WG

抗がん剤領域

専門WG

抗菌薬・
抗炎症薬領域

専門WG

循環器領域

専門WG

精神・
神経領域

専門WG

代謝・
その他領域

専門WG

小児領域

研究班編成（分担研究者）

分担研究者（敬称略）

代謝 / 消化器領域

- 国家公務員共済組合連合会 虎の門病院分院 糖尿病内分泌科 **辻本 哲郎**

精神 / 神経系領域

- 国立研究開発法人国立精神・神経医療研究センター 臨床研究・教育研修部門 **中村 治雅**

感染症領域

- 国立国際医療研究センター 臨床研究センター 臨床研究推進部 **時田 大輔**

小児領域

- 国立病院機構本部 総合研究センター 治験研究部 **土田 尚**

循環器 / 呼吸器領域

- 自治医科大学附属病院 臨床研究センター 企画開発部 **星出 聡**

抗悪性腫瘍 / 産婦人科 / 皮膚科 / 眼科 / アレルギー領域

- 独立行政法人 国立がん研究センター中央病院 先端医療科 **佐藤 潤**

研究班編成（研究協力者）

研究協力者（敬称略）

- 神経科薬 [精神]：西野 良（京都大学）
- 神経科薬 [神経内科]：佐久嶋 研（北海道大学）、橋詰 淳（名古屋大学）
- 感染症：森野 英里子（NCGM）
- 抗がん剤 [固形腫瘍]：西田 俊朗（大阪病院）、下井 辰徳（NCC）
- 抗がん剤 [血液]：伊豆津 宏二（NCC）、永井 純正（京都大学）
- 抗がん剤 [緩和ケア]：石木 寛人（NCC）
- 抗がん剤 [核医学]：稲木 杏吏（NCCE）
- 産婦人科：齊藤 和毅（東京医科歯科大学）、永瀬 智（山形大学）
- 皮膚科：種瀬 啓士（東邦大学医療センター大森病院）

本特別研究班のタスク概要

Step 1：情報収集

① 現場の要望（ニーズ）

② 医薬品の情報

本会議

収集要素の決定

- ・ 類薬の有無
- ・ 標準治療との位置付け
- ・ 疾患の重要性 等

海外売り上げ/副作用 等

各専門WG

学会アンケートで情報収集実施

Step 2：情報の評価

① 開発必要性の有無の判定

② 開発必要性「有り」医薬品の
優先順位（Class A/B/C/D）

アルゴリズム/スコアリング作成

○

○

決定

WG毎に改変

学会意見反映も
品目毎に検討

Step 3：品目概要書作成

① 未承認薬検討会議の品目概要書作成

② （市場規模調査）

○

○

事業内容

- 情報収集

- 学会アンケート

- ー 各品目の関連学会の担当部会/理事会にアンケート実施：日本医学会/医学会連合の関連学会に依頼

- 医薬品情報収集

- ー 開発要請企業（企業見解の代行の意を含む）
 - ー コンサルタント企業（中立意見の聴取）

- 情報の評価

- 評価系（アルゴリズム/スコアリング）の作成

- ー 開発必要性 有/無の決定
 - ー 優先度のクラス分け：A/B/C/Dなど

- 品目/領域毎に評価系を適応→スコアリングを実施

- ー 優先度（A/B/C/D）の統合
 - ー 高優先の品目から品目概要書を作成

A	開発の必要性が特に高い
B	開発の必要性が高い
C	開発の必要性が低い
D	開発は不要

- 品目概要書作成

- 要望書の実案作成→担当領域チームが確定

概要

1. 研究班の事業内容
 2. 事業結果概要
 3. 今後の予定
-

情報収集：学会アンケート/医薬品情報収集

86品目中8品目が開発中又は開発予定と判明し、**78品目**をドラッグ・ロス品目として検討を行った。

1. 学会アンケートの実施

- 収集事項の作成
 - **医薬品開発の必要性**（臨床現場のニーズ）
 - **有効性及び安全性**（類薬との比較／有用性を期待する根拠／改善するアウトカムの臨床的意義）
 - **対象となる疾患**（疾患の重篤性／疾患の頻度／バイオマーカー）
- 78品目について学会アンケートを実施
- 回答結果
 - 61品目は回答が揃った
 - 16品目は回答が揃っていないものの少なくとも1学会からは回答があった
 - 1品目は1学会からも回答がなかった

2. 医薬品情報収集

- 国内開発権を持つ企業に開発意思を確認
- 開発の必要性について確認を行った
- 市場予見性の情報収集：患者数、薬価など

情報の評価：開発優先度の決定

グループA (14品目)	グループB (41品目)	グループC (11品目)	グループD (12品目)	アンケート回答なし (1品目)
4 OXLUMO 6 DETECTNET 13 DOJOLVI 14 ARTESUNATE 18 AYVAKIT 27 AKLIEF 28 GA-68-DOTATOC 29 XENLETA 30 PRETOMANID 35 ZULRESSO ※ 40 NUZYRA 47 OMEGAVEN 74 NETSPOT 76 ANTHIM	1 EBANGA 2 MARGENZA 3 DANYELZA 5 INMAZEB 8 OLINVYK 9 LAMPIT 11 XEGLYZE 15 CERIANNA 16 QINLOCK 17 BARHEMSYS 19 UBRELVY 20 CAPLYTA 24 EXEM FOAM KIT 25 TRIKAFTA 26 FLUORODOPA 31 VYLEESI 34 SUNOSI 36 EGATEN 38 ASPARLAS 41 SEYSARA 44 XERAVA 45 ANNOVERA 46 YUPELRI 48 ORILISSA 50 ZEMDRI 52 LUCEMYRA 53 LAMZEDE 55 SYMDEKO 56 GIAPREZA 57 MACRILEN 61 SOLOSEC 63 BENZNIDAZOLE 65 VOSEVI 66 BEVYXXA 68 AUSTEDO 69 XERMELO 70 EMFLAZA 71 TRULANCE 72 EXONDYS 51 73 XIIDRA 75 NUPLAZID	7 IDEFIRIX ※ ※ 10 HEPCLUDEX 12 RUKOBIA 21 VYONDYS 53 32 WAYLIVRA 39 AEMCOLO 51 MOXIDECTIN 54 TROGARZO 60 TOOKAD 62 VABOMERE 67 BAXDELA	22 OXBRYTA 23 ADAKVEO 33 ZYNQUISTA 37 JEUVEAU 42 LUMOXITI 43 DELSTRIGO 49 KRINTAFEL 58 SEGLUROMET 59 STEGLUJAN 64 DUZALLO 77 ACCRUFER 78 ZEPATIER	7 IDEFIRIX ※ ※

※研究班でグループA決定後の回答のため、今年度の品目概要書作成はなし
 ※※期限までに学会回答なし

品目概要書の作成（要望度「A」）

未承認薬検討会議で検討する品目の選定

- 要望度「A」と評価したが未承認薬検討会議では**検討不要**と判断した品目
 - 13_ **DOJOLVI**（長鎖脂肪酸酸化障害）：企業開発着手済みのため、ロス解消品目
 - 30_ **PRETOMANID**（多剤耐性結核）：既に未承認薬検討会議に開発要望書が提出済み
 - 35_ **ZULRESSO**（産後うつ病）：学会アンケートが期限内に提出されず要望書作成が間に合わず
 - 47_ **OMEGAVEN**（非経口栄養関連胆汁うっ滞）：既に未承認薬検討会議に開発要望書が提出済み
 - 74_ **NETSPOT**（神経内分泌腫瘍）：特別研究班の始動後に企業開発中であることが判明
- ⇒30_ **PRETOMANID**及び47_ **OMEGAVEN**については**通常の未承認薬検討会議の議題**として本日審議予定
- 未承認薬検討会議で検討はするも**即時の開発要請は不要**と判断した品目
 - 4_ **OXLUMO**（原発性高シュウ酸尿症1型）：類薬（Nedosiran）開発中のため
 - 6_ **DETECTNET**（神経内分泌腫瘍）：類薬（NET SPOT）開発中のため
 - 28_ **GA-68-DOTATOC**（神経内分泌腫瘍）：類薬（NET SPOT）開発中のため

品目概要書の作成（要望度「A」）

未承認薬検討会議で検討する品目の選定

- 未承認薬検討会議の評価及び開発要請が妥当と判断した品目
 - 14_ **ARTESUNATE**（マラリア）
 - 18_ **AYVAKIT**（胃腸間質腫瘍）
 - 27_ **AKLIEF**（尋常性ざ瘡）
 - 29_ **XENLETA**（細菌性肺炎）
 - 40_ **NUZYRA**（細菌性肺炎 (CABP)、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症 (ABSSSI)）
 - 76_ **ANTHIM**（抗炭疽菌症）

プレスリリースに関連した定義づけ

分類の定義

- グループA 「開発の必要性が特に高い医薬品」
- グループB 「開発の必要性が高い医薬品」
- グループC 「開発の必要性が低い医薬品」
- グループD 「開発の必要性がない医薬品」

分類の考え方

- **グループA** 「国内で類薬が承認されていない、標準的治療法がない疾患に対する医薬品、又は類薬が承認されている場合は類薬の中でも臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品など、可及的速やかに開発を行うべき医薬品」
- **グループB** 「臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品ではないが選択肢として有用性が期待できる医薬品など、開発を行うべき医薬品」
- **グループC** 「国内に同程度又はより高い有用性を有する類薬が存在する医薬品など、開発の必要性は低い医薬品」
- **グループD** 「国内に患者が存在しない又は国内に複数の類薬が存在する医薬品など、国内への導入は不要な医薬品」

品目概要書（要望書+評価書）

要望書+評価書作成

- 14_ARTESUNATE（マラリア）
- 18_AYVAKIT（胃腸間質腫瘍）
- 27_AKLIEF（尋常性ざ瘡）
- 29_XENLETA（細菌性肺炎）
- 40_NUZYRA（細菌性肺炎 (CABP)、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症 (ABSSSI)）
- 76_ANTHIM（抗炭疽菌症）

（以下3品目は開発要請かけない）

- 4_OXLUMO（原発性高シュウ酸尿症1型）
 - 6_DETECTNET（神経内分泌腫瘍）
 - 28_GA-68-DOTATOC（神経内分泌腫瘍）
-