第 65 回　医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
議事次第

令和７年９月 29 日(月)
オンライン会議
（厚生労働省）

議　　事

１．要望の医療上の必要性に係る検討状況等について

２．開発要請を行った要望に係る検討状況等について

３．開発要請品目の公知申請への該当性について

４．企業から提出された開発工程表等について

５．ドラッグ・ロス解消に向けた取組について

６．その他

配付資料一覧

検討会議の概要

資料１　　検討会議における検討の進め方

専門作業班（ＷＧ）の検討状況の概要等

資料 2-1　　要望の医療上の必要性に係る検討状況等について
資料 2-2　　開発要請を行った要望に係る検討状況等について
資料 2-3　　ドラッグ・ロス品目に係る検討状況等について

開発要請品目の公知申請への該当性について

資料 3-1　　アレムツズマブ（遺伝子組換え）

開発要請・開発企業の募集を行った品目の進捗状況

資料 4-1　　企業から提出された開発工程表について
資料 4-2　　企業から提出された開発工程表における進捗について
資料 4-3　　企業から提出された開発工程表の概要等（第Ⅰ回要望）
資料 4-4　　企業から提出された開発工程表の概要等（第Ⅱ回要望）
資料 4-5　　企業から提出された開発工程表の概要等（第Ⅲ回要望）
資料 4-6　　企業から提出された開発工程表の概要等（第Ⅳ回要望）
資料 5　　開発企業の募集を行った医薬品のリスト

ドラッグ・ロス解消に向けた取組について

資料 6　　ドラッグ・ロス解消に向けた取組について

参考資料 1　　「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」開催要綱
参考資料 2　　「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」構成員
参考資料 3-1　専門作業班（ＷＧ）の設置について
参考資料 3-2　専門作業班（ＷＧ）メンバー
参考資料 4-1　医療上の必要性の評価の基準について
参考資料 4-2　開発要請先企業の指定の考え方について
参考資料 5　　人道的見地から実施される治験の制度該当性基準について
参考資料 6　　特定用途医薬品への該当性の基準について
参考資料 7　　執行部に所属している学会について

以上

検討会議における検討の進め方

資料1

・医療上必要な医薬品や適応（未承認薬等）を解消するため、医療上の必要性の評価、承認のために必要な試験の有無・種類の検討などを行う。
・未承認薬・適応外薬に係る要望を公募（第Ⅰ回 2009.6.18～8.17、第Ⅱ回 2011.8.2～9.30、第Ⅲ回（第一期 2013.8.1～12.27、第二期 2013.12.28～2014.6.1、第三期 2014.6.2～2014.12.31、第四期 2015.1.1～2015.6.30））
・現在は、随時募集で要望を募集している（第Ⅳ回 2015.7.1～）。

○未承認薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認されている医薬品。

○適応外薬

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれかの国で承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む） されている医薬品。

○未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

欧米等6ヶ国（米、英、独、仏、加、豪）のいずれの国でも未承認であるが、一定の要件を満たしている医薬品。

医療上の必要性の評価基準

次の（1）及び（2）の両方に該当し、「医療上の必要性が高い」

（1）適応疾病の重篤性が次のいずれかの場合
- ア 生命の重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- イ 病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

（2）医療上の有用性が次のいずれかの場合

＜未承認薬、適応外薬＞
- ア 既存の療法が国内にない
- イ 欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ 欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

＜未承認薬迅速実用化スキーム対象品目＞
- ア 既存の療法が国内にない
- イ 国内外の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている

【学会、患者団体等】
未承認薬・適応外薬に係る要望

【関連学会、製薬企業】
要望に係る見解の提出

医療上の必要性を評価

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

WG（分野ごと設置）

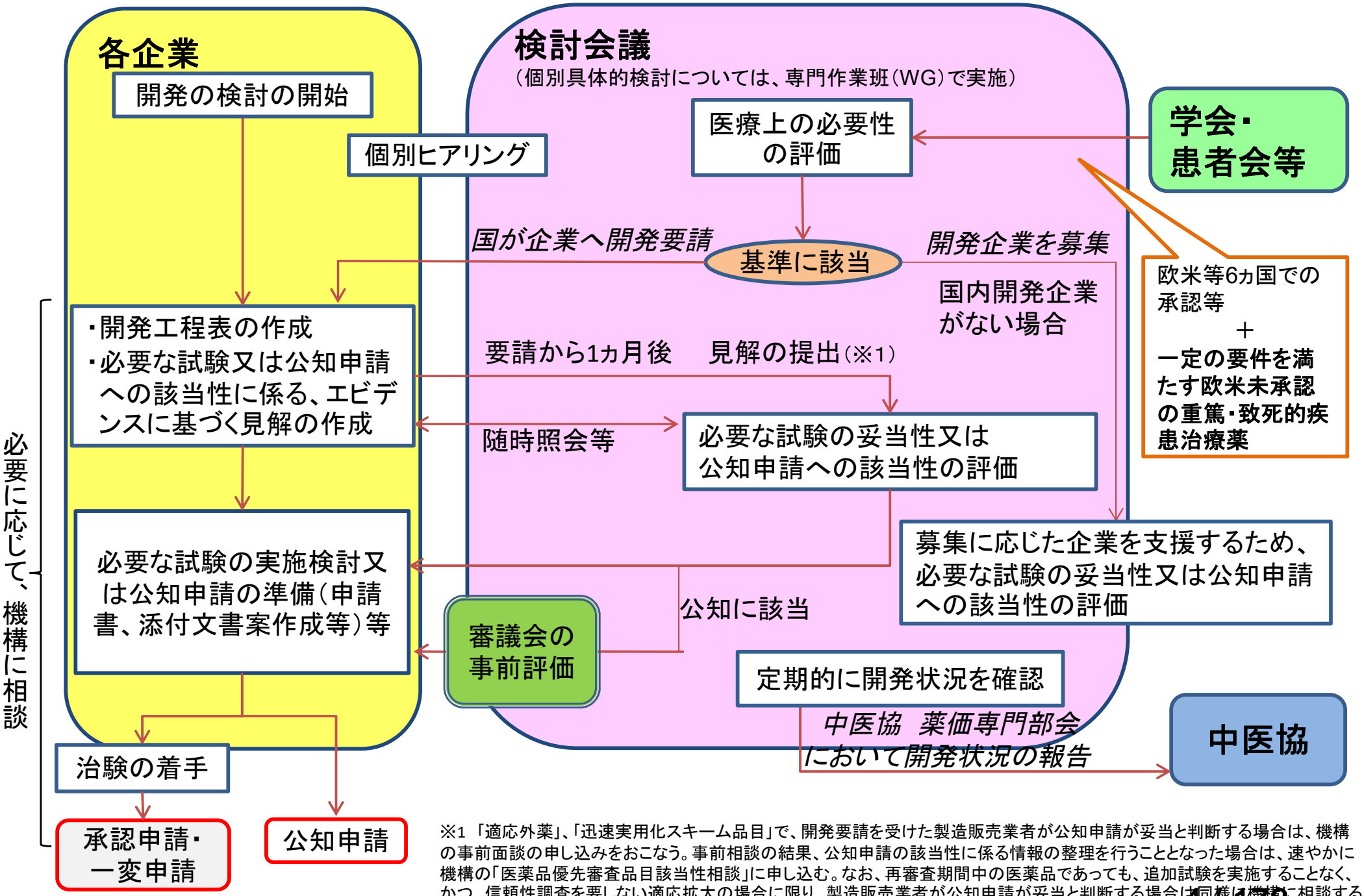
【製薬企業】

承認申請に向けた開発の実施

【開発支援】

- 希少疾病用医薬品指定等により開発支援
- 公知申請への該当性の妥当性を確認
- 承認申請のために実施が必要な試験の妥当性を確認

検討会議における検討の進め方



※1 「適応外薬」、「迅速実用化スキーム品目」で、開発要請を受けた製造販売業者が公知申請が妥当と判断する場合は、機構の事前面談の申し込みをおこなう。事前相談の結果、公知申請の該当性に係る情報の整理を行うこととなった場合は、速やかに機構の「医薬品優先審査品目該当性相談」に申し込む。なお、再審査期間中の医薬品であっても、追加試験を実施することなく、かつ、信頼性調査を要しない適応拡大の場合に限り、製造販売業者が公知申請が妥当と判断する場合は同様に機構に相談する。

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

資料2-1

学会や患者団体等から提出された要望のうち、医療上の必要性に係る検討状況

（令和７年９月29日 第65回会議）※ 要望等の件数は会議1ヶ月前締め

			第Ⅰ～Ⅲ回 要望※1	第Ⅳ回 要望※1	合計	前回からの変動理由 (括弧内は前回会議からの増減)
学会・患者団体等からの要望総数			832件	253件 （＋８）	1085件	新規要望を受理（＋８件） ※2
専門WG	検討中		４件	54件 （＋６）	58件	新規要望を受理（＋８件）、開発中（－２件）
専門WG	検討済	必要性高い	348件	116件	464件	
専門WG	検討済	必要性高くない	187件	16件	203件	
本会議	検討済	必要性高い	348件	116件	464件	
本会議	検討済	必要性高くない	187件	16件	203件	
対象外	既に開発中		21件	11件 （＋２）	32件	開発中（＋２件）
対象外	取下げ等		272件	56件	328件	

※1 要望受付時期：第Ⅰ回 2009.6.18～8.17、第Ⅱ回 2011.8.2～9.30、第Ⅲ回 2013.8.1～2015.6.30、第Ⅳ回 2015.7.1～随時募集

※2 個々の品目の詳細は別添を参照

専門作業班にて、「医療上の必要性に係る基準」への該当性等を検討中の要望一覧（第Ⅰ～Ⅲ回要望）

別添

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	検討状況等
＜抗菌・抗炎症WG＞									
1	Ⅲ-④-13	メトロニダゾール	小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 ※下線部分が要望内容	小児（12歳以上）にはメトロニダゾールとして1回250mg，アモキシシリンとし1回25mg/kg（力価）及びプロトンポンプインヒビターの3剤を同時に1日2回，7日間経口投与する ※下線部分が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	塩野義製薬株式会社	適応外薬	○	今後の方針を検討中
2	Ⅲ-④-14	ラベプラゾールナトリウム	小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 ※下線部分が要望内容	ラベプラゾール(RPZ)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。30kg未満はRPZ5mg、30kg以上はRPZ10mgで成人量と同様である。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメトロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。 ※下線部分が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	エーザイ株式会社	適応外薬	○	今後の方針を検討中
3	Ⅲ-④-15	オメプラゾール	小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 ※下線部分が要望内容	オメプラゾール(OMP)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。15-30kg未満はOMP10mg、30-40kg未満はOMP20mg、40kg以上は成人量と同様である。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメトロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。 ※下線部分が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	アストラゼネカ株式会社	適応外薬	○	今後の方針を検討中
4	Ⅲ-④-16	ランソプラゾール	小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助 ※下線部分が要望内容	ランソプラゾール(LPZ)、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を1回量で1日2回1週間経口投与する。15-30kg未満はLPZ15mg、30-40kg未満はLPZ30mg、40kg以上は成人量と同様である。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメトロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。 ※下線部分が要望内容	日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会	武田薬品工業株式会社	適応外薬	○	今後の方針を検討中

未承認薬	0
適応外薬	4
合計	4

専門作業班にて、「医療上の必要性に係る基準」への該当性等を検討中の要望一覧（第Ⅳ回要望）

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬適応外薬の分類	小児WG	検討状況等
＜代謝・その他WG＞									
1	Ⅳ-194	ヒドロキソコバラミン	ビタミンB12反応性メチルマロン酸血症、cblC異常症における代謝動態の改善	1～14mg/週　筋注または静注	日本先天代謝異常学会	エイワイファーマ株式会社	適応外薬		要望書の内容について要望者に確認中
2	IVS-33	ダルベポエチンアルファ（遺伝子組換え）	未熟児貧血	週1回10μg/kgを皮下投与する	日本新生児成育医学会	協和キリン株式会社	迅速実用化	○	企業見解を確認中
＜循環器WG＞									
3	Ⅳ-54	アミドトリゾ酸ナトリウムメグルミン液	大腸CT検査の前処置における腸管内残渣の標識	通常、成人には本剤20-100mL（腸管洗浄剤の容量に対し本剤5%程度）を検査前に腸管洗浄剤とあわせて投与する。	日本消化器がん検診学会	バイエル薬品株式会社	適応外薬		今後の方針を検討中
4	Ⅳ-98	ドロスピレノン、エチニルエストラジオール　ベータデクス（24錠の実薬と4錠のプラセボ錠からなる）	月経前不快気分障害（PMDD）	1日1錠を毎日一定の時刻に定められた順に従って（淡赤色錠から開始する）28日間連続経口投与する。以上28日間を投与1周期とし、出血が終わっているか続いているかにかかわらず、29日目から次の周期の錠剤を投与し，以後同様に繰り返す。	公益社団法人日本産科婦人科学会	バイエル薬品	適応外薬		今後の方針を検討中
5	Ⅳ-103	リバーロキサバン	深部静脈血栓症及び肺血栓塞栓症の治療及び再発抑制	通常、成人には深部静脈血栓症又は肺血栓塞栓症発症後の初期3週間はリバーロキサバンとして15mgを1日2回食後に経口投与し、その後3ヶ月までは15mgを1日1回食後に経口投与する。6ヶ月以降の延長治療期には、10mgを1日1回経口投与に減量する事も考慮する*。*再発の危険性が低く、出血の危険性が高い場合	日本静脈学会	バイエル薬品	適応外薬		今後の方針を検討中
6	Ⅳ-104	アピキサバン	静脈血栓塞栓症（深部静脈血栓症及び肺血栓塞栓症）の治療及び再発抑制	通常、成人にはアピキサバンとして 1 回 10mg を1 日 2 回、7 日間経口投与した後、1 回 5mg を 1日 2 回経口投与する。6 ヶ月間の維持療法後は再発と出血のリスクを勘案して 5mg または 2.5mg を1 日 2 回経口投与する。6 ヶ月以降の延長治療期には、2.5mg を 1 日 2 回経口投与に減量する事も考慮する*。*再発の危険性が低く、出血の危険性が高い場合	日本静脈学会	ブリストル・マイヤーズ・スクイブ株式会社	適応外薬		今後の方針を検討中

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	検討状況等
7	Ⅳ-163	デクスラゾキサン	小児悪性腫瘍患者におけるアントラサイクリン系抗悪性腫瘍剤の使用による心筋症発症抑制および重症化抑制	心筋症の発症抑制の際の推奨投与方法 使用する場合は用時溶解し、デクスラゾキサンを更に希釈して使用すること。 　ドキソルビシンあるいはエピルビシン投与前15分かけてデクスラゾキサンを静脈内注入により投与する。ドキソルビシンあるいはエピルビシンを以後も投与する場合はデクスラゾキサンの投与も継続する。ただし静注により投与しないこと。 　デクスラゾキサンのドキソルビシンあるいはエピルビシンに対する推奨用法用量比率は10:1である（例えば、500mg/m² デクスラゾキサン：50mg/m²ドキソルビシン、600mg/m² デクスラゾキサン：60mg/m²エピルビシン）。デクスラゾキサン注入終了後、30分以内にドキソルビシンあるいはエピルビシンを投与する。 小児の場合 アントラサイクリン系抗悪性腫瘍剤治療を受ける小児・思春期の心筋症発生抑制および重症化抑制。腫瘍制御を維持するためにドキソルビシンあるいはエピルビシン等治療を継続する小児がん・肉腫において、ドキソルビシンあるいはエピルビシン等投与に伴う心筋症の発現率および重症度を低下させる。	一般社団法人　日本腫瘍循環器学会	キッセイ薬品工業株式会社	適応外薬	○	企業見解確認中
8	Ⅳ-164	デクスラゾキサン	成人転移性乳癌患者におけるアントラサイクリン系抗悪性腫瘍剤の心筋症発症抑制	心筋症の発症抑制の際の推奨投与方法 使用する場合は用時溶解し、デクスラゾキサンを更に希釈して使用すること。 　ドキソルビシンあるいはエピルビシン投与前15分かけてデクスラゾキサンを静脈内注入により投与する。ドキソルビシンあるいはエピルビシンを以後も投与する場合はデクスラゾキサンの投与も継続する。ただし静注により投与しないこと。 デクスラゾキサンのドキソルビシンあるいはエピルビシンに対する推奨用法用量比率は10:1である（例えば、500mg/m² デクスラゾキサン：50mg/m²ドキソルビシン、600mg/m² デクスラゾキサン：60mg/m²エピルビシン）。デクスラゾキサン注入終了後、30分以内にドキソルビシンあるいはエピルビシンを投与する。 成人の場合：累積ドキソルビシン量300 mg/m2あるいは累積エピルビシン量540 mg/m2腫瘍制御を維持するためにドキソルビシンあるいはエピルビシン治療を継続する転移性乳がんにおいて、ドキソルビシンあるいはエピルビシン投与に伴う心筋症の発現率および重症度を低下させる。ドキソルビシンあるいはエピルビシン開始とともにデクスラゾキサンを使用しないこと。	一般社団法人　日本腫瘍循環器学会	キッセイ薬品工業株式会社	適応外薬		企業見解確認中
9	Ⅳ-167	ガルカネズマブ（遺伝子組換え）	群発頭痛発作の発症抑制	300mgを1ヶ月間隔で皮下投与する。	個人	日本イーライリリー株式会社	適応外薬		今後の方針を検討中
10	Ⅳ-170	尿素（13C）	小児・未成年者（青年）に対するヘリコバクター・ピロリの感染診断	通常、小児・未成年者（青年）には、尿素（13C）として100mg（1錠）を空腹時に経口投与する。	一般社団法人日本ヘリコバクター学会	大塚製薬株式会社	適応外薬	○	今後の方針を検討中

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	検討状況等
11	Ⅳ-191	リツキシマブ（遺伝子組換え）	○ 後天性血栓性血小板減少性紫斑病 ※リツキシマブ（遺伝子組換え）の効能又は効果として、既に後天性血栓性血小板減少性紫斑病に対する承認が得られているが、効能又は効果に関連する注意において<u>再発又は難治の場合に使用が制限されていることから、当該使用上の注意の改訂を希望</u>する。	〈多発血管炎性肉芽腫症、顕微鏡的多発血管炎、慢性特発性血小板減少性紫斑病、後天性血栓性血小板減少性紫斑病、全身性強皮症〉 通常、成人には、リツキシマブ（遺伝子組換え）として1回量375mg/m2を1週間間隔で4回点滴静注する。 〈効能共通〉 本剤は用時生理食塩液又は5%ブドウ糖注射液にて1～4mg/mLに希釈調製し使用する。	一般社団法人 日本血液学会	全薬工業株式会社	適応外薬		企業見解を確認中
12	Ⅳ-198	tenecteplase	虚血性脳血管障害急性期に伴う機能障害の改善（発症後4.5時間以内）	体重kg当たりtenecteplase 0.25mgを静脈内ボーラス投与する。	日本脳卒中学会	Boehringer Ingelheim（欧州、豪州、アジア）	未承認薬		企業見解を確認中
13	Ⅳ-201	無水エタノール	不整脈（心房性および心室性）に対する経皮的エタノール注入療法	目標血管に対し1ccを2分かけて注入する。標的血管によって合計4回までの注入を繰り返す	日本不整脈心電学会	扶桑薬品 ヴィアトリス・ヘルスケア	適応外薬		企業見解を確認中
14	IVS-32	アミノレブリン酸塩酸塩	経尿道的膀胱腫瘍切除術時における筋層非浸潤性膀胱癌の可視化 <u>尿管鏡検査時における上部尿路上皮癌の可視化</u>	<u>＜経尿道的膀胱腫瘍切除術時における筋層非浸潤性膀胱癌の可視化＞</u> 通常、成人には、アミノレブリン酸塩酸塩として20mg/kgを、膀胱鏡挿入2～8時間前に、水に溶解して経口投与する。 <u>＜尿管鏡検査時における上部尿路上皮癌の可視化＞</u> <u>通常、成人には、アミノレブリン酸塩酸塩として20mg/kgを、尿管鏡挿入2～8時間前に、水に溶解して経口投与する。</u>	一般社団法人 日本泌尿器科学会、一般社団法人 日本泌尿器内視鏡・ロボティクス学会、泌尿器光力学研究会	SBIファーマ株式会社	迅速実用化		企業見解を確認中
15	Ⅳ-216	マルトール第二鉄	鉄欠乏症を有する肺動脈性肺高血圧症	30mgを１日２回経口投与	NPO法人　PAHの会	Shield Therapeutics plc	未承認薬		今後の方針を検討中
＜精神・神経WG＞									
16	Ⅳ-199	Cisatracurium besylate（成人）	気管挿管時の筋弛緩、麻酔時の筋弛緩、ならびに集中治療室における呼吸管理時の筋弛緩	静脈内投与 気管挿管時：0.10～0.15 mg/kg 維持：0.02～0.03 mg/kg(10~25分毎) 持続投与：3 mcg/kg/min（開始時） 1-2 mcg/kg/min（安定時）	公益社団法人　日本麻酔科学会	Abbvie Aspen Kalceks Omega	未承認薬		要望書を確認中

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	検討状況等
17	Ⅳ-200	Cisatracurium besylate（小児）	気管挿管時の筋弛緩、麻酔時の筋弛緩、ならびに集中治療室における呼吸管理時の筋弛緩	静脈内投与 気管挿管時： 【成人】0.10-0.15 mg/kg 【2~12歳】0.10-0.15 mg/kg 【1~23ヶ月】0.15 mg/kg 維持： 【成人】0.02-0.03 mg/kg（10-25分毎） 【2~12歳】0.02 mg/kg 持続投与： 【成人】 3 mcg/kg/min（開始時）、1-2 mcg/kg/min（安定時） 【2~12歳】 3 mcg/kg/min（開始時）、1-2 mcg/kg/min（安定時）	公益社団法人　日本麻酔科学会	Abbvie Aspen Kalceks Omega	未承認薬	○	要望書を確認中
18	Ⅳ-204	プロプラノール塩酸塩	本態性高血圧症（軽症～中等症） 狭心症 褐色細胞腫手術時 期外収縮（上室性、心室性）、発作性頻拍の予防、頻拍性心房細動（徐脈効果）、洞性頻脈、新鮮心房細動、発作性心房細動の予防 片頭痛発作の発症抑制 右心室流出路狭窄による低酸素発作の発症抑制 <u>本態性振戦</u>	1.本態性高血圧症（軽症～中等症）に使用する場合 通常、成人にはプロプラノール塩酸塩として1日30～60mgより投与をはじめ、効果不十分な場合は120mgまで漸増し、1日3回に分割経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。 2.狭心症、褐色細胞腫手術時に使用する場合 通常、成人にはプロプラノール塩酸塩として1日30mgより投与をはじめ、効果が不十分な場合は60mg、90mgと漸増し、1日3回に分割経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。 3.期外収縮（上室性、心室性）、発作性頻拍の予防、頻拍性心房細動（徐脈効果）、洞性頻脈、新鮮心房細動、発作性心房細動の予防に使用する場合 成人：通常、成人にはプロプラノール塩酸塩として1日30mgより投与をはじめ、効果が不十分な場合は60mg、90mgと漸増し、1日3回に分割経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。 小児：通常、小児にはプロプラノール塩酸塩として1日0.5～2mg/kgを、低用量から開始し、1日3～4回に分割経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。効果不十分な場合には1日4mg/kgまで増量することができるが、1日投与量として90mgを超えないこと。 4.片頭痛発作の発症抑制に使用する場合 通常、成人にはプロプラノール塩酸塩として1日20～30mgより投与をはじめ、効果が不十分な場合は60mgまで漸増し、1日2回あるいは3回に分割経口投与する。 5.右心室流出路狭窄による低酸素発作の発症抑制に使用する場合 通常、乳幼児にはプロプラノール塩酸塩として1日0.5～2mg/kgを、低用量から開始し、1日3～4回に分割経口投与する。なお、症状により適宜増減する。効果不十分な場合には1日4mg/kgまで増量することができる。 <u>6.本態性振戦に使用する場合</u> <u>経口、10mg～30mg/日。1日に1～3回に分割投与する。なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日投与量として60mgを超えないこと</u>	日本神経学会	太陽ファルマ株式会社	適応外薬		要望書を確認中
19	Ⅳ-215	レボドパ・ベンセラジド塩酸塩	レストレスレッグス症候群（下肢静止不能症候群）	レストレスレッグス症候群（下肢静止不能症候群） 通常成人はレボドパ量として1回量50mg～100mgを必要時に経口投与する。 なお、症状に応じて適宜漸増するが、レボドパの1日総量として200mgを超えないようにすること。	日本神経学会、日本神経治療学会、日本パーキンソン病・運動障害疾患学会（MDSJ）	太陽ファルマ株式会社	適応外薬		要望書を確認中

<table>
<tr><th>No.</th><th>要望番号</th><th>成分名</th><th>要望効能・効果</th><th>要望用法・用量</th><th>要望者</th><th>会社名</th><th>未承認薬
適応外薬
の分類</th><th>小児WG</th><th>検討状況等</th></tr>
<tr><td colspan="10">＜抗菌・抗炎症WG＞</td></tr>
<tr><td>20</td><td>Ⅳ-3</td><td>クラリスロマイシン</td><td>小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助
※下線部が要望内容</td><td>プロトンポンプインヒビター、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を下表の1回量で1日2回1週間経口投与する。15-30kg未満は15mg/kg/日、30-40kg未満は15mg/kg/日、40kg以上は成人量と同様である。
※下線部が要望内容</td><td>日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会</td><td>大正製薬株式会社
アボット ジャパン株式会社</td><td>適応外薬</td><td></td><td>今後の方針を検討中</td></tr>
<tr><td>21</td><td>Ⅳ-4</td><td>アモキシシリン</td><td>小児・未成年者に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助
※下線部が要望内容</td><td>プロトンポンプインヒビター、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3剤を下表の1回量で1日2回1週間経口投与する。15-30kg未満は50mg/kg/日、30-40kg未満は1500mg/日、40kg以上は成人量と同様である。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAMをメトロニダゾール(MNZ)に替えた3剤を1日2回1週間経口投与する。
※下線部が要望内容</td><td>日本ヘリコバクター学会、日本小児栄養消化器肝臓学会、日本小児感染症学会</td><td>協和発酵キリン株式会社
アステラス製薬株式会社
武田薬品工業株式会社</td><td>適応外薬</td><td></td><td>今後の方針を検討中</td></tr>
<tr><td>22</td><td>Ⅳ-42</td><td>エソメプラゾール</td><td>下記における小児・未成年者（青年）に対するヘリコバクター・ピロリの除菌の補助
胃潰瘍・十二指腸潰瘍・胃MALT リンパ腫・特発性血小板減少性紫斑病・早期胃癌に対する内視鏡的治療後胃、ヘリコバクター・ピロリ感染胃炎</td><td>エソメプラゾール、アモキシシリン(AMPC)及びクラリスロマイシン(CAM)の3 剤を下表の1 日量を1 日2回で1 週間経口投与する。この除菌治療に失敗した場合は二次除菌療法としてCAM をメトロニダゾール(MNZ)に替えた3 剤を下表の1日量を1 日2 回で1 日2 回1 週間経口投与する。
<table><tr><td></td><td>15-30kg未満</td><td>30-40kg未満</td></tr><tr><td>ｴｿﾒﾌﾟﾗｿﾞｰﾙ</td><td>10mg/日</td><td>20mg/日</td></tr><tr><td>AMPC</td><td>50mg/kg/日</td><td>1500mg/日</td></tr><tr><td>CAM</td><td>15mg/kg/日</td><td>15mg/kg/日</td></tr><tr><td>MNZ</td><td>500mg/日 （25kg以上）</td><td>500mg/日</td></tr></table>40kg以上に関しては、成人用量に準じる。通常、成人にはエソメプラゾールとして1 回20mg、アモキシシリン水和物として1 回750mg（力価）及びクラリスロマイシンとして1 回200mg（力価）の3 剤を同時に1 日2 回、7 日間経口投与する。なお、クラリスロマイシンは、必要に応じて適宜増量することができる。ただし、1 回400mg（力価）1 日2 回を上限とする。
プロトンポンプインヒビター、アモキシシリン水和物及びクラリスロマイシンの3 剤投与によるヘリコバクター・ピロリの除菌治療が不成功の場合は、これに代わる治療として、小児（12 歳以上）にはアモキシシリン水和物として1 回50mg/kg（力価）、メトロニダゾールとして1 回250mg（力価）、及びエソメプラゾールとして1 回10mg（15-30kg 未満）または20mg（30-40kg 未満）の3剤を同時に1 日2 回、7 日間経口投与する。</td><td>日本ヘリコバクター学会
日本小児栄養消化器肝臓学会
日本小児感染症学会</td><td>アストラゼネカ株式会社</td><td>適応外薬</td><td>○</td><td>今後の方針を検討中</td></tr>
<tr><td>23</td><td>Ⅳ-90</td><td>トシリズマブ</td><td>多関節に活動性を有する若年性特発性関節炎</td><td>体重：≧30kg: 1回162mgを2週間間隔で皮下注する。
体重：<30kg: 1回162mgを3週間間隔で皮下注する。
2歳以上に限る。</td><td>日本小児リウマチ学会</td><td>中外製薬</td><td>適応外薬</td><td>○</td><td>更新情報を要望者に確認中</td></tr>
<tr><td>24</td><td>Ⅳ-91</td><td>トシリズマブ</td><td>全身型若年性特発性関節炎</td><td>体重：≧30kg: 1回162mgを1週間間隔で皮下注する。
体重：<30kg: : 1回162mgを２週間間隔で皮下注する。
2歳以上に限る。</td><td>日本小児リウマチ学会</td><td>中外製薬</td><td>適応外薬</td><td>○</td><td>更新情報を要望者に確認中</td></tr>
<tr><td>25</td><td>Ⅳ-107</td><td>トシリズマブ</td><td>全身性強皮症に伴う間質性肺疾患の増悪抑制、改善</td><td>通常、成人にはトシリズマブ として1回162mgを1週間隔で皮下注射する。</td><td>日本リウマチ学会
日本呼吸器学会</td><td>中外製薬株式会社</td><td>適応外薬</td><td></td><td>企業見解を確認中</td></tr>
</table>

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	検討状況等
26	Ⅳ-182	ヒドロキシクロロキン硫酸塩（成人）	関節リウマチ	通常、ヒドロキシクロロキン硫酸塩として200mg又は400mgを1日1回食後に経口投与する。 ただし、1日の投与量はブローカ式桂変法により求められる以下の理想体重に基づく用量とする。 女性患者の理想体重（kg）＝（身長（cm）-100）×0.85 男性患者の理想体重（kg）＝（身長（cm）-100）×0.9 ・理想体重が31kg以上46kg未満の場合、1日1回1錠（200mg）を経口投与する。 ・理想体重が46kg以上62kg未満の場合、1日1回1錠（200mg）と1日1回2錠（400mg）を1日おきに経口投与する。 ・理想体重が62kg以上の場合、1日1回2錠（400mg）を経口投与する	一般社団法人日本リウマチ学会	サノフィ株式会社	適応外薬		検討中
27	Ⅳ-184	ヒドロキシクロロキン硫酸塩（小児）	若年性特発性関節炎	通常、ヒドロキシクロロキン硫酸塩として200mg又は400mgを1日1回食後に経口投与する。 ただし、1日の投与量はブローカ式桂変法により求められる以下の理想体重に基づく用量とする。 女性患者の理想体重（kg）＝（身長（cm）-100）×0.85 男性患者の理想体重（kg）＝（身長（cm）-100）×0.9 ・理想体重が31kg以上46kg未満の場合、1日1回1錠（200mg）を経口投与する。 ・理想体重が46kg以上62kg未満の場合、1日1回1錠（200mg）と1日1回2錠（400mg）を1日おきに経口投与する。 ・理想体重が62kg以上の場合、1日1回2錠（400mg）を経口投与する。	一般社団法人日本リウマチ学会	サノフィ株式会社	適応外薬	○	検討中
28	Ⅳ-187	トシリズマブ（遺伝子組換え）	既存治療で効果不十分な（重症型）下記疾患 再発性多発軟骨炎	1回162mgを2週間隔で皮下注射する。さらに効果不十分の場合、1回162mgを1週間隔で皮下注射する。	一般社団法人日本リウマチ学会	中外製薬株式会社	適応外薬		要望書を確認中
29	Ⅳ-192	アドレナリン	マムシ抗毒素投与の際のアナフィラキシー予防	成人に対してまむし抗毒素の投与前にアドレナリン1回0.25 - 0.3 mgを皮下注射または筋肉内注射する	日本中毒学会	第一三共株式会社	適応外薬		要望書を確認中
30	Ⅳ-195	ニトロフラントイン	ニトロフラントインに感受性がある、もしくは感受性が強く疑われる原因菌によって引き起こされる急性単純性膀胱炎の治療に適応される。	成人において100mgを1日2回、投与期間は5から7日とする。食事と一緒に服用。	日本感染症学会、日本化学療法学会	Procter and Gamble Pharmaceuticals, Inc.	未承認薬		要望書を確認中

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬適応外薬の分類	小児WG	検討状況等
31	Ⅳ-196	エルタペネムナトリウム	1.1 複雑性腹腔内感染症 エルタペネム(一般名:エルタペネムナトリウム、商品名:INVANZ)は、Escherichia coli、Clostridium clostridioforme、Eubacterium lentum、Peptostreptococcus species、Bacteroides fragilis、Bacteroides distasonis、Bacteroides ovatus、Bacteroides thetaiotaomicron、またはBacteroides uniformisに起因する複雑性腹腔内感染症の成人患者および小児患者(生後3ヵ月以上)の治療に適応される。 1.2 骨髄炎を伴わない糖尿病性足感染症を含む複雑性皮膚・皮膚構造感染症 エルタペネムは、骨髄炎を伴わない糖尿病性足感染症を含む、Staphylococcus aureus(メチシリン感受性分離菌のみ), Streptococcus agalactiae, Streptococcus pyogenes, Escherichia coli, Klebsiella pneumoniae, Proteus mirabilis, Bacteroides fragilis, Peptostreptococcus species, Porphyromonas asaccharolytica, またはPrevotella biviaによる複雑性皮膚・皮膚構造感染症の成人患者および小児患者(生後3ヵ月以上)の治療に適応される。エルタペネムは、骨髄炎を合併した糖尿病性足感染症では研究されていない[臨床試験(14)を参照]。 1.3 市中肺炎 エルタペネムは、菌血症、インフルエンザ菌(β-ラクタマーゼ非産生菌のみ)、モラクセラ・カタラーリスが同時に存在する場合を含む、肺炎球菌(Streptococcus pneumoniae)(ペニシリン感受性菌のみ)による市中肺炎の成人患者および小児患者(生後3ヵ月以上)の治療に適応される。 1.4 腎盂腎炎を含む複雑性尿路感染症 エルタペネムは、大腸菌(菌血症を合併している場合を含む)または肺炎桿菌による腎盂腎炎を含む複雑性尿路感染症の成人患者および小児患者(生後3ヵ月以上)の治療に適応される。 1.5 分娩後子宮内膜筋層炎、敗血症性流産、婦人科手術後感染症を含む急性骨盤内感染症 エルタペネムは、Streptococcus agalactiae、Escherichia coli、	2.1 すべての患者への使用説明 静脈内または筋肉内投与の場合 エルタペネムを他の薬剤と混合または混注しないこと。デキストロース(α-D-グルコース)を含む希釈液を使用しないこと。 エルタペネムは、点滴静脈内注射で最長14日間または筋肉内注射で最長7日間で投与することができる。静脈内投与の場合、エルタペネムは30分かけて注入する。 筋肉内投与が適切な感染症の治療では、エルタペネムの静脈内投与の代わりとして筋肉内投与が使用できる。 2.2 治療レジメン 13歳以上 13歳以上の患者におけるエルタペネムの用量は、1日1回1グラム(g)である[臨床薬理(12.3)を参照]。 生後3ヵ月～12歳 生後3ヵ月から12歳までの患者におけるエルタペネムの用量は、15mg/kgを1日2回(1g/日を超えない)である。 表1にエルタペネムの治療指針を示す。(表1は要望書参照) 2.3 成人における予防レジメン 表2に成人における予防指針を示す(表2は要望書参照) 2.4 腎機能障害のある患者 エルタペネムは、腎機能障害のある成人患者における感染症の治療に使用することができる。クレアチニンクリアランスが30mL/分/1.73m2以上の患者では、投与量の調整は必要ない。クレアチニンクリアランス≦30mL/分/1.73m2)および末期腎疾患(クレアチニンクリアランス≦10mL/分/1.73m2)の成人患者には、1日500mgを投与する。血液透析前6時間以内にエルタペネムを投与する場合は、150mgの追加投与が推奨される。腎機能障害のある小児患者におけるデータはない。 2.5 血液透析中の患者 血液透析を受けている成人患者に対して、エルタペネムを1日推奨用量である500mgを血液透析前6時間以内に投与する場合、血液透析後に150mgを追加投与することが推奨される。エルタペネムを血液透析の6時間以上前に投与する場合は、追加投与は必要ない。腹膜透析または血液濾過を受けている患者におけるデータはない。血液透析を受けている小児患者におけるデータはない。 血清クレアチニンデータのみが入手可能な場合、クレアチニンクリアランスの推定には以下の式 が使用できる。血清クレアチニンは腎機能の定常状態を表すはずである。 男性:(体重(kg)×(140-年齢(歳))/(72)×血清クレアチニン(mg/100mL) 女性:(0.85)×(男性について計算した値) 2.6 肝機能障害のある患者 肝機能障害のある患者では、用量調節の推奨はできない[特定の人口における使用(8.7)および臨床薬理学(12.3)を参照]。 2.7 投与のための調製及び溶解 バイアル 成人および13歳以上の小児患者 静脈内投与の調整: エルタペネムを他の薬剤と混合または混注しないこと。 デキストロース(α-D-グルコース)を含む希釈剤を使用しないこと。 エルタペネムは、必ず投与前に溶解し、更に希釈して使用すること。	日本感染症学会、日本化学療法学会	Merck & Co., Inc.	未承認薬		要望書を確認中

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬適応外薬の分類	小児WG	検討状況等
			Bacteroides fragilis、Porphyromonas asaccharolytica、Peptostreptococcus species、Prevotella bivialに起因する分娩後子宮内膜筋層炎、敗血症性流産、婦人科手術後感染症を含む急性骨盤内感染症の成人患者および小児患者(生後3ヵ月以上)の治療に適応される。 1.6 待機的大腸手術後の手術部位感染の予防 　エルタペネムは、成人において、待機的大腸手術後の手術部位感染の予防に適応される。 1.7 使用法 　薬剤耐性菌の発生を抑え、エルタペネムや他の抗菌薬の効果を維持するため、エルタペネムは、感受性菌が原因であることが証明されているか、強く疑われる感染症の治療や予防にのみ使用されるべきである。培養や感受性の情報が入手できる場合は、抗菌薬療法の選択や変更に際して考慮すべきである。そのようなデータがない場合、地域の疫学と感受性パターンを経験的治療選択の参考にしてもよい。	1. エルタペネムの1gバイアルを10mLの注射用水、0.9% 塩化ナトリウム注射液、または注射用静菌水のいずれかで溶解する。注射器には21ゲージ以下の注射針を用いる。注:針のない静注システムの使用は推奨されない。 推奨されない。 2. よく振って溶解したバイアル内容物を直ちに0.9%塩化ナトリウム注射液50mLに移す。 3. 点滴は、溶解後6時間以内に完了すること。 筋肉内投与の調整 エルタペネムは、必ず投与前に溶解して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを3.2mLの1.0%塩酸リドカイン注射液 (エピネフリンを含まない)に溶解する。バイアルをよく振って溶液にする。 2. 直ちにバイアルから内容物を抜き取り、大型の筋肉(臀筋や大腿外側など)に深部筋肉内注射する。 3. 溶解した筋肉注射液は、調製後1時間以内に使用すること。注:溶解液は静脈内に投与しないこと。 生後3ヵ月から12歳までの小児患者 静脈内投与の調整: エルタペネムを他の薬剤と混合または混注しないこと。 デキストロース(α-D-グルコース)を含む希釈剤を使用しないこと。 エルタペネムは、必ず投与前に溶解し、更に希釈して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを10mLの注射用水、0.9% 塩化ナトリウム注射液、または注射用静菌水のいずれかで溶解する。注射器には21ゲージ以下の注射針を用いる。注:針のない静注システムの使用は推奨されない。 2. よく振って溶解し、直ちに15mg/kg体重相当量(1g/日を超えないこと)を抜き取り、0.9%塩化ナトリウム注射液で最終濃度が20mg/mL以下になるように希釈する。使用しなかったエルタペネム溶解液の入ったバイアルは廃棄する。 3. 点滴は、溶解後6時間以内に完了すること。 筋肉内投与の調整 エルタペネムは、必ず投与前に溶解して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを3.2mLの1.0%塩酸リドカイン注射液2(エピネフリンを含まない)に溶解する。バイアルをよく振って溶液にする。 2. 直ちに15mg/kg体重相当量(1g/日を超えないこと)を抜き取り、大型の筋肉(臀筋や大腿外側など)に深部筋肉内注射する。使用しなかったエルタペネム溶解液の入ったバイアルは廃棄する。 3. 溶解した筋肉注射液は、調製後1時間以内に使用すること。注:溶解液は静脈内に投与しないこと。 保存方法 　希釈液で調製した場合、エルタペネム(注射用エルタペネム)は室温(25℃)で6時間、冷蔵(5℃)で24時間とその後冷蔵から取り出してから4時間以内の使用においては、十分な効力を維持する。エルタペネムの溶液は凍結させないこと。 　投与前に、エルタペネム(注射用エルタペネム)の添付文書を参照のこと。 　非経口用医薬品は、溶液や容器が許す限り、使用前に粒子状物質や変色がないか目視で検査すること。エルタペネムの溶液は無色から淡黄色までの範囲である。 この範囲内の色の変化は、製品の効力には影響しない。					

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	検討状況等
32	Ⅳ-205	サリルマブ（遺伝子組換え）	リウマチ性多発筋痛症	通常、成人にはサリルマブ（遺伝子組換え）として1 回200 mg を2 週間隔で皮下投与する。	一般社団法人日本リウマチ学会	サノフィ株式会社	適応外薬		企業見解を確認中
33	Ⅳ-206	サラゾスルファピリジン	関節リウマチ 若年性特発性関節炎 6歳以上に限る。	関節リウマチ： 本剤は、消炎鎮痛剤などで十分な効果が得られない場合に使用すること。通常、サラゾスルファピリジンとして成人1日投与量1gを朝食及び夕食後の2回に分割経口投与する。 若年性特発性関節炎： 1日30～50mg/kgを2回に分けて投与する。 胃腸症状の副作用を軽減するため、予定維持量の4分の1から3分の1量で開始し、1か月後に維持量に達するまで毎週増量する。 最大用量は1日1ｇとする。	一般社団法人日本リウマチ学会	あゆみ製薬株式会社	適応外薬	○	企業見解待ち
34	IVS-31	ジクロフェナクナトリウム	カペシタビン誘発性手足症候群の予防	適量を1日2回手足に塗布する。	一般社団法人 日本癌治療学会	祐徳薬品工業株式会社、日本臓器製薬株式会社、帝國製薬株式会社	迅速実用化		要望書を確認中
35	IVS-34	ルキソリチニブリン酸塩（成人）	慢性活動性EBウイルス病（慢性活動性EBウイルス感染症、CAEBV）の疾患活動性（炎症症状）の抑制	本剤を1日2回、12時間毎を目安に経口投与する。用量はルキソリチニブリン酸塩として1回5mg～20mgの範囲とし血小板数により適宜増減する。	日本血液学会	ノバルティスファーマ株式会社	迅速実用化		要望書を確認中
36	IVS-35	ルキソリチニブリン酸塩（小児）	慢性活動性EBウイルス病（慢性活動性EBウイルス感染症、CAEBV）の疾患活動性（炎症症状）の抑制	13歳以上には本剤を1日2回、12時間毎を目安に経口投与する。用量はルキソリチニブリン酸塩として1回5mg～20mgの範囲とし血小板数により適宜増減する。 12歳は10 mg/回　1日2回 6歳以上12歳未満は　5mg/回　1日2回 6歳未満は4mg/m2/回　1日2回とする。 28日齢未満の小児等を対象とした臨床試験は実施されていない。また、2歳未満の患者に対する本剤の用法及び用量の 適切性について、臨床試験で十分な検討は行われていない。	日本血液学会	ノバルティスファーマ株式会社	迅速実用化	○	要望書を確認中
37	Ⅳ-214	スルファメトキサゾール・トリメトプリム	〈適応菌種〉スルファメトキサゾール/トリメトプリムに感性の腸球菌属、大腸菌、赤痢菌、チフス菌、パラチフス菌、シトロバクター属、クレブシエラ属、エンテロバクター属、プロテウス属、モルガネラ・モルガニー、プロビデンシア・レットゲリ、インフルエンザ菌 〈適応症〉肺炎、慢性呼吸器病変の二次感染、膀胱炎、腎盂腎炎、感染性腸炎、腸チフス、パラチフス ニューモシスチス肺炎の治療及び発症抑制 〈適応菌種〉ニューモシスチス・イロベチー 〈適応症〉ニューモシスチス肺炎、ニューモシスチス肺炎の発症抑制 ※複雑性膀胱炎→膀胱炎への変更	一般感染症 通常、成人には1日量4錠(顆粒の場合は4g、ミニ配合錠の場合は16錠)を2回に分割し、経口投与する。ただし、年齢、症状に応じて適宜増減する。 ニューモシスチス肺炎の治療 通常、成人には1日量9～12錠(顆粒の場合は9～12g、ミニ配合錠の場合は36～48錠)を3～4回に分割し、経口投与する。小児にはトリメトプリムとして1日量15～20mg/kgを3～4回に分割して、経口投与する。ただし、年齢、症状に応じて適宜増減する。 ニューモシスチス肺炎の発症抑制 通常、成人には1日1回1～2錠(顆粒の場合は1～2g、ミニ配合錠の場合は4～8錠)を連日又は週3日経口投与する。小児にはトリメトプリムとして1日量4～8mg/kgを2回に分割し、連日又は週3日経口投与する。	一般社団法人日本感染症学会	①塩野義製薬株式会社 ②鶴原製薬株式会社	適応外薬		要望書を確認中

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	検討状況等
＜抗がんWG＞									
38	Ⅳ-20	ビンブラスチン硫酸塩	難治性デスモイド型線維腫症	メトトレキサート30mg/m2とビンブラスチン硫酸塩6mg/m2との併用で点滴静注する。これを1コースとして2週間に1回の投与を繰り返す。	日本整形外科学会	日本化薬株式会社	適応外薬		要望書を確認中
39	Ⅳ-21	メトトレキサート	難治性デスモイド型線維腫症	メトトレキサート30mg/m2とビンブラスチン硫酸塩6mg/m2との併用で点滴静注する。これを1コースとして2週間に1回の投与を繰り返す。	日本整形外科学会	ファイザー株式会社	適応外薬		要望書を確認中
40	Ⅳ-138	エトポシド	造血幹細胞移植の前治療	同種造血幹細胞移植前治療として、1日15～30mg/kgを点滴静注し、2日間投与する。自己造血幹細胞移植前治療として、1日500mg/m2を点滴静注し、3日間投与、もしくは1日400mg/m2を点滴静注し、4日間投与する。疾患及び患者の状態により適宜減量する。	日本造血・免疫細胞療法学会	日本化薬	適応外薬		要望書の内容について要望者に確認中
41	Ⅳ-139	エトポシド	造血幹細胞移植の前治療	（小児） 同種造血幹細胞移植前治療として、 標準体重30kg未満：1日60 mg/kg、標準体重30kg以上：1日1800 mg/m2（最大3000 mg）を点滴静注し、1日間投与する。 自己造血幹細胞移植前治療として、 1日200 mg/m2 を点滴静注し、4日間投与する。疾患及び患者の状態により適宜減量する。	日本造血・免疫細胞療法学会	日本化薬	適応外薬	○	要望書の内容について要望者に確認中
42	Ⅳ-146	メルファラン（成人）	造血幹細胞移植の前治療	成人 メルファランとして1日1回60mg/m2を3日間投与（メルファラン3日間総量180mg/m2）する。 多発性骨髄腫に対してはメルファランとして1日1回100mg/m2を2日間投与（メルファラン2日間総量200mg/m2）も可とする。	日本造血・免疫細胞療法学会	アスペンジャパン株式会社	適応外薬		要望書の内容について要望者に確認中
43	Ⅳ-147	メルファラン（小児）	造血幹細胞移植の前治療	小児 メルファランとして1日1回70mg/m2を3日間投与（メルファラン3日間総量210mg/m2）する。 なお、メルファラン総量及び1日投与量は、患者の状態、併用する薬剤、全身放射線照射併用により適宜減量する。	日本造血・免疫細胞療法学会	アスペンジャパン株式会社	適応外薬	○	要望書の内容について要望者に確認中

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	検討状況等
44	Ⅳ-210	カボザンチニブリンゴ酸塩	根治切除不能又は転移性の腎細胞癌 がん化学療法後に増悪した切除不能な肝細胞癌 治癒切除不能な神経内分泌腫瘍	通常、成人にはカボザンチニブとして1日1回60mgを空腹時に経口投与する。なお、患者の状態により適宜減量する。	日本癌治療学会、日本神経内分泌腫瘍研究会、日本膵臓学会、日本臨床腫瘍学会、パンキャンジャパン	武田薬品工業株式会社	適応外薬		要望書の内容について要望者に確認中
45	Ⅳ-211	ペグインターフェロンアルファー2a	本態性血小板血症	週1回、皮下に投与する。	骨髄増殖性腫瘍患者・家族会（MPN-JAPAN）	中外製薬	適応外薬		要望書の内容について要望者に確認中
46	Ⅳ-212	ペグインターフェロンアルファー2a	真性多血症	週1回、皮下に投与する。	骨髄増殖性腫瘍患者・家族会（MPN-JAPAN）	中外製薬	適応外薬		要望書の内容について要望者に確認中
47	ⅣS-30	ニムスチン塩酸塩	脳腫瘍	用法：convection-enhanced delivery（CED）を用いた腫瘍内局所投与（脳内留置カテーテルからの低流量持続投与） 用量：ニムスチン塩酸塩0.75 mg/mLを数本のカテーテルからテント上病変（大脳）は合計20mL投与、テント下病変（脳幹・小脳）は合計7mL投与	日本脳神経外科学会・日本脳腫瘍学会	アルフレッサファーマ株式会社	迅速実用化	○	企業見解を確認中
48	ⅣS-36	無水エタノール	膵神経内分泌腫瘍に対して超音波内視鏡ガイド下に吸引生検針を用いて穿刺し、腫瘍内にエタノールを注入することで凝固壊死を引き起こし、腫瘍制御を行う。ホルモン産制性腫瘍では、注入によりホルモン分泌能を抑制させる。	患者当たり1日注入量は最大2.0mL以内を原則とする。総注入量が1日最大注入量を超える場合、数日に分けて治療を行うが、初回注入後の臨床経過を十分に観察した上で、週2回の注入手技を限度とする。	日本膵臓学会	扶桑工業株式会社	迅速実用化		企業見解を確認中
49	ⅣS-37	エトポシド	造血幹細胞移植の前治療	同種造血幹細胞移植前治療として、1日15～30mg/kgを点滴静注し、2日間投与する。 自己造血幹細胞移植前治療として、1日500mg/m2を点滴静注し、3日間投与投与する。疾患及び患者の状態により適宜減量する	日本造血・免疫細胞療法学会	日本化薬	迅速実用化		要望書の内容について要望者に確認中

No.	要望番号	成分名	要望効能・効果	要望用法・用量	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	検討状況等
＜生物WG＞									
50	Ⅳ-188	Meningococcal group B vaccine	血清群B髄膜炎菌の予防	0.5mLを0ヶ月と6か月の二回筋肉注射。二回目が6ヶ月より前になってしまった場合、二回目から少なくとも4か月経ってから三回目を投与。	日本神経学会、日本神経免疫学会、日本神経治療学会、日本血液学会	Pfizer Inc.	未承認薬		要望書を確認中
51	Ⅳ-193	Meningococcal group B vaccine	血清群B髄膜炎菌の予防	0.5mL　筋肉注射　1ヶ月以上の間隔をあけて二回投与	日本神経学会、日本神経免疫学会、日本神経治療学会、日本血液学会	GlaxoSmithKline	未承認薬		要望書を確認中
52	Ⅳ-207	Meningococcal group B vaccine	血清群B髄膜炎菌の予防	初回：0.5mL　筋注。2～5ヶ月は3回、それぞれ一ヶ月以上あけて投与。6ヶ月～10歳は2回、2ヶ月以上あけて投与。11歳以上は2回、1ヶ月以上あけて投与。 ブースター：初回ワクチン完了1年後と、その後2～3年ごと	日本小児感染症学会、日本小児科学会	GlaxoSmithKline	未承認薬	○	要望書を確認中
53	Ⅳ-208	Meningococcal group B vaccine	血清群B髄膜炎菌の予防	初回：1回0.5mLを6か月間隔で二回筋注。あるいは、1回0.5mLを3回（2回目は1回目から1ヶ月以上あけて、3回目は2回目から4ヶ月以上あけて）筋注。 ブースター：初回ワクチン完了1年後と、その後2～3年ごと	日本小児感染症学会、日本小児科学会	Pfizer Inc.	未承認薬	○	要望書を確認中
54	Ⅳ-213	Meningococcal Groups A, B, C, W, and Y Vaccine	血清群A、B、C、W、Y群髄膜炎菌の予防	初回：1回0.5mLを0か月と6か月の二回筋注. ブースター：接種しても良い. ペンブラヤはトルメンバとMen-ACWYを同時に打つ代替になるのみである点に留意	日本神経学会、日本神経治療学会、日本神経免疫学会、日本血液学会	Pfizer Inc.	未承認薬		要望書を確認中

未承認薬	11
適応外薬	35
迅速実用化	8
合計	54

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

資料2-2

医療上の必要性が高いと判断された要望のうち、企業に開発要請を行った要望に係る検討状況

（令和７年９月29日 第65回会議）※ 要望等の件数は会議1ヶ月前締め

			第Ⅰ～Ⅲ回 要望※1	第Ⅳ回 要望※1	合計	前回からの変動理由 (括弧内は前回会議からの増減)
開発要請した要望総数※2			302件	100件	402件	
専門WG	検討中		7件 (-2)	34件 (−2)	41件※3	専門WGで検討終了（－１件）、開発着手（-3件）
専門WG	検討済	公知申請が妥当	128件	52件 (＋１)	180件	抗がんWGで評価（＋１件）→本日の会議で審議
専門WG	検討済	その他（治験実施等）	167件 (+2)	14件 (＋１)	181件	開発着手（+3件）
本会議	検討済	公知申請が妥当	128件	51件 (+6)	179件	前回審議（＋6件）

※1 要望受付時期：第Ⅰ回 2009.6.18～8.17、第Ⅱ回 2011.8.2～9.30、第Ⅲ回 2013.8.1～2015.6.30、第Ⅳ回 2015.7.1～随時募集

※2 このほか、医療上の必要性が高いと判断された要望であっても、国内に開発要請する相手企業が存在しないため開発企業を公募した場合（公募を行った医薬品については資料５を参照）や、要望が取り下げられた場合がある。要望総数には、公募後に開発要請したものを含む。

※3 個々の品目の詳細は別添を参照

専門作業班にて、実施が必要な試験等を検討中の要望一覧（第Ⅰ～Ⅲ回要望）

別添

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）注	検討状況等
＜循環器WG＞									
1	Ⅱ-17	アドレナリン	0.01%注射液の剤形追加 心停止の補助治療、各種疾患もしくは状態に伴う急性低血圧またはショック時の補助治療	小児救急医学会	第一三共株式会社	適応外薬	○		プレフィルドシリンジの要望について、要望者と対応協議中 学会のレジストリ結果公表待ち
＜抗菌・抗炎症WG＞									
2	Ⅱ-45	エタンブトール塩酸塩	肺結核およびその他の結核症の小児用法・用量の追加	日本小児呼吸器疾患学会	サンド株式会社 科研製薬株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	リファンピシンとの併用剤 企業見解確認中
3	Ⅱ-72	クリンダマイシンリン酸エステル及びクリンダマイシン塩酸塩	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発予防	日本感染症学会	ファイザー株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	公募品目スルファジアジン（Ⅱ-111）を含む併用療法で用いられる 各薬剤の用法・用量等について検討中 対面助言実施
4	Ⅱ-223	ホリナートカルシウム	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発予防	日本感染症学会	ファイザー株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	公募品目スルファジアジン（Ⅱ-111）を含む併用療法で用いられる 各薬剤の用法・用量等について検討中 対面助言実施
5	Ⅱ-272.1 Ⅱ-272.2	リファンピシン	肺結核およびその他の結核症の小児用法・用量の追加	日本小児呼吸器疾患学会 日本感染症学会	第一三共株式会社 サンド株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中
＜抗がんWG＞									
6	Ⅲ-②-2	三酸化ヒ素	初発を含む急性前骨髄球性白血病	日本血液学会	日本新薬株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	使用実態調査依頼中
7	Ⅲ-①-73	リツキシマブ（遺伝子組換え）	小児のCD20陽性のB細胞性非ホジキンリンパ腫（バーキットリンパ腫、前駆Bリンパ球性リンパ腫を含む）	日本小児血液・がん学会	全薬工業株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中

注）提出された企業見解より適宜抜粋した。

未承認薬	0
適応外薬	7
合計	7

専門作業班にて、実施が必要な試験等を検討中の要望一覧（第Ⅳ回要望）

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）注	検討状況等
＜代謝・その他WG＞									
1	Ⅳ-112	メトトレキサート	同種造血細胞移植時の移植片対宿主病の抑制	日本造血・免疫細胞療法学会	ファイザー株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中（企業からの追加情報待ち）
2	Ⅳ-140	メトトレキサート	同種造血細胞移植時の移植片対宿主病の抑制	日本造血・免疫細胞療法学会	ファイザー株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中（企業からの追加情報待ち）
3	Ⅳ-185	エポエチンベータペゴル（遺伝子組換え）	生後3 か月以上の小児における腎性貧血	日本小児腎臓病学会	中外製薬株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中（公知申請の該当性に係る情報の整理中）
＜循環器WG＞									
4	Ⅳ-72	魚油由来静脈注射用脂肪乳剤（精製魚油エマルジョン）	小児静脈栄養関連胆汁うっ滞における栄養補給	日本小児外科学会	フレゼニウスカービジャパン株式会社	未承認薬	○	医師主導治験の結果を評価後に再検討。	企業の再検討結果待ち
5	Ⅳ-177	フルデオキシグルコース（18F）	不明熱の原因部位の可視化（38℃以上の発熱が3 週間以上続き、一連の診療でも発熱の原因部位が不明な場合に利用）	日本核医学会、日本臨床検査医学会、日本感染症学会、日本リウマチ学会	日本メジフィジックス株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	WG準備中
＜精神・神経WG＞									
6	Ⅳ-157	レベチラセタム	てんかん重積	日本小児神経学会、日本てんかん学会、日本てんかん協会	ユーシービージャパン株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	使用実態調査結果を確認中
7	ⅣS-8	ベバシズマブ（遺伝子組換え）	放射線脳壊死に起因する脳浮腫	日本脳神経外科学会日本放射線腫瘍学会日本定位放射線治療学会	中外製薬株式会社	迅速実用化		公知申請を希望する。	画像診断に用いる製剤の開発状況を踏まえて検討中

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）注	検討状況等
＜抗菌・抗炎症WG＞									
8	Ⅳ-189	コルヒチン	ベーチェット病	厚生労働科学研究補助金（難治性疾患政策研究事業）ベーチェット病に関する調査研究班、日本ベーチェット病学会	高田製薬株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	学会にて使用実態調査の実施を検討中
9	Ⅳ-202	プレトマニド	＜適応菌種＞ 多剤耐性結核菌 ＜適応症＞ 多剤耐性肺結核	日本結核・非結核性抗酸菌症学会	ヴィアトリス製薬合同会社	未承認薬		申請方法について検討中。	国内で必要な追加データ（PK等）について、企業側で検討中。
10	Ⅳ-203	モキシフロキサシン塩酸塩	＜適応菌種＞ 多剤耐性結核菌 ＜適応症＞ 多剤耐性肺結核	日本結核・非結核性抗酸菌症学会	バイエル薬品株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中（公知申請の該当性に係る情報の整理中）
＜抗がんWG＞									
11	Ⅳ-25	カペシタビン	神経内分泌腫瘍	日本神経内分泌腫瘍研究会 日本膵臓学会 パンキャンジャパン	チェプラファーマ株式会社 中外製薬株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	要望者にて追加調査の実施を検討中
12	Ⅳ-26	テモゾロミド	神経内分泌腫瘍	日本神経内分泌腫瘍研究会 日本膵臓学会 パンキャンジャパン	MSD株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	要望者にて追加調査の実施を検討中
13	Ⅳ-39	チオテパ	中枢神経系リンパ腫（原発性およびその他のリンパ腫の中枢神経系浸潤を含む）	日本リンパ網内系学会	大日本住友製薬株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	学会にて調査の実施を検討中
14	Ⅳ-71	トレチノイン	急性前骨髄球性白血病	日本血液学会	富士製薬工業株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	Ⅲ-②-2の調査結果待ち
15	Ⅳ-75	イマチニブメシル酸塩	隆起性皮膚線維肉腫	日本臨床腫瘍学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
16	Ⅳ-92	オキサリプラチン	再発・難治性非ホジキンリンパ腫	日本リンパ網内系学会	株式会社ヤクルト本社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中（要望者からの追加情報待ち）

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）注	検討状況等
17	Ⅳ-106	レゴラフェニブ水和物	転移・再発・難治性骨肉腫	日本サルコーマ治療研究学会	バイエル薬品	適応外薬		公知申請を希望する。	使用実態調査の実施を検討中
18	Ⅳ-111	レゴラフェニブ水和物	転移・再発・難治性骨肉腫	小児血液・がん学会	バイエル薬品	適応外薬	○	公知申請を希望する。	使用実態調査の実施を検討中
19	Ⅳ-122	ゲムシタビン	上咽頭癌（局所進行上咽頭癌に対する根治治療前後の補助化学療法、および再発または転移を有する上咽頭癌に対する化学療法）	日本頭頸部癌学会	日本イーライリリー	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
20	Ⅳ-137	テモゾロミド	再発・難治性神経芽腫	日本小児血液・がん学会	大原薬品工業株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中
21	Ⅳ-144	フルダラビンリン酸エステル	同種造血幹細胞移植の前治療	一般社団法人　日本造血・免疫細胞療法学会	サノフィ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中（公知申請の該当性に係る情報の整理中）
22	Ⅳ-145	フルダラビンリン酸エステル	同種造血幹細胞移植の前治療	一般社団法人　日本造血・免疫細胞療法学会	サノフィ株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中（公知申請の該当性に係る情報の整理中）
23	Ⅳ-158	テモゾロミド	悪性下垂体腺腫（下垂体癌と難治性下垂体腺腫*） *標準治療（外科手術，薬物治療，放射線治療）に抵抗性で再発を繰り返す下垂体腺腫	日本間脳下垂体腫瘍学会	大原薬品工業株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
24	Ⅳ-159	ドセタキセル水和物	乳癌 （用量の追加）	一般社団法人　日本乳癌学会	サノフィ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
25	Ⅳ-160	メトトレキサート	中枢神経系原発リンパ腫	日本リンパ網内系学会	ファイザー株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	Ⅳ-39の結果待ち
26	Ⅳ-161	シタラビン	中枢神経系原発リンパ腫	日本リンパ網内系学会	日本新薬株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	Ⅳ-39の結果待ち
27	Ⅳ-162	リツキシマブ	中枢神経系原発リンパ腫	日本リンパ網内系学会	全薬工業株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	Ⅳ-39の結果待ち

No.	要望番号	成分名	要請内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要請に対する企業見解 （概略）注	検討状況等
28	Ⅳ-171	オキサリプラチン	膵癌	日本膵臓学会	株式会社ヤクルト本社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中（企業からの追加情報待ち）
29	Ⅳ-172	イリノテカン塩酸塩水和物	膵癌	日本膵臓学会	株式会社ヤクルト本社 アルフレッサファーマ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中（企業からの追加情報待ち）
30	Ⅳ-173	フルオロウラシル	膵癌	日本膵臓学会	協和キリン株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中（企業からの追加情報待ち）
31	Ⅳ-174	レボホリナートカルシウム水和物	膵癌	日本膵臓学会	ファイザー株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中（企業からの追加情報待ち）
32	Ⅳ-190	ペムブロリズマブ（遺伝子組換え）	がん化学療法後に増悪した絨毛性腫瘍（絨毛癌*、PSTT、ETT） *臨床的絨毛癌、high-risk GTN を含む	日本産科婦人科学会/日本婦人科腫瘍学会/日本絨毛性疾患研究会	MSD株式会社	適応外薬		申請方法について検討中。	企業見解の提出待ち
33	Ⅳ-197	イリノテカン塩酸塩水和物	再発・難治性神経芽腫	日本小児血液・がん学会	アルフレッサ ファーマ株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中（公知申請の該当性に係る情報の整理中）
34	ⅣS-25	メルファラン	網膜芽細胞腫	小児血液・がん学会	サンドファーマ株式会社	迅速実用化	○	公知申請を希望する。	企業見解確認中（企業からの追加情報待ち）

注）提出された企業見解より適宜抜粋した。

未承認薬	2
適応外薬	30
迅速実用化	2
合計	34

ドラッグロス解消に向けた取組（令和６年度～）検討状況

（令和７年９月29日 第65回会議）

欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品のうち国内開発未着手品目　※１		86品目				前回からの変動理由（括弧内は前回会議からの増減）
分類	グループ　※２	グループＡ 開発の必要性が特に高い	グループＢ 開発の必要性が高い	グループＣ 開発の必要性が低い グループＤ 開発の必要性がない	その他 開発中または開発予定	
	品目数	14	41	23	8	
検討中	情報整理中	0	35			
検討済※３	必要性高い	11	2			
	うち開発要請	2	1（＋１）			資料６のとおり
	うち開発公募　※４	6	1（＋１）			資料６のとおり
	うちその他　※５	3	0			
	必要性高くない	0	0			
対象外	既に開発中	2	0			
	取り下げ等	1（＋１）	4（＋４）			資料６のとおり

※１： 2016-2020年に欧米で承認されたNMEであって、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目のうち、2023年3月時点で開発情報のない品目（国内開発未着手品目）
出典：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、厚生労働省にて集計

※２： 令和６年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」による情報の整理結果。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」、その他「既にドラッグ・ロスが解消されている医薬品」 に分類。

※３： 既に学会や患者団体等から提出されていた要望、過去に検討会議で検討していた要望を含む

※４： 公募を行った医薬品については資料５を参照

※５： 類薬が開発中のため現時点、開発要請・開発公募をしていない品目

ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

（参考）第63回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（令和７年５月９日）資料２－１抜粋

- 2023年3月時点において、欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は**143品目**。
- 未承認薬143品目中、**国内開発未着手の医薬品は86品目（60.1%）**あり、そもそも**承認申請がなされない（＝企業が開発しない）**という**ドラッグラグ・ロスが発生している**と指摘されている。
- 国内開発状況が未着手の86品目について傾向を分析したところ、**ベンチャー発の医薬品や、オーファン、小児の割合が比較的大きい**ことが分かった。

日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数） 開発中	**未着手**
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	**143**	57	**86**（品目）

内訳

日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	**希少疾病用医薬品（オーファン）**	**小児用医薬品**
56% （48品目）	**47**% （40品目）	**37**% （32品目）

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

※出典：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、厚生労働省にて集計
※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
※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
※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
※４：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までに受けた品目をオーファンとして集計
※５：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

ドラッグロス解消に向けた取組について

（参考）第63回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（令和７年５月９日）資料２－１抜粋

欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品のうち、**国内開発未着手の医薬品86品目について、学会等からの要望を待つことなく、国が能動的に、未承認薬・適応外薬検討会議における医療上の必要性の評価のために必要な情報の整理を行う**ことで、未承認薬・適応外薬検討会議における評価、開発要請等の加速化を図る。

学会・患者会等からの未承認薬・適応外薬の要望

従来のルート

国内開発未着手の医薬品について、国が情報を整理

新規ルート

※令和６年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」において、医薬品のデータ整理、関連学会へニーズ調査、市場性調査、開発の優先順位付け等を実施

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議　（医療上の必要性を判断）

企業に対して開発要請

開発企業を公募

【市場性がない場合】

開発企業の公募を行いつつ、アカデミア主導での開発を支援し、薬事承認申請に活用可能なデータを取得

※上記により企業による開発着手を後押し
※実施に当たってはAMEDによる開発支援、PMDAの薬事戦略相談等も活用

企業による治験の実施等

薬事承認申請

資料 3-1

医療上の必要性の高い未承認薬･適応外薬検討会議
公知申請への該当性に係る報告書（案）
アレムツズマブ（遺伝子組換え）
T 細胞性前リンパ球性白血病

１．要望内容の概略について

要望された医薬品	一般名：アレムツズマブ（遺伝子組換え）	
	販売名：マブキャンパス点滴静注 30mg	
	会社名：サノフィ株式会社	
要望者名	日本リンパ腫学会	
要望内容	効能・効果	T 細胞性前リンパ球性白血病
	用法・用量	アレムツズマブ（遺伝子組換え）として 1 日 1 回 3 mg の連日点滴静注から開始し、1 日 1 回 10 mg を連日点滴静注した後、1 日 1 回 30 mg を週 3 回隔日に点滴静注する。ただし、投与開始から 12 週間までの投与とする。
	効能･効果及び用法･用量以外の要望内容（剤形追加等）	なし
備考	なし	

２．要望内容における医療上の必要性について

第 60 回「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（令和 6 年 9 月 27 日）において、別添のとおり医療上の必要性の基準に該当すると判断した。

３．公知申請の妥当性について

企業見解を提出した企業は、有効性及び安全性について以下のように説明している。

- 有効性について、海外第 I 相試験及び海外第 II 相試験（別紙の企業見解 p6～9）、国内の後方視的調査及び個別症例報告（別紙の企業見解、p13～16）、国内外の教科書、海外の診療ガイドライン等から、T 細胞性前リンパ球性白血病（以下、「T-PLL」）に対してアレムツズマブ（遺伝子組換え）（以下、「本薬」）の有効性は期待できる。
- 安全性について、本薬の既承認の効能・効果である再発・難治性の慢性リンパ性白血病に対する用法・用量の範囲内で投与された海外の第 I 相試験及び第 II 相試験（別紙の企業見解 p6～9）の成績、国内の後方視的調査（別紙の企業見解、p13）並びに公表論文において、T-PLL に対して本薬を投与した際に認められた主な有害事象は本薬で既

知の有害事象であり、新たな安全性上の懸念は認められなかった。

以上より、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（以下、「検討会議」）は、T-PLL に対する本薬の臨床的有用性は、医学薬学上公知であると判断した。

４．効能・効果及び用法・用量等の記載の妥当性について

（１）効能・効果について

効能・効果については、以下のように設定することが適当と検討会議は考える。

【効能・効果】（要望内容に関連する部分のみ抜粋）
T 細胞性前リンパ球性白血病

【設定の妥当性について】
本報告書に記載した情報に基づき、T-PLL に対する本薬の臨床的有用性は説明可能と考える（３.「公知申請の妥当性について」の項参照）ことから、上記のとおり設定することが適切と判断した。

（２）用法・用量について

用法・用量については、以下のように設定することが適当と検討会議は考える。

【用法・用量】（要望内容に関連する部分のみ抜粋）
通常、成人にはアレムツズマブ（遺伝子組換え）として 1 日 1 回 3 mg の連日点滴静注から開始し、1 日 1 回 10 mg を連日点滴静注した後、1 日 1 回 30 mg を週 3 回隔日に点滴静注する。ただし、投与開始から 12 週間までの投与とする。なお、患者の状態により適宜減量する。

【用法・用量に関連する注意】（要望内容に関連する部分のみ抜粋）
＜再発又は難治性の慢性リンパ性白血病及び T 細胞性前リンパ球性白血病＞
7.3　本剤は、いずれの用量も 1 日量を 2 時間以上かけて点滴静注すること。
7.4　1 日 1 回 3 mg 及び 1 日 1 回 10 mg の連日点滴静注において、Grade3 注)以上の infusion reaction が認められない場合、1 日 1 回 3 mg では 1 日 1 回 10 mg の連日点滴静注に、1 日 1 回 10 mg では 1 日 1 回 30 mg の週 3 回隔日点滴静注に、それぞれ増量することができる。
7.5　他の抗悪性腫瘍剤との併用について、有効性及び安全性は確立していない。
7.6　本剤の投与中に好中球数減少及び血小板数減少が認められた場合、下表を参考に本剤の用量を調節すること。なお、ベースライン時の好中球絶対数が 500/μL 以下の患者に

ついて、有効性及び安全性は確立していない。［11.1.1 参照］

休薬、中止又は再開基準

ベースラインの好中球絶対数が 500/μL 超で治療を開始した患者において、好中球絶対数が 250/μL 未満となった場合、又はベースラインの血小板数が 25,000/μL 超で治療を開始した患者において、血小板数が 25,000/μL 以下となった場合	
初回発現時	休薬すること。好中球絶対数 500/μL 以上及び血小板数 50,000/μL 以上に回復した場合、休薬時の用量で投与を再開できる。ただし、7 日以上休薬した場合、再開時の開始用量は 1 日 1 回 3 mg とすること。
2 回目発現時	休薬すること。好中球絶対数 500/μL 以上及び血小板数 50,000/μL 以上に回復した場合、本剤 1 日 1 回 10 mg 又は休薬時の用量のいずれか低い方の用量で投与を再開できる。ただし、7 日以上休薬した場合、再開時の開始用量は 1 日 1 回 3 mg とすること。
3 回目発現時	本剤の投与を中止すること。
ベースラインの血小板数が 25,000/μL 以下で治療を開始した患者において、ベースラインの数値から 50%以上減少した場合	
初回発現時	休薬すること。好中球絶対数及び血小板数がベースライン値に回復した場合、休薬時の用量で投与を再開できる。ただし、7 日以上休薬した場合、再開時の開始用量は 1 日 1 回 3 mg とすること。
2 回目発現時	休薬すること。好中球絶対数及び血小板数がベースライン値に回復した場合、本剤 1 日 1 回 10 mg 又は休薬時の用量のいずれか低い方の用量で投与を再開できる。ただし、7 日以上休薬した場合、再開時の開始用量は 1 日 1 回 3 mg とすること。
3 回目発現時	本剤の投与を中止すること。

注）Grade は NCI-CTCAEv3.0 に準じる

【設定の妥当性について】

以下の理由から、上記のとおり設定することが適切と判断した。

- 要望用法・用量は、本薬の既承認の効能・効果である再発又は難治性の慢性リンパ性白血病に対する用法・用量と同一であること
- 本報告書に記載した情報に基づき、T-PLL に対する本薬の臨床的有用性は説明可能と考える（３.「公知申請の妥当性について」の項参照）こと
- 海外臨床試験及び国内使用実態における本薬の用法・用量は、要望内容の用法・用量（1 日 1 回 3 mg の連日点滴静注から開始し、1 日 1 回 10 mg を連日点滴静注した後、

1 日 1 回 30 mg を週 3 回隔日に点滴静注）と同一であり、海外臨床試験等において安全性上新たな懸念は認められていないことから、用法・用量に関連する注意は、現行の添付文書において注意喚起されている内容と同様の注意喚起を設定することが適切であること

５．要望内容に係る更なる使用実態調査等の必要性について

（１）要望内容について現時点で国内外のエビデンスまたは臨床使用実態が不足している点の有無について

検討会議は、要望内容に関して不足しているエビデンスはないと判断した。

（２）上記（１）で臨床使用実態が不足している場合は、必要とされる使用実態調査等の内容について

なし

（３）その他、製造販売後における留意点について

なし

６．備考

「日本リンパ網内系学会」は 2024 年 6 月に「日本リンパ腫学会」に改称された。

７．参考文献一覧

なし

（添付資料）

別紙　開発要請に対する企業見解

別添　第 60 回医療上の必要性の高い未承認薬適応外薬検討会議（令和 6 年 9 月 27 日）資料 3-4（抄）

別紙

（公知申請への該当性に係る企業見解の様式）

要望番号；IV-83

医療上の必要性の高い未承認薬･適応外薬検討会議
公知申請への該当性に係る企業見解
アレムツズマブ（遺伝子組換え）
T 細胞性前リンパ球性白血病

１．要望内容の概略について

要望された医薬品	一般名：アレムツズマブ（遺伝子組換え）	
	販売名：マブキャンパス点滴静注 30mg	
	会社名：サノフィ株式会社	
要望者名	日本リンパ網内系学会	
要望内容	効能・効果	T 細胞性前リンパ球性白血病
	用法・用量	アレムツズマブ（遺伝子組換え）として 1 日 1 回 3mg の連日点滴静注から開始し、1 日 1 回 10mg を連日点滴静注した後、1 日 1 回 30mg を週 3 回隔日に点滴静注する。ただし、投与開始から 12 週間までの投与とする。
	効能･効果及び用法･用量以外の要望内容（剤形追加等）	なし
備考	なし	

２．要望内容における医療上の必要性について

（１）適応疾病の重篤性についての該当性

第 60 回「医療上の必要性の高い未承認薬･適応外薬検討会議」（令和 6 年 9 月 27 日。以下、「検討会議」）において、T 細胞性前リンパ球性白血病（T-PLL）は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）」に該当すると判断された。

（２）医療上の有用性についての該当性

欧米等 6 カ国では承認されていないものの、海外の診療ガイドラインにおいて T-PLL に対する初回治療での使用が推奨されており、欧米等において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる。したがって、検討会議において、「ウ　欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待

できると考えられる」に該当すると判断された。

３．欧米等６カ国の承認状況等について

（１）　欧米等６カ国の承認状況及び開発状況の有無について

１）米国	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または米国における開発の有無）	
備考	要望内容に係る承認なし（令和 7 年 4 月 15 日現在）
２）英国	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または英国における開発の有無）	
備考	要望内容に係る承認なし（令和 7 年 4 月 15 日現在）
３）独国	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または独国における開発の有無）	
備考	要望内容に係る承認なし（令和 7 年 4 月 15 日現在）
４）仏国	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または仏国における開発の有無）	
備考	要望内容に係る承認なし（令和 7 年 4 月 15 日現在）
５）加国	
効能・効果	
用法・用量	

承認年月（または加国における開発の有無）	
備考	要望内容に係る承認なし（令和 7 年 4 月 15 日現在）
６）豪州	
効能・効果	
用法・用量	
承認年月（または豪州における開発の有無）	
備考	要望内容に係る承認なし（令和 7 年 4 月 15 日現在）

（２）　欧米等６カ国での標準的使用状況について

１）米国	
ガイドライン名	NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology. T-cell lymphomas. Version 1. 2025 [1)] T-PLL 国際研究グループ(TPLL-ISG)コンセンサスガイドライン [2)]
効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	T 細胞性前リンパ球性白血病
用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	NCCN ガイドライン中に下記の注釈がある。（TPLL-B, 1 OF 2） c IV infusion is preferred over SC delivery based on data showing inferior activity with SC delivery in patients with T-PLL (Dearden CE, et al. Blood 2011;118:5799-5802)。 なお、NCCN ガイドライン中に具体的な記載はないが、本論文中で記載されている皮下投与は以下のレジメンであった。 The dose of subcutaneous alemtuzumab was escalated during the first 3 days (3, 10, and 30 mg) and then given at a dose of 30 mg 3 times a week until maximal response, for a maximum of 18 weeks. TPLL-ISG コンセンサスガイドラインには以下の記載がある。 IV Alemtuzumab induction therapy for 10-12 weeks (to achieve best response) followed by consolidation with HSCT where feasible.
ガイドラインの根拠論文	Dearden CE, et al. Blood 2001;98:1721-1726 [3)] Keating MJ, et al. J Clin Oncol 2002;20:205-213 [4)] Dearden CE, et al. Blood 2011;118:5799-5802 [5)]
備考	なし
２）英国	

ガイドライン名	British Society for Haematology (BSH) ガイドライン [6)] T-PLL 国際研究グループ(TPLL-ISG)コンセンサスガイドライン [2)]
効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	T 細胞性前リンパ球性白血病
用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	BSH ガイドライン中に以下の記載がある。 Intravenous alemtuzumab, at a dose of 30 mg three times per week after dose escalation (3, 10, 30 mg) in the first week, appears superior to subcutaneous administration TPLL-ISG コンセンサスガイドラインには具体的に記載なし
ガイドラインの根拠論文	Dearden CE, et al. Blood 2001;98:1721-1726 [3)] Keating MJ, et al. J Clin Oncol 2002;20:205-213 [4)] Dearden CE, et al. Blood 2011;118:5799-5802 [5)]
備考	なし
３）独国	
ガイドライン名	T-PLL 国際研究グループ(TPLL-ISG)コンセンサスガイドライン [2)]
効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	T 細胞性前リンパ球性白血病
用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	TPLL-ISG コンセンサスガイドラインには具体的に記載なし
ガイドラインの根拠論文	Dearden CE, et al. Blood 2001;98:1721-1726 [3)] Keating MJ, et al. J Clin Oncol 2002;20:205-213 [4)] Dearden CE, et al. Blood 2011;118:5799-5802 [5)]
備考	－
４）仏国	
ガイドライン名	T-PLL 国際研究グループ(TPLL-ISG)コンセンサスガイドライン [2)]
効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	T 細胞性前リンパ球性白血病
用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	TPLL-ISG コンセンサスガイドラインには具体的に記載なし
ガイドラインの根拠論文	Dearden CE, et al. Blood 2001;98:1721-1726 [3)] Keating MJ, et al. J Clin Oncol 2002;20:205-213 [4)]

	Dearden CE, et al. Blood 2011;118:5799-5802 [5]
備考	－
５）加国	
ガイドライン名	－
効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	－
用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	－
ガイドラインの根拠論文	－
備考	－
６）豪州	
ガイドライン名	－
効能・効果 （または効能・効果に関連のある記載箇所）	－
用法・用量 （または用法・用量に関連のある記載箇所）	－
ガイドラインの根拠論文	－
備考	－

４．要望内容について企業側で実施した海外臨床試験成績について

－

５．要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について

（１）無作為化比較試験、薬物動態試験等の公表論文としての報告状況

＜文献の検索方法（検索式や検索時期等）、検索結果、文献等の選定理由の概略等＞ １）Pubmed において alemtuzumab、Campath-1H、Campath、T-Prolymphocytic leukemia, T-PLL が抄録 and/or タイトルにある文献を検索したところ 28 件が該当した(2024 年 10 月 24 日)。このうちタイトル及び抄録を確認してアレムツズマブの臨床試験に関する以下の論文を抽

出した。
(alemtuzumab[Title] OR Campath-1H[Title]) AND (T-cell prolymphocytic leukemia[Title] OR T-prolymphocytic leukemia[Title] OR T-PLL[Title] OR prolymphocytic leukemia[Title])

この他、マブキャンパス点滴静注の承認申請・審査に関連して PMDA から公開されている文書(審査報告書、CTD など)から T-PLL に関連した文献を検索した。

＜海外における臨床試験等＞
１）海外第 I 相試験(125-001-C91 試験)マブキャンパス点滴静注 30mg CTD [7] (Blood 1993;82(10) Supple 1:139a [8]
試験概要：非ホジキンリンパ腫(慢性リンパ性白血病を含む)患者を対象としたアレムツズマブ週 3 回投与の第 I/II 相多施設共同非盲検用量探索試験において既治療 T-PLL 患者 12 名が含まれていた。
用法・用量：静注投与 3 回/週、2.5、8、25 又は 80 mg/日、4～12 週間。
有効性：この 12 名での抗腫瘍効果は独立効果評価パネル判定で完全寛解(CR)25.0% (3/12)、部分寛解(PR)33.3% (4/12)、進行(PD)41.7% (5/12)、寛解(CR+PR) 58.3% (7/12, 95%信頼区間 28-85%)であった。
安全性：ヘモグロビン、絶対好中球数、血小板数のベースラインから試験終了時のグレード 3 又は 4 への変動については、最高用量 80 mg 群では、低用量群（2.5、8、25 mg /日）と比較して高頻度であった。また、本剤の 1 回の投与量が 30 mg を超える又は累積用量が週 90 mg を超えると、汎血球減少症の発現率が増加した。

２）海外第 II 相試験（NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology、T-PLL 国際研究グループ(TPLL-ISG)コンセンサスガイドライン及び BSH ガイドラインの引用文献）
Dearden CE, et al. Blood 2001;98:1721-1726 [3]
試験概要：T-PLL に対するアレムツズマブ単剤療法の第 2 相試験。この臨床試験の前半 15 名の結果が先に報告されているが(Pawson R, et al. J Clin Oncol 1997;15:2667-2672 [9])、その後登録された 24 名を追加した結果として報告されている。合計 39 名で、うち 37 名は既治療例であり、年齢中央値は 57 歳(34-78 歳)、男女比は 2.5:1 であった。
用法・用量：初回投与量はアレムツズマブ 3 mg 又は 10 mg の静注投与から開始し、その後、忍容性に応じてアレムツズマブ 30 mg は週 3 回、最良効果まで継続された。
有効性：全奏効割合 76%、完全奏効割合 60%、50%無病期間(disease-free interval) 7 ヶ月(4～45 ヶ月)、50%生存期間 10 ヶ月。完全奏効(CR)が得られた患者での 50%生存期間は 16 ヶ月で、部分奏効(PR)(9 ヶ月)や無奏効(NR)(4 ヶ月)に止まった患者より長かった。この試験では 7 名でその後自家移植併用大量化学療法が行われ、うち 3 名は移植後 5, 7, 15 ヶ月後に CR を維持して生存している。4 名では同種造血幹細胞移植が行われ、うち 3 名が最長 24 ヶ月間 CR を維持して生存している。

安全性：有害事象として、グレード 1/2 の初回投与時反応(発熱、悪寒、悪心)が全例でみられたが、重篤なアレルギー反応は発現しなかった。他に蕁麻疹が 9 例(23%)にみられたが、多くは非重篤であった。主な副作用は遷延するリンパ球数減少(グレード 4)で、それに関連したクリプトコッカス髄膜炎 1 例、サイトメガロウイルス活性化 1 例、帯状疱疹 2 例、Pneumocystis 肺炎 2 例(1 例は未確定)、レジオネラ肺炎 1 例などの日和見感染症がみられたが、これらは全例治療により回復した。1 例が病原菌不明の肺炎で死亡した。5 例(13%)で一過性の血液毒性(グレード 3, 4)がみられた。うち 4 例は血小板減少症のみ、1 例は汎血球減少症で、全例が 14 日以内に正常化した。その他、骨髄無形成を伴う遷延性汎血球減少症が 2 例にみられ、そのうち 1 例が真菌性肺炎のため死亡した。

３）海外後方視研究（NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology 及び T-PLL 国際研究グループ(TPLL-ISG)コンセンサスガイドラインの引用文献）

Keating MJ, et al. J Clin Oncol 2002;20:205-213. [4)]

試験概要：既治療の T-PLL に対して 1992～1999 年に世界中の 57 施設でコンパッショネートユースプログラムを通じてアレムツズマブが投与された 76 名の患者の後方視研究である。患者年齢中央値は 60 歳(35-84 歳)、脾臓、肝臓、リンパ節、皮膚浸潤はそれぞれ 64%、40%、54%、18%にみられた。

用法・用量：アレムツズマブは 3 mg、10 mg、30 mg と 3 日連続で増量して投与され、以後 30 mg が週 3 回、2 時間かけて静注投与された。これを 4～12 週継続した。

有効性：全奏効割合は 51% (95%信頼区間 40-63%)、完全奏効割合は 39.5% (95%信頼区間 28-51%)、50%完全奏効期間 8.7 ヶ月(0.13+ ～44.4)であった。50%無増悪期間(time to progression)4.5 ヶ月(0.1～45.4)で、前治療として行われた化学療法での 50%無増悪期間(2.3 ヶ月、0.2～28.1 ヶ月)よりも長かった。50%全生存期間は 7.5 ヶ月(完全奏効例では 14.8 ヶ月)。投与回数中央値は 18 回(3～48 回)、投与期間中央値は 39.5 日(2～161 日)。

安全性：有害事象は急性輸注反応が最多で、その内訳は発熱 62%、悪寒 54%、皮疹 21%、低血圧 17%、悪心・嘔吐・下痢 14%であった。治療期間中の感染症は 10 例(13%)、15 件みられ、うち 3 例が治療中止にいたった。8 例に治療関連と思われる遅発性感染症がみられた。重篤な血小板減少症かつ/又は好中球減少症が 6 例(8%)にみられ、うち 4 例が治療中止にいたった。NCI-CTC グレード 3 又は 4 の非血液毒性として、悪寒（4 例 5.3%）、皮疹（3 例、3.9%）、心血管系事象（3 例、3.9%）、肺関連事象（グレード 3、2 例）、及び低血圧、頻脈、下痢、感染症、頭痛、神経系事象、呼吸困難、気管支痙攣、腹痛、発熱、無力症（各 1 例、1.3%）がみられた。グレード 3 又は 4 の血液毒性として、血小板減少症（41 例、53.9%）、好中球減少症（20 例、26.3%）、貧血（16 例、21%）がみられた。治療関連死は 2 例にみられ、1 例は重度の好中球減少症に伴う敗血症及び肺炎により死亡し、もう 1 例は疾患進行中の肺炎により死亡した。アレムツズマブとの明らかな関連が認められない致死的事象が 6 例に発現し、その内訳は全身状態の悪化 1 例、疾患に関連するグレード 4 の血小板減少症による脳出血 2 例、血小板減少症を伴わない脳梗塞 1 例、腎不全 1 例、肺炎 1 例（後者

2 例は白血病細胞浸潤によるものと考えられた）であった。

４）海外第 II 相試験（NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology、T-PLL 国際研究グループ(TPLL-ISG)コンセンサスガイドライン及び BSH ガイドラインの引用文献）

Dearden CE, et al. Blood 2011;118:5799-5802 [5)]

試験概要：未治療例 T-PLL においてアレムツズマブ皮下注単剤療法を行う第 2 相試験(UKCLL05 試験)の報告である。皮下注が行われた 9 名と、同じ時期に同じ用量で静注で治療された未治療 T-PLL 患者 32 名で効果が比較された。年齢中央値は皮下注 61 歳、静注 62 歳、髄外病変(皮膚、肝臓、中枢神経、消化管等)有の割合はそれぞれ 44%、42%であった。

用法・用量：アレムツズマブ皮下注の用量は最初の 3 日間で段階的に増量され（3 mg、10 mg、30 mg）、その後 30 mg を週 3 回、最大効果が得られるまで最大 18 週間投与された。注射部位に重度の局所反応が発生した場合、疾患が進行した場合、又は 8 週目までに部分奏功のみが達成された場合は、静注投与への変更が許可された。

有効性：全奏効割合は皮下注 33% (3/9)、静注 91% (29/32)、完全奏効割合は皮下注 33% (3/9)、静注 81% (26/32)、12 ヶ月時点での無増悪生存割合は皮下注 67%、静注 67%、幹細胞移植割合は皮下注 55%、静注 50%、48 ヶ月時点での全生存割合は皮下注 33%、静注 37%であった。アレムツズマブは静注の方が奏効割合が高いことが示唆された。

安全性：アレムツズマブ皮下注は概ね忍容性良好であったが、2 例に皮膚反応、2 例に無症候性サイトメガロウイルス再活性化、2 例にグレード 4 血液学的毒性（疾患関連と考えられる）が発生した。後者 2 例は治療中に進行性疾患により死亡した。アレムツズマブ静注の安全性データの詳細は記載されていない。

５）海外第 II 相試験

Hopfinger G, et al. Cancer 2013;119:2258-2267. [10)]

試験概要：未治療・既治療の T-PLL 患者を対象とした第 II 相試験。FMC 療法（フルダラビン、ミトキサントロン、シクロホスファミド）を最大 4 サイクル行い、アレムツズマブを地固め療法として最大 12 週行う。全体で 25 名であり、うち 9 名は既治療、16 名は未治療であった。登録された患者のうち 21 名がアレムツズマブの投与を受けた。

用法・用量：アレムツズマブは 1 日目に 3 mg、忍容性が良好であれば 2 日目に 10 mg、3 日目に 30 mg に増量され、すべて 2 時間かけて点滴静注された。その後、すべての患者は地固め療法としてアレムツズマブ 30 mg を週 3 回、最大 12 週間投与された。

有効性：FMC 療法の奏効割合は 68%で、完全奏効は 6 名、アレムツズマブの投与により奏効割合は 92%（完全奏効 12 名、部分奏効 11 名）となった。アレムツズマブが投与された患者での 50%生存期間は 17.1 ヶ月、50%無増悪生存期間は 11.9 ヶ月。

安全性：有害事象としては血液毒性が多かったが、アレムツズマブの投与を受けた 21 例に限定すると、サイトメガロウイルスの再活性化が 13 例にみられ、うち 9 例は臨床的な感染症に至った。治療関連死は 2 例で、1 例は二次がん、もう 1 例は冠動脈疾患の既往がある

患者の心停止であった。

＜日本における臨床試験等＞
１）報告されていない。

（２）Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況

１）海外総説 (Dearden C. Blood 2012;120:538-551) [11)]
現在の T-PLL に対する最良治療はアレムツズマブで、可能であればその後に造血幹細胞移植を地固め療法として行うこと。歴史的対照群では生存期間中央値 7 ヶ月であったが、アレムツズマブと造血幹細胞移植を受けた患者では 4 年を超えていた。未治療 T-PLL に対する静注アレムツズマブによる奏効割合は 90%、CR 81%であり、皮下注では奏効割合 33%に減少した。アレムツズマブは、診断時の腫瘍量(白血球数、血清 LDH、脾腫)の程度にかかわらず奏効を示した。感染症の発現は慢性リンパ性白血病に対して使った場合よりも頻度が低かった(T-PLL 10%, CLL 40%)が、Pneumocystis jerovecci やヘルペスウイルスに対する注意が必要である。

２）海外総説 (Dearden C. Hematology (ASH Education Book) 2015;1:361-367) [12)]
T リンパ球の表面に CD52 が強く発現していることから、論文発表時から 20 年前にこの疾患に対して抗 CD52 モノクローナル抗体アレムツズマブを用いた研究が開始された。T-PLL に対する初回治療では 90%を超えるアレムツズマブでの奏効割合が得られ、奏効例での無増悪生存期間は 1 年を超えていたが、再発が必発で、全生存期間は 2 年未満であった。このため、可能な患者では造血幹細胞移植による地固め療法を考慮すべきである。アレムツズマブ単剤療法で効果が不十分な場合にはプリン誘導体（ペントスタチン、クラドリビン）の追加が有用な場合がある。

（３）教科書等への標準的治療としての記載状況

＜海外における教科書等＞
１）Wintrobe’s Clinical Hematology 14th edition (Greer JP, editors Greer JP, et al.) Phliladelphia, PA, Wolters Kluwer, 2019Mature T-cell and Natural Killer-Cell Leukemias in Non-Hodgkin Lymphoma in Adults (Reddy NM, Moyo TK, Greer JP) p.1908-1909 [13)]
最も効果の高い単剤療法は静注アレムツズマブ(Campath)で、既治療例・未治療例あわせて 74%～91%の奏効が得られている。T-PLL に対するアルキル化薬、アントラサイクリンの奏効割合は 30%～45%にすぎず、完全奏効例は稀であり、ペントスタチンやフルダラビンなどのプリン誘導体やベンダムスチンによる奏効割合の方がやや高い。未治療例、既治療例をあわせた臨床試験で化学療法（フルダラビン、シクロホスファミド、ミトキサントロン）に続けてアレムツズマブを行う治療により奏効割合 92%、無増悪生存期間 11.9 ヶ月、全生存期間 17.1 ヶ月という治療効果が得られた。

２）DeVita, Hellman, and Rosenberg's Cancer 12th edition (DeVita VT, et al.) Chronic lymphocytic leukemia p.1484 [14)]
B 細胞性前リンパ球性白血病の治療にはリンパ腫に準じたレジメンが使用されているが、あまり成功していない。ヌクレオシドアナログベースのレジメンが最も有効であると思われ、アレムツズマブは T-PLL において有望な活性を示している。CLL で承認された新規低分子阻害剤の PLL 治療への使用に関するデータはまだ少ない。

＜日本における教科書等＞
１）T 前リンパ球性白血病三輪血液病学(第 3 版)文光堂 2006 年 p.1489 (押味和夫・著) [15)]
「予後不良で平均生存期間は 7 ヶ月と短かったが、2'-deoxycoformycin (pentostatin)と抗 CD52 モノクローナル抗体の登場により予後は改善された。・・途中省略・・アルキル化剤には反応せず、CHOP での奏効率も 1/3 程度である。・・途中省略・・・わが国では市販されていないヒト化抗 CD52 抗体 Campath-1H が化学療法抵抗性の T-PLL に有効で、60%の完全寛解と 16%の部分寛解が得られている。寛解期間は長く平均 7 ヶ月であった。」

２）T 細胞性前リンパ球白血病 WHO 血液腫瘍分類改訂版 医薬ジャーナル社 2018 年 p302（鈴宮淳司・著）[16)]
「急激な経過をとり予後不良で 50%生存は 1－2 年である。・・途中省略・・。アルキル化薬やプリン誘導体などで治療されることが多いが、最も成績がよい治療法は、抗 CD52 モノクローナル抗体アレムツズマブ（保険適用外）である。

（４）学会又は組織等の診療ガイドラインへの記載状況

＜海外におけるガイドライン等＞
１）米国 NCCN ガイドライン
NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology. T-cell lymphomas. Version 1. 2025 [1)]において、臨床試験に参加することを推奨している。また、無症状で病気の進行が緩やかな患者に対しては、症状が現れるまで観察することが合理的であるとしている。
症状のある患者にはアレムツズマブを基盤とした全身療法が推奨され、単剤療法が第一選択の治療法として推奨されている。
FCM 療法の後にアレムツズマブ又は pentostatin とアレムツズマブの併用療法は、アレムツズマブ単剤療法に反応しない可能性のある選択された患者に対する代替治療オプションであるとしている。
初期治療後に完全寛解（CR）又は部分寛解（PR）を達成した患者には、同種造血幹細胞移植を推奨している。
再発疾患の管理に関するデータは限られているが、pentostatin 及び ruxolitinib が再発又は進行性疾患の治療オプションとして含まれている。
初回治療に反応した後の再発、初回治療に反応しない疾患、又は初回治療中の疾患進行に

対して、初回治療で使用されなかった代替レジメンによる治療も受け入れ可能なオプションとしている。
CD52 の発現喪失は、アレムツズマブに対する抵抗性のメカニズムとして説明されており、再発時に CD52 の発現が依然として陽性である場合、一次治療後の寛解期間を経た疾患再発に対して、pentostatin の有無にかかわらずアレムツズマブによる再治療も受け入れ可能なオプションとしている。
アレムツズマブに関連するウイルス再活性化及び日和見感染の潜在的リスクを考慮して、アレムツズマブベースの治療を受けているすべての患者に対して、CMV 再活性化の定期的なモニタリングと、ヘルペスウイルス及び Pneumocystis jerovecci 肺炎（PJP）に対する抗感染症予防の使用が推奨されるとしている。

２）英国 BSH ガイドライン [6)]
英国 British Society for Haematology のプロセスに従い、2021 年に T-PLL に対する治療ガイドラインが発表されている。
・無症候性 T-PLL に対しては“watch-and-wait”アプローチを行う (グレード 1C)
・T-PLL の初回治療としてアレムツズマブ静注を用いる (グレード 1B)
・アレムツズマブ治療中及び治療後に、herpeszoster 及び Pneumocystis jirovecii に対して有効な抗菌薬予防と定期的な CMVqPCR モニタリングを行う (グレード 1B)
・アレムツズマブ静注療法が非奏効の場合、奏効が遅い場合、結節性／節外性病変が大きい場合、プリン誘導体の追加を考慮する (グレード 2C)
・初回奏効期間が（治療終了から）6 ヶ月を超え、CD52 の表面発現が維持されている場合には、アレムツズマブの再治療を考慮する (グレード 2B)
・可能な患者では同種造血幹細胞移植を第 1 寛解期に考慮する (グレード 2B)
・適格患者において、同種造血幹細胞移植のリスクが高すぎると考えられる場合には、自家造血幹細胞移植を考慮する (グレード 2C)

３）T-PLL 国際研究グループ(TPLL-ISG)コンセンサスガイドライン [2)]
・寛解導入として静注のアレムツズマブを 10-12 週用い、最良奏効が得られたら可能な時点で造血幹細胞移植による地固め療法を行うことが初回治療として唯一推奨されている。

＜日本におけるガイドライン等＞
１）日本血液学会・編「造血器腫瘍診療ガイドライン(2018 年版)」において T-PLL についての記述なし。

６．本邦での開発状況（経緯）及び使用実態について

（１）要望内容に係る本邦での開発状況（経緯）等について

本邦において要望内容に係る開発は行われていない。

（２）要望内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態について

●臨床試験成績
該当する臨床試験の報告なし。

●使用実態調査
マブキャンパス使用成績調査＜再発又は難治性の慢性リンパ性白血病＞（販売開始日～2024 年 1 月 11 日〔再発又は難治性の慢性リンパ性白血病患者に対する観察終了日〕）[17) 18)]
診断名：安全性解析対象症例 179 例のうち診断名は再発又は難治性の慢性リンパ性白血病が 98 例（54.75%）、Ｔ細胞性前リンパ性白血病が 73 例（40.78%）、大顆粒性リンパ球増多症が 3 例（1.68%）、無顆粒球症、前駆Ｔリンパ芽球性リンパ腫・白血病、慢性リンパ性白血病急性転化、原発性免疫不全症候群及び肝脾Ｔ細胞リンパ腫が各 1 例（0.56%）であった。
用法・用量：記載なし（使用実態下）
安全性：安全性解析対象症例 179 例中、副作用は 138 例において発現し、副作用発現割合は 77.09%（138/179 例）であった。主な副作用は、発熱が 59 例（ 32.96%）、血小板数減少が 30 例（16.76%）、サイトメガロウイルス血症が 28 例（15.64%）、好中球数減少が 22 例（ 12.29%）、リンパ球数減少が 20 例（11.17%）、白血球数減少が 18 例（10.06%）、サイトメガロウイルス感染再燃が 16 例（8.94%）、サイトメガロウイルス感染及び発熱性好中球減少症が各 13 例（7.26%）、悪寒が 12 例（6.70%）、発疹が 11 例（6.15%）、蕁麻疹、サイトメガロウイルス検査陽性及び注入に伴う反応が各 10 例（5.59%）であった。 重篤な副作用は 100 例において発現し、発現割合は 55.87%（100/179 例）であった。主な重篤な副作用は、サイトメガロウイルス血症が 27 例（15.08%）、サイトメガロウイルス感染再燃が 15 例（8.38%）、サイトメガロウイルス感染及び好中球数減少が各 13 例（ 7.26%）、発熱性好中球減少症が 12 例（6.70%）、白血球数減少が 11 例（6.15%）、リンパ球数減少及び血小板数減少が各 10 例（5.59%）であった。
有効性：治療効果判定は、造血器腫瘍診療ガイドライン 2013 年版に従って、観察期間終了時点に担当医が、「完全奏効（complete response:CR）」「部分奏効（partial response:PR）」「安定（stable disease）」「進行（progression）」「評価不能」の 5 段階評価にて判定した。奏効率は「完全奏効（complete response:CR）」＋「部分奏効（partial response:PR）」にて評価した。有効性解析対象症例 95 例（有効性評価不能の 1 例、T-PLL を含む効能又は効果外疾患の 81 例及び用法及び用量外の 6 例の有効性解析除外症例の 84 例（重複有）を除く）での奏効率は 41.05%（39/95 例）であった。
Kaplan-Meier 推定法により評価した本剤投与開始から 24 週後の生存率は 69.96%（95%信頼区間：57.95～79.14）であった。
観察期間内に増悪（腫瘍死又は進行）した症例は 33 例（34.74%）であり、Kaplan-Meier 推

定法により評価した本剤投与開始から 24 週後の無増悪生存率は 55.54%（95%信頼区間：41.27～67.66）であった。

●本邦での観察研究 [19)]

研究概要：参加 5 施設で 2015 年 1 月から 2023 年 8 月までに治療を受けた日本人 T-PLL 患者 9 例を対象に、アレムツズマブの有効性及び安全性をレトロスペクティブに評価した。アレムツズマブ初回投与時の年齢中央値は 72 歳（範囲、39～78 歳）であった。2 例は治療歴がなく、7 例は中央値で 1 回（範囲 1～3 回）の前治療歴があった。6 例は直近の治療に対して難治性であった。3 例が 12 週間の治療を完了した。

用法・用量：アレムツズマブは日本で承認された用法・用量を参考に、1 日 1 回 3 mg の点滴静注から開始し、続いて 1 日 1 回 10 mg の点滴静注、その後 1 日 1 回 30 mg を週 3 回隔日に点滴静注された。計画された治療期間は 12 週間だった。

有効性：全奏効率は 78%、完全奏効（CR）率は 11%であった。部分奏効を得た 6 例のうち、2 例は臨床的 CR を得たが骨髄検査を受けなかった。また、1 例は臨床的 CR を得たが、奏効評価のための CT 及び骨髄検査を受けなかった。無増悪生存期間中央値は 8.1 ヶ月（95%信頼区間、0.9～18.6）であった。3 例は病勢進行後にアレムツズマブ単剤療法の再投与を受けた。

安全性：治療に関連した死亡例はなかった。最も多く報告されたグレード 3/4 の有害事象はリンパ球減少症（100%）、好中球減少症（56%）、白血球減少症（56%）、貧血（33%）だった。グレード 3 又は 4 の非血液学的有害事象は、注射部位反応（グレード 3、2 例）、サイトメガロウイルス再活性化（グレード 3、2 例）、肺水腫（グレード 3、1 例）であった。アレムツズマブの最終投与から 15 ヶ月後に Epstein–Barr virus 陽性のびまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫を発症した患者が 1 例いた。

●本邦での臨床使用実態についての個別症例報告

医中誌 Web において「アレムツズマブ or マブキャンパス or alemtuzumab or MabCampath」又は「アレムツズマブ or マブキャンパス or alemtuzumab or MabCampath and T-PLL or T-cell prolymphocytic Leukemia or 前リンパ球性白血病」で検索(2024 年 10 月 28 日)したところ、以下の 12 件の個別症例報告の抄録・文献が該当した。

山口 素子ら「T 細胞前リンパ球性白血病(T-PLL)に対するアレムツズマブ」日本リンパ網内系学会診療保険委員会による国内使用実態調査(ATP study)日本リンパ網内系学会会誌 2024;64:91 [20)]

概要：2015 年 1 月 15 日から 2023 年 8 月 31 日に 5 施設で T-PLL に対しアレムツズマブが投与された患者 9 名が対象で、後方視的に解析した。本調査において国内 T-PLL 患者に対するアレムツズマブの有効性及び安全性は海外既報と概ね同様であった。

用法・用量：添付文書の用法用量（通常、成人にはアレムツズマブ（遺伝子組換え）として

1 日 1 回 3 mg の連日点滴静注から開始し、1 日 1 回 10mg を連日点滴静注した後、1 日 1 回 30mg を週 3 回隔日に点滴静注する。ただし、投与開始から 12 週間までの投与とする。なお、患者の状態により適宜減量する。）
有効性：T-PLL 効果判定基準に基づく総合効果は CR 1 例、PR 6 例、PD 2 例であった。奏功割合は 78%、CR 割合 11%、PFS 中央値 8.1 か月であった。
安全性：治療関連死亡はなく、グレード 3 以上の非血液毒性は IR G3 2 例、感染症（CMV）G3 2 例、肺水腫 G3 1 例であった。

末澤 優ら「アレムツズマブが著効した希少疾患 T-PLL の 1 例」高松赤十字病院紀要 2024;10:22-25 [21)]
概要：80 歳男性の T-PLL 患者。アレムツズマブ単剤で加療を行い、途中 DIC などの有害事象を合併したが、治療は著効している。
用法・用量：適正使用ガイドに準拠し、アレムツズマブ 3 mg を連日投与し、安全性が確認できれば 10 mg を連日投与とし、最終的には 30 mg の隔日投与を行い、合計 12 週間の投与を行う方針とした。

田中 茜ら「T 細胞性前リンパ球性白血病(T-PLL)に対しアレムツズマブが奏功した 1 例」千葉医学雑誌 2022;98(4):103 [22)]
概要：74 歳男性の T-PLL 患者。アレムツズマブ投与により血液学的完全寛解を得た。
用法・用量：記載なし
安全性：記載なし

塚田 明彦ら「アレムツズマブを投与した再発難治 CD52 陽性 T 細胞性前リンパ球性白血病(T-PLL)」臨床血液 2022;63(5):504-505 [23)]
概要：70 歳代男性 T-PLL 患者。アレムツズマブ投与により完全奏功を認めた。その後再発し、アレムツズマブを再投与したが不応となり CD52 が欠落していた。
用法・用量：記載なし
安全性：記載なし

森 祐斗ら「Alemtuzumab で治療を行った T 細胞性前リンパ球性白血病の 2 例」臨床血液 2021;62(12):1701-1702 [24)]
概要：70 歳代女性 T-PLL 患者 2 名。1 名は、アレムツズマブ投与によりサイトメガロウイルス活性化を繰り返し、遅延する G4 の好中球現象を認めたものの改善を認め、CR に到達した。もう 1 名は、アレムツズマブ投与によりリンパ球減少を認め、治療中である。

用法・用量：記載なし

河村 優磨ら「アレムツズマブが奏効し同種移植へと至った初回治療抵抗性 T 細胞前リンパ球性白血病の 1 例」臨床血液 2021;62(7):864 [25)]
概要：42 歳女性 T-PLL 患者。アレムツズマブ投与により完全寛解に至った。感染症などの重篤な有害事象は認められなかった。
用法・用量：記載なし

池田 翔平ら「アレムツズマブ併用化学療法で完全寛解を達成した超高齢 T-PLL(T 細胞性前リンパ球性白血病)の 1 例」臨床血液 2020;61(11):1630-1631 [26)]
概要：85 歳男性 T-PLL 患者。アレムツズマブ導入するも、効果に乏しく寝たきり状態となった。段階的に少量の抗がん剤を併用したところ、漸く治療奏功を認めた。アレムツズマブはガイドライン通り 12 週間投与。約 1 年間完全寛解を維持した。
用法・用量：記載なし
安全性：記載なし

植木 大介ら「Alemtuzumab が奏効した T-Cell Prolymphocytic Leukemia 症例」癌と化学療法 2019;46(5):913-915 [27)]
概要：64 歳女性 T-PLL 患者。アレムツズマブ 3 mg より開始後 infusion reaction や Tumor Lysus Syndrome を起こすことなく、 day 3 に 10 mg、day 5 には維持量の 30 mg へ増量した。治療効果は開始早期から認め、胸水減少、腎障害の改善により HOT 離脱をもたらした。重篤な有害事象を認めず 12 コースの治療を完遂した。

服部友歌子ほか「A 41-year-old man with T-PLL treated with alemtuzumab provided by Campath Access Program (Campath Access Program 提供の alemtuzumab により治療した T-PLL の 41 歳男性症例)」第 75 回日本血液学会学術集会ポスター68(演題番号 PS-2-127) 臨床血液 2013;54(9):1407 [28)]
概要：41 歳男性 T-PLL 患者。Campath Access Program を通じてアレムツズマブによる治療を開始した。
用法・用量：記載なし
有効性：記載なし
安全性：記載なし

西原佑昇「難治性 CLL の新規治療薬アレムツズマブが奏功した T-PLL の一症例」医学検査 2017;66(2):163-167 [29)]

概要：80 歳代女性 T-PLL 患者。アレムツズマブ投与後 Day 3 で WBC は正常域に達し，病状は劇的に改善した。アレムツズマブ投与ガイドラインに沿って最大 12 週間投与され、終了 2 ヶ月目時点で状態は安定した。
用法・用量：記載なし
安全性：記載なし

小野田浩ら「T-cell prolymphocytic leukemia(T-PLL)に対する alemtuzumab の使用経験」(学会抄録) 日本リンパ網内系学会会誌 2012;52:141 [30)]
概要：69 歳男性 T-PLL 患者。用法は海外での CLL に対するアレムツズマブ単剤治療に準じ、漸増期に 3 mg、10 mg、30 mg を連日点滴静注で投与し、維持期には 30 mg 週 3 回、計 12 週を予定した。漸増期に infusion reaction（G2）を生じたが以後は問題なく投与可能で、投与 2 週目には末梢血のリンパ球は著減し皮疹も軽快、投与 8 週目には輸血依存を脱した。ST 合剤、aciclovir、抗真菌剤の予防投与をしていたが、投与 10 週目に CMV 抗原血症と肺アスペルギローマを合併し治療を終了した。感染合併症はコントロール可能で、骨髄、末梢血の腫瘍細胞は消失し，以後半年間再発はなかった。

石見公瑠美ら「Alemtuzumab 療法が奏効した治療抵抗性 T-PLL1 例」(第 3 回日本血液学会関東甲信越地方会抄録) 臨床血液 2015;56(11):2363 [31)]
概要：65 歳男性 T-PLL 患者。初回治療として多剤併用化学療法（fludarabine、mitoxantron、cyclophosfamide）を開始した。3 コースの治療の後に治療抵抗性となり、アレムツズマブによる治療を開始した。重篤な感染症の併発なく計 12 週の投与を完遂し，良好な造血能の回復を認めた。
用法・用量：記載なし

７．公知申請の妥当性について

（１）要望内容に係る外国人におけるエビデンス及び日本人における有効性の総合評価について

「５．要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について（１）無作為化比較試験、薬物動態試験等の公表論文としての報告状況」の項に記載のとおり、海外における臨床試験等では、総じて T-PLL に対するアレムツズマブの有効性が示されている。また、海外診療ガイドラインにおいて T-PLL に対する初回治療での使用が推奨されており、欧米等において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられる。
日本人における臨床試験等の報告はないが、本邦での臨床使用実態についての個別症例報告においては、T-PLL に対する本剤の奏功症例が報告されており（「６．本邦での開発状況

（経緯）及び使用実態について（２）要望内容に係る本邦での臨床試験成績及び臨床使用実態について」の項参照)、国内外の医療環境の違い等を踏まえても日本人における本剤の有効性は期待できると考えられる。

（２）要望内容に係る外国人におけるエビデンス及び日本人における安全性の総合評価について

既報の論文における有害事象の発現状況は「５．要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について（１）無作為化比較試験、薬物動態試験等の公表論文としての報告状況」の項に記載のとおりであり、T-PLL におけるアレムツズマブの安全性プロファイルは、本邦で承認済みの適応症のものと明らかな相違はみられなかった。
本邦においては、本剤は「再発又は難治性の慢性リンパ性白血病」及び「同種造血幹細胞移植の前治療」の適応で承認されており、実臨床下における日本人に対する安全性情報は集積されている。「再発又は難治性の慢性リンパ性白血病」に係る効能又は効果の承認後に実施された使用成績調査において、有害事象の発現傾向は臨床試験で報告されたものと明らかな相違はなく、長期観察によっても新たな安全性上の懸念は認められていない。T-PLL に対するアレムツズマブの臨床試験の多くは、本邦で承認されている「再発又は難治性の慢性リンパ性白血病」に対する用法及び用量で行われたものであり、日本人 T-PLL 患者における本剤の安全性は、先行して承認されている疾患に対する安全性と明らかな相違はないと考えられる。

（３）要望内容に係る公知申請の妥当性について

上記（１）及び（２）での有効性及び安全性の総合評価、欧米でのガイドラインの状況及び本邦での本剤の投与経験等から、本要望に関して公知申請を行うことは妥当と考える。

８．効能・効果及び用法・用量等の記載の妥当性について

（１）効能・効果について

T-PLL は、急速に進行する造血器腫瘍で、他の抗腫瘍薬の単剤療法や多剤併用療法が一般的に無効であるが、本剤による寛解導入療法の有効性が高く、海外のガイドラインで未治療 T-PLL に対する第一選択の治療薬とされている。本剤による寛解導入療法が奏効した患者では同種造血幹細胞移植を地固め療法として行うことが推奨されている。同種造血幹細胞移植後の再発を含め、再発を来した患者に対する二次治療としても本剤が選択肢となりうる。T-PLL と CLL は、いずれも成熟リンパ球由来の白血病で細胞形態的に共通点があるが、前者が T 細胞由来、後者は B 細胞由来であり、別疾患である。以上から、未治療、再発・難治性を問わず本剤の効能又は効果に「T 細胞性前リンパ球性白血病」を追加することは妥当と考える。

【効能・効果】（下線部追記）
○再発又は難治性の慢性リンパ性白血病
○同種造血幹細胞移植の前治療
○T 細胞性前リンパ球性白血病

（２）用法・用量について

T-PLL に対する用法及び用量は、本邦において「再発又は難治性の慢性リンパ性白血病」に対して承認されている用法及び用量と同一とすることが適切と考える。T-PLL に対する本剤の臨床試験の多くは国内で再発・難治性の慢性リンパ性白血病に対して承認されている用法・用量で行われたものであり、先行して承認されている疾患に対する用法・用量と同一であることは日本人での安全性が実臨床でも確かめられているため、妥当と考えられる。投与期間については、海外後方視研究[3)]で 12 週までの投与が行われており、同様の投与期間が T-PLL 国際研究グループ（TPLL-ISG）コンセンサスガイドライン[16)]で推奨されている。一方、12 週を超えての維持療法の有用性を示す知見はない。このため、国内で再発・難治性の慢性リンパ性白血病に対して承認されている用法・用量と同様、投与開始から 12 週間までの投与とする投与期間は妥当と考える。
また、「７．公知申請の妥当性について（２）要望内容に係る外国人におけるエビデンス及び日本人における安全性の総合評価について」での安全性の総合評価及び T-PLL に対する用法及び用量が、国内で再発又は難治性の慢性リンパ性白血病に対して承認されている用法及び用量と同一とすることを踏まえると、T-PLL に対する用法及び用量に関連する注意についても、本邦において「再発又は難治性の慢性リンパ性白血病」に対して承認されている用法及び用量に関連する注意と同様の注意喚起が適切と考える。

【用法及び用量】（下線部追記）（今回の要望に関連する部分のみ抜粋）
〈再発又は難治性の慢性リンパ性白血病〉
〈T 細胞性前リンパ球性白血病〉
通常、成人にはアレムツズマブ（遺伝子組換え）として 1 日 1 回 3 mg の連日点滴静注から開始し、1 日 1 回 10 mg を連日点滴静注した後、1 日 1 回 30 mg を週 3 回隔日に点滴静注する。ただし、投与開始から 12 週間までの投与とする。なお、患者の状態により適宜減量する。

【用法及び用量に関連する注意】（下線部追記）（今回の要望に関連する部分のみ抜粋）
〈効能共通〉
7.1 infusion reaction を軽減するため、本剤の投与前に抗ヒスタミン剤及び解熱鎮痛剤を投与すること。さらに、本剤投与前に副腎皮質ステロイド剤を投与すると infusion reaction が軽減されることがある。［1.2、11.1.2 参照］

7.2 本剤投与中に Grade 1 注) 又は Grade 2 注) の infusion reaction が認められた場合には、直ちに投与を中断し、副腎皮質ステロイド剤の投与を行い、回復した場合、投与を再開することができる。

〈再発又は難治性の慢性リンパ性白血病〉

〈T 細胞性前リンパ球性白血病〉

7.3 本剤は、いずれの用量も 1 日量を 2 時間以上かけて点滴静注すること。

7.4 1 日 1 回 3 mg 及び 1 日 1 回 10 mg の連日点滴静注において、Grade 3 注) 以上の infusion reaction が認められない場合、1 日 1 回 3 mg では 1 日 1 回 10 mg の連日点滴静注に、1 日 1 回 10 mg では 1 日 1 回 30 mg の週 3 回隔日点滴静注に、それぞれ増量することができる。

7.5 他の抗悪性腫瘍剤との併用について、有効性及び安全性は確立していない。

7.6 本剤の投与中に好中球数減少及び血小板数減少が認められた場合、下表を参考に本剤の用量を調節すること。なお、ベースライン時の好中球絶対数が 500/μL 以下の患者について、有効性及び安全性は確立していない。［11.1.1 参照］

休薬、中止又は再開基準

ベースラインの好中球絶対数が 500/μL 超で治療を開始した患者において、好中球絶対数が 250/μL 未満となった場合、又はベースラインの血小板数が 25,000/μL 超で治療を開始した患者において、血小板数が 25,000/μL 以下となった場合	
初回発現時	休薬すること。好中球絶対数 500/μL 以上及び血小板数 50,000/μL 以上に回復した場合、休薬時の用量で投与を再開できる。ただし、7 日以上休薬した場合、再開時の開始用量は 1 日 1 回 3 mg とすること。
2 回目発現時	休薬すること。好中球絶対数 500/μL 以上及び血小板数 50,000/μL 以上に回復した場合、本剤 1 日 1 回 10 mg 又は休薬時の用量のいずれか低い方の用量で投与を再開できる。ただし、7 日以上休薬した場合、再開時の開始用量は 1 日 1 回 3 mg とすること。
3 回目発現時	本剤の投与を中止すること。
ベースラインの血小板数が 25,000/μL 以下で治療を開始した患者において、ベースラインの数値から 50%以上減少した場合	
初回発現時	休薬すること。好中球絶対数及び血小板数がベースライン値に回復した場合、休薬時の用量で投与を再開できる。ただし、7 日以上休薬した場合、再開時の開始用量は 1 日 1 回 3 mg とすること。
2 回目発現時	休薬すること。好中球絶対数及び血小板数がベースライン値に回復した場合、本剤 1 日 1 回 10 mg 又は休薬時の用量のいずれか低い方の用量で投与を再開できる。ただし、7 日以上休薬した場合、再開時の開始用量は 1 日 1

	回 3 mg とすること。
3 回目発現時	本剤の投与を中止すること。

（３）上記（１）及び（２）以外の添付文書の記載内容について

１）国内外の添付文書の記載内容（注意喚起等）の異同について

なし

２）上記１）以外で本邦の添付文書上で改訂が必要と考えられる箇所の有無について

なし

９．要望内容に係る更なる使用実態調査等の必要性について

（１）要望内容について現時点で国内外のエビデンスまたは臨床使用実態が不足している点の有無について

なし

（２）上記（１）で臨床使用実態が不足している場合は、必要とされる使用実態調査等の内容について

なし

（３）その他、製造販売後における留意点について

なし

１０．備考

なし

１１．参考文献一覧

1) T-Cell Lymphomas NCCN Gulidelines Version 4. 2024.
2) Staber PB, Herling M, Bellido M, et al. Consensus criteria for diagnosis, staging, and treatment response assessment of T-cell prolymphocytic leukemia (T-PLL). Blood 2019.
3) Dearden CE, Matutes E, Cazin B, et al. High remission rate in T-cell prolymphocytic leukemia with CAMPATH -1H. Blood 2001;98:1721-1726.

4) Keating MJ, Cazin B, Coutre S, et al. Campath -1H treatment of T-cell prolymphocytic leukemia in patients for whom at least one prior chemotherapy regimen has failed. J Clin Oncol 2002;20:205-213.
5) Dearden CE, Khot A, Else M, et al. Alemtuzumab therapy in T-cell prolymphocytic leukemia:comparing efficacy in a series treated intravenously and a study piloting the subcutaneous route. Blood 2011;118:5799-5802.
6) P. Fox C, J. Ahearne M, Pettengell R, et al. Guidelines for the management of mature T- and natural killer-cell lymphomas (excluding cutaneous T-cell lymphoma). Br J Haematol 2022;196:507-572.
7) サノフィ株式会社. マブキャンパス点滴静注 30mg CTD 第二部-臨床概要. In http://www.pmda.go.jp/drugs/2014/P201400134/780069000_22600AMX01312000_K100_1.pdf.
8) Barge RMY, Dyer MJS, Matutes E, X X. Successful remission -induction of T-cell prolymphocytic leukemia (T-PLL) with humanized MoAb CAMPATH 1H (CP-1H). Blood (ASH Annual Meeting Abstracts) 1993;82:139a.
9) Pawson R, Dyer MJ, Barge R, et al. Treatment of T-cell prolymphocytic leukemia with human CD52 antibody. J Clin Oncol 1997;15:2667-2672.
10) Hopfinger G, Busch R, Pflug N, et al. Sequential chemoimmunotherapy of fludarabine, mitoxantrone, and cyclophosphamide induction followed by alemtuzumab consolidation is effective in T-cell prolymphocytic leukemia. Cancer 2013;119:2258-2267.
11) Dearden C. How I treat prolymphocytic leukemia. Blood 2012;120:538-551.
12) Dearden C. Management of prolymphocytic leukemia. Hematology Am Soc Hematol Educ Program 2015;2015:361-367.
13) Reddy NM, Moyo TK, Greer JP. Mature T-cell and Natural Killer-Cell Leukemias in Non-Hodgkin Lymphoma in Adults. In Greer JP (ed) Wintrobe’s Clinical Hematology 14th edition. Phliladelphia, PA: Wolters Kluwer 2019;1908-1909.
14) DeVita VT, Rosenberg SA, et al. Chronic Lymphocytic Leukemia. DeVita, Hellman, and Rosenberg's Cancer 12th edition. Principles & Practice of Oncology 2022;1484
15) 押味和夫. T 前リンパ球性白血病. In 内山卓, 浅野茂隆, 池田康夫 (eds): 三輪血液病学(第 3 版). 文光堂 2006;1489.
16) 鈴宮淳司. T 細胞性前リンパ球白血病. In 中村栄男, 飯田真介, 大島孝一, et al. (eds): WHO 血液腫瘍分類. 医薬ジャーナル社 2018;302.
17) サノフィ株式会社. マブキャンパス使用成績調査＜再発又は難治性の慢性リンパ性白血病＞(販売開始日～2024 年 1 月 11 日〔再発又は難治性の慢性リンパ性白血病患者に対する観察終了日〕).
18) Yukie Sasakura, et al. Real-world safety and effectiveness of alemtuzumab for relapsed or refractory chronic lymphocytic leukaemia: results from postmarketing surveillance in Japan.

Japanese Journal of Clinical Oncology, 2025, 1-7
19) Yamaguchi M, et al. Alemtuzumab monotherapy for T-cell prolymphocytic leukemia: an observational study in Japan. J Clin Exp Hematop 2024;64(3):216-222.
20) 山口 素子, et al. T 細胞前リンパ球性白血病(T-PLL)に対するアレムツズマブ. 日本リンパ網内系学会会誌 2024;64:91.
21) 末澤 優, et al. アレムツズマブが著効した希少疾患 T-PLL の 1 例. 高松赤十字病院紀要 2024;10:22-25.
22) 田中 茜, et al. T 細胞性前リンパ球性白血病(T-PLL)に対しアレムツズマブが奏功した 1 例. 千葉医学雑誌 2022;98(4):103.
23) 塚田 明彦, et al. アレムツズマブを投与した再発難治 CD52 陽性 T 細胞性前リンパ球性白血病(T-PLL). 臨床血液 2022;63(5):504-505.
24) 森 祐斗, et al. Alemtuzumab で治療を行った T 細胞性前リンパ球性白血病の 2 例. 臨床血液 2021;62(12):1701-1702.
25) 河村 優磨, et al. アレムツズマブが奏効し同種移植へと至った初回治療抵抗性 T 細胞前リンパ球性白血病の 1 例. 臨床血液 2021;62(7):864.
26) 池田 翔平, et al. アレムツズマブ併用化学療法で完全寛解を達成した超高齢 T-PLL(T 細胞性前リンパ球性白血病)の 1 例. 臨床血液 2020;61(11):1630-1631.
27) 植木 大介, et al. Alemtuzumab が奏効した T-Cell Prolymphocytic Leukemia 症例. 癌と化学療法 2019;46(5):913-915.
28) 服部友歌子, 山崎悦子, 宮崎拓也. A 41-year-old man with T-PLL treated with alemtuzumab provided by Campath Access Program (Campath Access Program 提供の alemtuzumab により治療した T-PLL の 41 歳男性症例. 臨床血液 2013;54(9):1407
29) 西原佑昇. 難治性 CLL の新規治療薬アレムツズマブが奏功した T-PLL の一症例. 医学検査 2017;66(2):163-167.
30) 小野田浩, 村上五月, 稲垣裕一郎, 加藤春美. T-cell prolymphocytic leukemia(T-PLL)に対する alemtuzumab の使用経験(学会抄録). 日本リンパ網内系学会会誌 2012;52:141.
31) 石見公瑠美, 神山祐太郎, 島田貴, et al. Alemtuzumab 療法が奏効した治療抵抗性 T-PLL の 1 例. 臨床血液 2015;56(11):2363

別添

第 60 回　医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議　資料 3-4　抜粋

<table>
<tr><td>要望番号</td><td>Ⅳ-83</td><td>要 望 者 名</td><td colspan="2">日本リンパ網内系学会</td></tr>
<tr><td colspan="2" rowspan="2">要望された医薬品</td><td>一　般　名</td><td colspan="2">アレムツズマブ（遺伝子組換え）</td></tr>
<tr><td>会　社　名</td><td colspan="2">サノフィ株式会社</td></tr>
<tr><td colspan="2" rowspan="2">要 望 内 容</td><td>効能・効果</td><td colspan="2">T 細胞性前リンパ球性白血病</td></tr>
<tr><td>用法・用量</td><td colspan="2">アレムツズマブ（遺伝子組換え）として 1 日 1 回 3 mg の連日点滴静注から開始し、1 日 1 回 10 mg を連日点滴静注した後、1 日 1 回 30 mg を週 3 回隔日に点滴静注する。ただし、投与開始から 12 週間までの投与とする。</td></tr>
<tr><td colspan="2">「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する WG の評価</td><td colspan="3">(1) 適応疾病の重篤性についての該当性　ア
〔特記事項〕
T 細胞性前リンパ球性白血病は致死的な疾患であり、適応疾病の重篤性は「ア」に該当すると判断した。

(2) 医療上の有用性についての該当性　ウ
〔特記事項〕
欧米等 6 カ国では承認されていないものの、海外診療ガイドラインにおいて T 細胞性前リンパ球性白血病に対する初回治療での使用が推奨されており、欧米等において標準的治療の一つに位置付けられていると考えられ、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる。したがって、「ウ」に該当すると判断した。</td></tr>
<tr><td colspan="2">備　　考</td><td colspan="3"></td></tr>
</table>

企業から提出された開発工程表について

開発工程表の提出状況について

○　現在開発を実施しているすべての開発要請先の企業より、2025 年 8 月 29 日時点の状況を踏まえた開発工程表が提出された（第Ⅰ回要望分開発要請 183 件※1、第Ⅱ回要望分開発要請 94 件、第Ⅲ回要望分開発要請 48 件及び第Ⅳ回要望分開発要請 111 件）。

※1　本検討会議以前のスキームにおいて開発が必要と判断され、第 34 回検討会議において、本検討会議のスキームに則って開発要請を行うこととしたペグアスパラガーゼを含む。

○　提出された開発工程表の現状については、資料 4－3「企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅰ回要望)」、資料 4－4「企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅱ回要望)」、資料 4－5「企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅲ回要望)」及び資料 4－6「企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅳ回要望)」を参照のこと。

開発工程表の評価基準について

○　開発要請を受けた企業が適切な開発計画を立てているか又は開発計画に従って適切に開発を行っているか評価を行う。

○　承認済みの医薬品については、その旨報告を行い、以降の評価を行わない。

○　「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」の条件として、開発要請を受けた品目について「半年以内の公知申請」または「一年以内の治験の着手」を求めていることから、以下の基準に基づいて、各開発計画又は実際の開発の状況について評価を行う。

開発工程表の評価基準等

（1）第Ⅰ回要望分開発要請品目（開発要請時：2010 年 5 月、2010 年 12 月、2011 年 5 月、2018 年 3 月）

①.　開発要請時に既に承認申請済みのもの及び治験計画届提出済みのものについては、企業が開発要請を受けた未承認薬・適応外薬の開発を適切に行ったものと評価する。ただし、治験計画届提出済みのものについては、開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。

②.　開発要請から半年以内に WG の結論により公知申請が可能とされたものについては、開発を適切に行ったものと評価する。

③.　公知申請予定のもので、使用実態調査が必要とされたもの等、特段の事情がある場合は、その事情、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。なお、公知申請の該当性について WG の結論が出ていないものについては、今回は評価を行わない。

④.　開発要請から 1 年以内に治験計画届を提出したものについては、開発を適切に行ったものと評価し、さらに開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。

⑤.　公知申請には該当しないが、治験を実施せず、既存データを用いて承認申請をする場合は、④に準じ、開発要請から 1 年以内に承認申請したものについて、開発を適切に行ったものと評価する。

⑥.　その他については、開発計画ごとの個別の事情や、行政側持ち時間等を考慮して個別

に評価を行う。

（２）第Ⅱ回要望分開発要請品目（開発要請時：2012 年 4 月、2013 年 1 月、2013 年 7 月、2014 年 11 月、2017 年 3 月、2022 年 1 月）

①.　開発要請時に既に承認申請済みのもの及び治験計画届提出済みのものについては、企業が開発要請を受けた未承認薬・適応外薬の開発を適切に行ったものと評価する。ただし、治験計画届提出済みのものについては、開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。

②.　開発要請から半年以内に WG の結論により公知申請が可能とされたものについては、開発を適切に行ったものと評価する。

③.　公知申請予定のもので、使用実態調査が必要とされたもの等、特段の事情がある場合は、その事情、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。なお、公知申請の該当性について WG の結論が出ていないものについては、今回は評価を行わない。

④.　開発要請から 1 年以内に治験計画届を提出したもの又は治験計画届提出予定としたものについては、開発を適切に行ったものと評価し、さらに治験計画届提出以降は開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。

⑤.　公知申請には該当しないが、治験を実施せず、既存データを用いて承認申請をする場合は、④に準じ、開発要請から 1 年以内に承認申請したもの又は申請予定としたものについて、開発を適切に行ったものと評価する。

⑥.　その他については、開発計画ごとの個別の事情や、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。

（３）第Ⅲ回要望分開発要請品目（開発要請時：2014 年 8 月、2014 年 11 月、2015 年 5 月、2015 年 8 月、2015 年 11 月、2016 年 2 月、2016 年 6 月、2016 年 8 月、2016 年 11 月、2017 年 3 月、2017 年 8 月、2018 年 3 月、2018 年 8 月、2022 年 1 月、2022 年 9 月、2023 年 9 月、2024 年 10 月）

①.　開発要請時に既に承認申請済みのもの及び治験計画届提出済みのものについては、企業が開発要請を受けた未承認薬・適応外薬の開発を適切に行ったものと評価する。ただし、治験計画届提出済みのものについては、開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。

②.　開発要請から半年以内に WG の結論により公知申請が可能とされたもの及び公知申請予定としたものについては、開発を適切に行ったものと評価する。

③.　公知申請予定のもので、使用実態調査が必要とされたもの等、特段の事情がある場合は、その事情、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。なお、公知申請の該当性について WG の結論が出ていないものについては、今回は評価を行わない。

④.　開発要請から 1 年以内に治験計画届を提出したもの又は治験計画届提出予定としたものについては、開発を適切に行ったものと評価し、さらに治験計画届提出以降は開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。

⑤.　公知申請には該当しないが、治験を実施せず、既存データを用いて承認申請をする場合は、④に準じ、開発要請から 1 年以内に承認申請したもの又は申請予定としたものについて、開発を適切に行ったものと評価する。

⑥.　その他については、開発計画ごとの個別の事情や、行政側持ち時間等を考慮して個別

に評価を行う。

（４）第Ⅳ回要望分開発要請品目（開発要請時：2016 年 8 月、2017 年 6 月、2017 年 8 月、2018 年 1 月、2018 年 3 月、2018 年 8 月、2018 年 11 月、2019 年 2 月、2019 年 6 月、2019 年 9 月、2020 年 3 月、2020 年 6 月、2020 年 10 月、2021 年 1 月、2021 年 4 月、2021 年 7 月、2021 年 8 月、2021 年 9 月、2021 年 10 月、2022 年 1 月、2022 年 3 月、2022 年 6 月、2022 年 9 月、2023 年 1 月、2023 年 6 月、2023 年 9 月、2024 年 4 月、2024 年 7 月、2024 年 10、11 月、2025 年 2 月、2025 年 4 月、2025 年 5 月）

①.　開発要請時に既に承認申請済みのもの及び治験計画届提出済みのものについては、企業が開発要請を受けた未承認薬・適応外薬の開発を適切に行ったものと評価する。ただし、治験計画届提出済みのものについては、開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。

②.　開発要請から半年以内に WG の結論により公知申請が可能とされたものについては、開発を適切に行ったものと評価する。

③.　公知申請予定のもので、使用実態調査が必要とされたもの等、特段の事情がある場合は、その事情、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。なお、公知申請の該当性について WG の結論が出ていないものについては、今回は評価を行わない。

④.　開発要請から 1 年以内に治験計画届を提出したもの又は治験計画届提出予定としたものについては、開発を適切に行ったものと評価し、さらに治験計画届提出以降は開発計画に従って適切に開発を行っているか定期的に評価を行う。

⑤.　公知申請には該当しないが、治験を実施せず、既存データを用いて承認申請をする場合は、④に準じ、開発要請から 1 年以内に承認申請したもの又は申請予定としたものについて、開発を適切に行ったものと評価する。

⑥.　その他については、開発計画ごとの個別の事情や、行政側持ち時間等を考慮して個別に評価を行う。

資料４－２

企業から提出された開発工程表における進捗について

（2025 年 8 月 29 日時点）

資料４－３から４－６について、前回会議からの進捗は以下のとおり。

１．開発要請の件数

前回会議からの進捗なし。

２．開発工程表における進捗

前回会議からの進捗は以下のとおり。

⑴ 第Ⅰ回開発要請

前回資料からの変更なし。

⑵ 第Ⅱ回開発要請

前回資料からの変更なし。

⑶ 第Ⅲ回開発要請

承認申請済み品目が、２件増え、３件

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	進捗内容
Ⅲ-①-49	ノバルティスファーマ	バシリキシマブ（遺伝子組換え）	シムレクト静注用 20 mg	肝移植後の急性拒絶反応の抑制	その他→承認申請済み（2025 年６月）
Ⅲ-①-50	ノバルティスファーマ	バシリキシマブ（遺伝子組換え）	シムレクト小児用静注用 10 mg	肝移植後の急性拒絶反応の抑制	その他→承認申請済み（2025 年６月）

⑷　第Ⅳ回開発要請

承認申請済み品目が、４件増え、７件

公知申請予定品目が、３件増え、35 件

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	進捗内容
Ⅳ-59b	日本血液製剤機構	乾燥人フィブリノゲン	フィブリノゲンＨＴ静注用１ｇ「ＪＢ」	心臓血管外科手術における出血に伴う後天性低フィブリノゲン血症に対するフィブリノゲンの補充	公知申請予定→承認申請済み（2025 年６月）
Ⅳ-80	Swedish Orphan Biovitrum Japan	アナキンラ	キネレット皮下注 100 mg シリンジ（予定）	成人スチル病	治験届提出済み→承認申請済み（2025 年７月）
Ⅳ-81	Swedish Orphan Biovitrum Japan	アナキンラ	キネレット皮下注 100 mg シリンジ（予定）	全身型若年性特発性関節炎	治験届提出済み→承認申請済み（2025 年７月）
IV-168 IV-169	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注 100mg リツキサン点滴静注 500mg	広義の自己免疫性溶血性貧血（温式、冷式を含む）	公知申請予定→承認申請済み（2025 年８月）
IV-189	高田製薬	コルヒチン	コルヒチン錠 0.5mg「タカタ」	ベーチェット病	その他→公知申請予定
IV-197	アルフレッサファーマ	イリノテカン塩酸塩水和物	トポテシン点滴静注 40mg,100mg	再発・難治性神経芽腫	その他→公知申請予定
IV-203	バイエル薬品	モキシフロキサシン塩酸塩	アベロックス錠 400mg	適応菌種：モキシフロキサシン塩酸塩に感性の多剤耐性結核菌 適応症：多剤耐性肺結核	その他→公知申請予定

資料4－3

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅰ回要望)(2025年8月29日時点)

1. 企業から提出された開発工程表に基づく情報

(単位:件)

	第1回開発要請分※1 (2010年5月)	第2回開発要請分 (2010年12月)	第3回開発要請分 (2011年5月)	第4回開発要請分※2 (2018年3月)	計
承認済み	104	72	5	2	183
承認申請済み	0	0	0	0	0
治験計画届提出済み	0	0	0	0	0
公知申請予定	0	0	0	0	0
治験計画届提出予定	0	0	0	0	0
その他	0	0	0	0	0
合計	104	72	5	2	183

※1要望番号176(デキサメタゾン)については2010年10月に開発要請

※2本検討会議以前のスキームにおいて開発が必要と判断され、第34回検討会議において、本検討会議のスキームに則って開発要請を行うこととされたペグアスパラガーゼを含む。

開発要請取り下げ	3	3	0	0	6

2. 開発工程表の詳細な分類

a. 承認済みのもの、承認申請済みのもの、治験計画届提出済みのもの

（単位：件）

	第1回開発要請分（2010年5月）	第2回開発要請分（2010年12月）	第3回開発要請分（2011年5月）	第4回開発要請分（2018年3月）	計
承認済み	104	72	5	2	183
承認申請済み	0	0	0	0	0
治験計画届提出済み	0	0	0	0	0

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの

第1回開発要請分（2010年5月）	第2回開発要請分（2010年12月）	第3回開発要請分（2011年5月）	第4回開発要請分（2018年3月）	計
0	0	0	0	0

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの

（単位：件）

第1回開発要請分（2010年5月）	第2回開発要請分（2010年12月）	第3回開発要請分（2011年5月）	第4回開発要請分（2018年3月）	計
0	0	0	0	0

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの

第1回開発要請分（2010年5月）	第2回開発要請分（2010年12月）	第3回開発要請分（2011年5月）	第4回開発要請分（2018年3月）	計
0	0	0	0	0

e. 開発要請後半年以降に公知申請を予定するもの

第1回開発要請分（2010年5月）	第2回開発要請分（2010年12月）	第3回開発要請分（2011年5月）	第4回開発要請分（2018年3月）	計
0	0	0	0	0

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの

（単位：件）

第1回開発要請分（2010年5月）	第2回開発要請分（2010年12月）	第3回開発要請分（2011年5月）	第4回開発要請分（2018年3月）	計
0	0	0	0	0

g. その他

第1回開発要請分（2010年5月）	第2回開発要請分（2010年12月）	第3回開発要請分（2011年5月）	第4回開発要請分（2018年3月）	計
0	0	0	0	0

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの

第1回開発要請分（2010年5月）	第2回開発要請分（2010年12月）	第3回開発要請分（2011年5月）	第4回開発要請分（2018年3月）	計
3	3	0	0	6

3. 各医薬品の開発工程表の概要

a-0. 承認済みのもの（183件）

＜第１回開発要請分（104件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
350	セルジーン	レナリドミド	レブラミドカプセル	5番染色体長腕部欠失を伴う骨髄異形成症候群	2010年8月	
27	サノフィ	アミオダロン塩酸塩	アンカロン錠	生命に危険のある下記の再発性不整脈で他の抗不整脈薬が無効か、又は使用できない場合 心不全（低心機能）又は肥大型心筋症に伴う心房細動	2010年9月	
202	大塚製薬	トルバプタン	サムスカ錠	ループ利尿薬等の他の利尿薬で効果不十分な心不全における体液貯留	2010年10月	
269	ファイザー	プレガバリン	リリカカプセル	末梢性神経障害性疼痛	2010年10月	
190	サノフィ	ドセタキセル	タキソテール点滴静注用	頭頸部癌、乳癌、非小細胞肺癌、胃癌、卵巣癌、食道癌、子宮体癌の用法用量の1回最高用量を75mg/m^{2}へ増大	2010年11月	
15	日本新薬	アザシチジン	ビダーザ注射用	骨髄異形成症候群	2011年1月	
96	ヤンセンファーマ	ガランタミン臭化水素酸塩	レミニール錠	軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制	2011年1月	
319	第一三共	メマンチン塩酸塩	メマリー錠	中等度及び高度アルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制	2011年1月	
95	中外製薬	カペシタビン	ゼローダ錠	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	2011年2月	○
122	日本イーライリリー	ゲムシタビン塩酸塩	ジェムザール注射用	がん化学療法後に増悪した卵巣癌	2011年2月	○
137	塩野義製薬	シクロホスファミド経口剤・静注剤	エンドキサン錠、注射用エンドキサン	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性血管炎（顕微鏡的多発血管炎，ヴェゲナ肉芽腫症，結節性多発動脈炎，Churg-Strauss症候群，大動脈炎症候群等）	2011年2月	○

138	塩野義製薬	シクロホスファミド経口剤・静注剤	エンドキサン錠、注射用エンドキサン	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性エリテマトーデス	2011年2月	○
140	塩野義製薬	シクロホスファミド静注剤	注射用エンドキサン	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性血管炎（顕微鏡的多発血管炎，ヴェゲナ肉芽腫症，結節性多発動脈炎，Churg-Strauss症候群，大動脈炎症候群等）	2011年2月	○
212	日本化薬	ノギテカン塩酸塩	ハイカムチン注射用	がん化学療法後に増悪した卵巣癌	2011年2月	○
357	エーザイ	ワルファリンカリウム	ワーファリン錠	小児における維持投与量（mg／kg／日）の目安を以下に示す。 12ヵ月未満：0.16mg／kg／日 1歳以上15歳未満：0.04～0.10mg／kg／日 （下線部追加）	2011年2月	○
77 a	大塚製薬	レボカルニチン塩化物	エルカルチン錠	カルニチン欠乏症	2011年3月	○
255	日本化薬	ビンブラスチン硫酸塩	エクザール注射用	下記疾患の自覚的並びに他覚的症状の緩解 ランゲルハンス細胞組織球症	2011年3月	○
238	アボットジャパン	パンクレリパーゼ	リパクレオン顆粒、リパクレオンカプセル	膵外分泌機能不全における膵消化酵素の補充	2011年4月	
341	ノバルティス　ファーマ	リバスチグミン	イクセロンパッチ	軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症における認知症症状の進行抑制	2011年4月	
2	富士フイルムRIファーマ	3-ヨードベンジルグアニジン（123I）注射液	ミオMIBG-I　123注射液	腫瘍シンチグラフィによる下記疾患の診断 褐色細胞腫	2011年5月	○
16	グラクソ・スミスクライン	アザチオプリン	イムラン錠	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性エリテマトーデス	2011年5月	○
16	田辺三菱製薬	アザチオプリン	アザニン錠	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性エリテマトーデス	2011年5月	○
17	グラクソ・スミスクライン	アザチオプリン	イムラン錠	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性血管炎（顕微鏡的多発血管炎、ヴェゲナ肉芽腫症、結節性多発動脈炎、Churg-Strauss症候群、大動脈炎症候群等）	2011年5月	○
17	田辺三菱製薬	アザチオプリン	アザニン錠	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性血管炎（顕微鏡的多発血管炎、ヴェゲナ肉芽腫症、結節性多発動脈炎、Churg-Strauss症候群、大動脈炎症候群等）	2011年5月	○

60	科研製薬	エタンブトール塩酸塩	エブトール錠	〈適応菌種〉 本剤に感性のマイコバクテリウム属 〈適応症〉 マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス（MAC）症を含む非結核性抗酸菌症	2011年5月	○
60	サンド	エタンブトール塩酸塩	エサンブトール錠	〈適応菌種〉 本剤に感性のマイコバクテリウム属 〈適応症〉 マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス（MAC）症を含む非結核性抗酸菌症	2011年5月	○
244	田辺三菱製薬	ビソプロロールフマル酸塩	メインテート錠	次の状態で、アンジオテンシン変換酵素阻害薬又はアンジオテンシンII受容体拮抗薬、利尿薬、ジギタリス製剤等の基礎治療を受けている患者 虚血性心疾患又は拡張型心筋症に基づく慢性心不全	2011年5月	○
282	エーザイ	ベラパミル塩酸塩	ワソラン静注、ワソラン錠	頻脈性不整脈（発作性上室性頻拍、心房細動・粗動）の小児用法・用量の追加	2011年5月	○
304	ファイザー	メチルプレドニゾロンコハク酸エステルナトリウム	ソル・メドロール静注用	ネフローゼ症候群	2011年5月	○
342	サンド	リファンピシン	リファンピシンカプセル「サンド」	〈適応菌種〉 本剤に感性のマイコバクテリウム属 〈適応症〉 マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス（MAC）症を含む非結核性抗酸菌症	2011年5月	○
342	第一三共	リファンピシン	リファジンカプセル	〈適応菌種〉 本剤に感性のマイコバクテリウム属 〈適応症〉 マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス（MAC）症を含む非結核性抗酸菌症	2011年5月	○
343	武田薬品工業	リュープロレリン酢酸塩	リュープリン注射用	通常、4週に1回リュープロレリン酢酸塩として30μg/kgを皮下に投与する。<u>なお、症状に応じて180μg/kgまで増量できる。</u> （下線部追加）	2011年5月	○

363	日本血液製剤機構	乾燥抗D(Rho)人免疫グロブリン	抗D人免疫グロブリン筋注用1000倍「日本血液製剤機構」	D（Rho）陰性で以前にD（Rho）因子で感作を受けていない女性に対し，以下の場合に投与することにより，D（Rho）因子による感作を抑制する. ・流産後、人工妊娠中絶後、異所性妊娠後、妊娠中の検査・処置後（羊水穿刺，胎位外回転術等）又は腹部打撲後等のD（Rho）感作の可能性がある場合 ・妊娠28週前後	2011年5月	○
363	日本製薬	乾燥抗D(Rho)人免疫グロブリン	抗Dグロブリン筋注用1000倍「ニチヤク」	D（Rho）陰性で以前にD（Rho）因子で感作を受けていない女性に対し，以下の場合に投与することにより，D（Rho）因子による感作を抑制する. ・流産後、人工妊娠中絶後、異所性妊娠後、妊娠中の検査・処置後（羊水穿刺，胎位外回転術等）又は腹部打撲後等のD（Rho）感作の可能性がある場合 ・妊娠28週前後	2011年5月	○
69	ノボ ノルディスク ファーマ	エプタコグ　アルファ（活性型）（遺伝子組換え）	注射用ノボセブン ノボセブンHI静注用	血小板に対する同種抗体を保有し、血小板輸血不応状態が過去又は現在みられるグランツマン血小板無力症患者の出血傾向の抑制	2011年6月	○
231	協和発酵キリン	バルプロ酸ナトリウム	デパケン錠、デパケン R錠、デパケン細粒、デパケンシロップ	片頭痛発作の発症抑制	2011年6月	○
76	中外製薬	エルロチニブ塩酸塩	タルセバ錠	治癒切除不能な膵癌	2011年7月	
89	ファイザー	ガバペンチン	ガバペン錠	通常、成人及び13歳以上の小児にはガバペンチンとして初日1日量600 mg、2日目1日量1200 mgをそれぞれ3回に分割経口投与する。3日目以降は、維持量として1日量1200 mg～1800 mgを3回に分割経口投与する。なお、症状により適宜増減するが、1日最高投与量は2400 mgまでとする。通常、3～12歳の幼児及び小児にはガバペンチンとして初日1日量10 mg/kg、2日目1日量20 mg/kgをそれぞれ3回に分割経口投与する。3日目以降は維持量として、3～4歳の幼児には1日量40 mg/kg、5～12歳の幼児及び小児には1日量25～35 mg/kgを3回に分割経口投与する。症状により適宜増減するが、1日最高投与量は50 mg/kgまでとする。なお、いずれの時期における投与量について、成人及び13歳以上の小児での投与量を超えないこととする。 （下線部追加）	2011年7月	

286	ノーベルファーマ	ホスフェニトインナトリウム水和物	ホストイン静注	・てんかん重積状態 ・脳外科手術又は意識障害(頭部外傷後等)のてんかん発作の発現抑制 ・フェニトインの経口投与しているてんかん患者における一時的な代替療法	2011年7月	
291	MSD	ボリノスタット	ゾリンザカプセル	皮膚T細胞リンパ腫	2011年7月	
11	日本メジフィジックス	ペンテト酸カルシウム三ナトリウム	ジトリペンタートカル静注	超ウラン元素(プルトニウム、アメリシウム、キュリウム)による体内汚染の軽減	2011年7月	
13	日本メジフィジックス	ペンテト酸亜鉛三ナトリウム	アエントリペンタート静注	超ウラン元素(プルトニウム、アメリシウム、キュリウム)による体内汚染の軽減	2011年7月	
266	アストラゼネカ	フルベストラント	フェソロデックス筋注用	閉経後乳癌	2011年9月	
278	中外製薬	ベバシズマブ	アバスチン点滴静注用	手術不能又は再発乳癌	2011年9月	
87	ノバルティス　ファーマ	カナキヌマブ	イラリス皮下注用	以下のクリオピリン関連周期性症候群 ・家族性寒冷自己炎症症候群 ・マックル・ウェルズ症候群 ・新生児期発症多臓器系炎症性疾患	2011年9月	
264.2	ファイザー	フルコナゾール	ジフルカンカプセル、ジフルカン静注液	小児の用法・用量の追加 小児用懸濁剤の剤形追加	2011年11月	○
20	グラクソ・スミスクライン	アトバコン	サムチレール内用懸濁液	ニューモシスチス肺炎,ニューモシスチス肺炎の発生抑制	2012年1月	
55	第一三共	インドシアニングリーン	ジアグノグリーン注射用	脳神経外科手術時における脳血管の造影(赤外線照射時の蛍光測定による)	2012年2月	○
201	中外製薬	ドルナーゼ　アルファ	プルモザイル	嚢胞性線維症における肺機能の改善	2012年3月	
293　a	アクテリオンファーマシューティカルズジャパン	ミグルスタット	ブレーザカプセル	ニーマン・ピック病C型	2012年3月	
315	塩野義製薬	メトロニダゾール内服剤、経腟剤	フラジール内服錠 フラジール膣錠	〈適応菌種〉本剤に感性のガードネラ・バジナリス、バクテロイデス・フラジリス、 プレボテラ・ビビア、ペプトストレプトコッカス属、モビルンカス属 〈適応症〉 細菌性腟症	2012年3月	○

132	藤本製薬	サリドマイド	サレドカプセル	らい性結節性紅斑	2012年5月	
246	ジェンザイム・ジャパン	ヒトチロトロピンアルファ（遺伝子組換え）	タイロゲン筋注用	分化型甲状腺癌で甲状腺全摘又は準全摘術を施行された遠隔転移を認めない患者における残存甲状腺組織の放射性ヨウ素によるアブレーションの補助	2012年5月	
318	サンノーバ	メナテトレノン	ケイツー・シロップ	新生児・乳児ビタミンK欠乏性出血症の予防	2012年5月	○
33	ファイザー	アムロジピン ベシル酸塩	ノルバスク錠 ノルバスクOD錠	小児への投与 ・高血圧症 通常、6 歳以上の小児には、アムロジピンとして2.5 mgを1日1 回経口投与する。なお、年齢、体重、症状により適宜増減する。	2012年6月	○
33	大日本住友製薬	アムロジピン ベシル酸塩	アムロジン錠、アムロジンOD錠	小児の場合 ・高血圧症 通常、6歳以上の小児には、アムロジピンとして2.5mgを1日1回経口投与する。なお、年齢、体重、症状により適宜増減する。	2012年6月	○
64	MSD	マレイン酸エナラプリル	レニベース錠	高血圧症： 通常、成人に対しエナラプリルマレイン酸塩として5～10mgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。但し、腎性・腎血管性高血圧症又は悪性高血圧の患者では2.5mgから投与を開始することが望ましい。<u>通常、生後1ヵ月以上の小児には、エナラプリルマレイン酸塩として0.08mg／kgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。</u> （下線部追加）	2012年6月	○

331	アストラゼネカ	リシノプリル	ゼストリル錠	高血圧症 通常、成人にはリシノプリル（無水物）として10～20mgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。ただし、重症高血圧症又は腎障害を伴う高血圧症の患者では5mgから投与を開始することが望ましい。通常、6歳以上の小児には、リシノプリル（無水物）として、0.07mg/kgを1日1回経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。 （下線部追加）	2012年6月	○
331	塩野義製薬	リシノプリル	ロンゲス錠	高血圧症 通常，成人にはリシノプリル（無水物）として10～20mgを1日1回経口投与する。なお，年齢，症状により適宜増減する。ただし，重症高血圧症又は腎障害を伴う高血圧症の患者では5mgから投与を開始することが望ましい。通常，6歳以上の小児には，リシノプリル（無水物）として，0.07mg/kgを1日1回経口投与する。なお，年齢，症状により適宜増減する。 （下線部追加）	2012年6月	○
23	日本イーライリリー	アトモキセチン	ストラテラカプセル	注意欠陥／多動性障害（AD/HD） 18歳以上の患者 通常、18歳以上の患者には、アトモキセチンとして1日40mgより開始し、その後1日80mgまで増量した後、1日80～120mgで維持する。 ただし、1日80mgまでの増量は1週間以上、その後の増量は2週間以上の間隔をあけて行うこととし、いずれの投与量においても1日1回又は1日2回に分けて経口投与する。 なお、症状により適宜増減するが、1日量は120mgを超えないこと。 （下線部追加）	2012年8月	
230	ノバルティス　ファーマ	バルサルタン	ディオバン錠	高血圧症 通常、6 歳以上の小児には、バルサルタンとして、重35kg未満の場合、20mgを、体重35kg以上の場合、40mgを1 日1 回経口投与する。なお、年齢、体重、症状により適宜増減する。ただし、1 日最高用量は、体重35kg未満の場合、40mgとする。 （下線部追加）	2012年8月	○

313	塩野義製薬	メトロニダゾール内服剤	フラジール内服錠	2. 嫌気性菌感染症 ＜適応菌種＞ 本剤に感性のペプトストレプトコッカス属，バクテロイデス属，プレボテラ属，ポルフィロモナス属，フソバクテリウム属，クロストリジウム属，ユーバクテリウム属 ＜適応症＞ 深在性皮膚感染症 、外傷・熱傷及び手術創等の二次感染 、骨髄炎 、肺炎，肺膿瘍、骨盤内炎症性疾患 、腹膜炎，腹腔内膿瘍、肝膿瘍、脳膿瘍 3. 感染性腸炎 ＜適応菌種＞ 本剤に感性のクロストリジウム・ディフィシル ＜適応症＞ 感染性腸炎（偽膜性大腸炎を含む） 6. アメーバ赤痢 7. ランブル鞭毛虫感染症 （下線部追加）	2012年8月	○
104	ノーベルファーマ	カルムスチン脳内留置用製剤	ギリアデル	悪性神経膠腫	2012年9月	
156	Meiji Seikaファルマ	スチリペントール	ディアコミット	クロバザム及びバルプロ酸ナトリウムで十分な効果が認められないDravet症候群患者における間代発作又は強直間代発作に対するクロバザム及びバルプロ酸ナトリウムとの併用療法	2012年9月	
195	ノバルティス　ファーマ	トブラマイシン	トービイ吸入液	嚢胞性線維症における緑膿菌による呼吸器感染に伴う症状改善 吸入用製剤の剤形追加	2012年9月	
9	グラクソ・スミスクライン	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注	眼瞼痙攣、片側顔面痙攣、痙性斜頸、上肢痙縮、下肢痙縮、2歳以上の小児脳性麻痺患者における下肢痙縮に伴う尖足、重度の原発性腋窩多汗症 （下線部追加）	2012年11月	
77　b	大塚製薬	レボカルニチン	エルカルチン内用液	液剤の剤形追加	2012年12月	
77　c	大塚製薬	レボカルニチン	エルカルチン静注	静注用製剤の剤形追加	2012年12月	
180	フェリング・ファーマ	デスモプレシン酢酸塩経口剤	ミニリンメルトOD錠	経口剤の剤形追加	2012年12月	
348　a	ゼリア新薬工業	経口リン酸塩製剤	ホスリボン配合顆粒	原発性低リン血症性くる病	2012年12月	

159	a	メルクセローノ	セツキシマブ	アービタックス注射液	頭頸部癌 (局所進行頭頸部扁平上皮癌に対する放射線療法との併用)	2012年12月	
159	b	メルクセローノ	セツキシマブ	アービタックス注射液	頭頸部癌 (再発・転移性頭頸部扁平上皮癌に対する白金製剤を含む化学療法との併用)	2012年12月	
348	b	ゼリア新薬工業	経口リン酸塩製剤	ホスリボン配合顆粒	ファンコニ症候群	2012年12月	
348	c	ゼリア新薬工業	経口リン酸塩製剤	ホスリボン配合顆粒	低リン血症	2012年12月	
273		アストラゼネカ	プロプラノロール塩酸塩	インデラル錠	片頭痛における頭痛発作の予防	2013年2月	○
5		ノーベルファーマ	アミノレブリン酸塩酸塩	アラベル内用剤	悪性神経膠腫の腫瘍摘出術中における腫瘍組織の可視化	2013年3月	
6		日本新薬	アカンプロサートカルシウム	レグテクト錠	アルコール依存症患者における断酒維持の補助	2013年3月	
349		エーザイ	ルフィナミド	イノベロン錠	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないレノックス・ガストー症候群(4歳以上)における強直発作及び脱力発作に対する抗てんかん薬との併用療法	2013年3月	
199		日本新薬	トラマドール塩酸塩	トラマールカプセル	非オピオイド鎮痛剤で治療困難な下記疾患における鎮痛 疼痛を伴う各種癌 慢性疼痛 (下線部追加)	2013年6月	
352	a	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケプラ錠 イーケプラドライシロップ	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する抗てんかん薬との併用療法(4歳児以上の小児への適応追加))	錠 2013年5月 DS 2013年6月	
12		日本メジフィジックス	イオフルパン(123I)	ダットスキャン静注	以下の疾患の診断におけるドパミントランスポーターシンチグラフィー ・パーキンソン症候群	2013年9月	
171		ノーベルファーマ	タルク	ユニタルク	悪性胸水の再貯留抑制	2013年9月	
372		CSLベーリング	人免疫グロブリンG	ハイゼントラ皮下注	無ガンマグロブリン血症又は低ガンマグロブリン血症	2013年9月	

193	協和発酵キリン	トピラマート	トピナ錠	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗てんかん薬との併用療法（2-16歳の小児における部分発作に対する用法・用量の追加）	2013年11月	
176	日医工	デキサメタゾン	デカドロン錠	抗悪性腫瘍剤（シスプラチンなど）投与に伴う消化器症状（悪心、嘔吐） （4mg剤の剤形追加）	2014年2月	
94	日本ベーリンガー・インゲルハイム	カフェインクエン酸塩	レスピア静注・経口液	早産・低出生体重児における原発性無呼吸（未熟児無呼吸発作）	2014年3月	
203	持田製薬	トレプロスチニル	トレプロスト注射液	肺動脈性肺高血圧（WHO機能分類クラスII、III及びIV）	2014年3月	
205	バイオジェン・アイデック・ジャパン	ナタリズマブ	タイサブリ点滴静注	多発性硬化症の再発予防及び身体的障害の進行抑制	2014年3月	
374	サノフィ	4価髄膜炎菌ワクチン（ジフテリアトキソイド結合体）	メナクトラ筋注	髄膜炎菌（血清型A、C、Y及びW－135）による侵襲性髄膜炎菌感染症の予防	2014年7月	
142	マイラン製薬	システアミン酒石酸塩	ニシスタゴンカプセル	腎性シスチン症	2014年7月	
289	ファイザー	ボリコナゾール	ブイフェンド静注用、ブイフェンド錠	＜小児用法・用量の追加＞ **小児（2歳以上12歳未満及び12歳以上で体重50kg未満） ボリコナゾール注射剤による治療を行った後、通常、ボリコナゾールとして1回9mg/kgを1日2回食間に経口投与する。なお、効果不十分の場合には1mg/kgずつ増量し、忍容性が不十分の場合には1mg/kgずつ減量する（最大投与量として350mgを用いた場合は50mgずつ減量する）。 ただし、1回350mg1日2回を上限とする。 **小児（12歳以上で体重50kg以上） ボリコナゾール注射剤による治療を行った後、通常、ボリコナゾールとして1回200mgを1日2回食間に経口投与する。なお、効果不十分の場合には1回300mg1日2回まで増量できる。 ＜剤形の追加＞ ブイフェンドライシロップ2800mg	2014年9月	
26	シャイアー	アナグレリド塩酸塩	アグリリンカプセル	本態性血小板血症	2014年9月	
157	ノーベルファーマ	ストレプトゾシン	ザノサー点滴静注用	膵・消化管神経内分泌腫瘍	2014年9月	

53	MSD	ペグインターフェロンα-2b	ペグイントロン	悪性黒色腫における術後補助療法	2015年5月	
292	ヤンセンファーマ	ボルテゾミブ	ベルケイド	マントル細胞リンパ腫	2015年6月	
50	バイエル薬品	イロプロスト	ベンテイビス吸入液	成人における肺動脈性肺高血圧症（NYHA機能分類Ⅲ又はⅣ）	2015年9月	
105	テバ・ファーマスーティカル（武田薬品工業が承認取得）	グラチラマー酢酸塩	コパキソン皮下注	多発性硬化症の再発予防	2015年9月	
51	マリンクロットジャパン（富士フィルムRIファーマが承認取得）	インジウム（111In）ペンテトレオチド	オクトレオスキャン	シンチグラフィによるソマトスタチン受容体を有する原発性及び転移性の神経内分泌腫瘍の診断	2015年9月	
352 b	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケプラ錠	6歳以上の特発性全般てんかん患者における強直間代発作に対する併用療法	2016年2月	
81	ノバルティス ファーマ（ノーベルファーマが承認取得）	オクスカルバゼピン	オクノベル錠 オクノベル懸濁液	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない小児の部分発作の併用療法	2016年7月	
70	ファイザー	エプレレノン	セララ錠	慢性心不全	2016年12月	
200	日本臓器製薬	トラマドール塩酸塩	ツートラム錠50mg、 ツートラム錠100mg、 ツートラム錠150mg	経口徐放剤の剤形追加 慢性疼痛の効能追加	2020年9月	
182	エーザイ	デニロイキン ジフチトクス（遺伝子組換え）（JAN） denileukin diftitox (INN)	レミトロ点滴静注用300μg	再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫 再発又は難治性の皮膚T細胞性リンパ腫	2021年3月	
173	サノフィ	精製Vi多糖体腸チフスワクチン	タイフィム ブイアイ注シリンジ	腸チフスの予防	2024年6月	

＜第2回開発要請分（72件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
126	ジェンザイム・ジャパン	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	腎移植後の急性拒絶反応の治療	2011年4月	
285	アストラゼネカ	ホスカルネットナトリウム	点滴静注用ホスカビル注	造血幹細胞移植患者におけるサイトメガロウイルス血症及びサイトメガロウイルス感染症	2011年5月	
139	塩野義製薬	シクロホスファミド	エンドキサン錠	ネフローゼ症候群（副腎皮質ホルモン剤による適切な治療を行っても十分な効果がみられない場合に限る。）	2011年9月	○
250	日本血液製剤機構	ヒト免疫グロブリン	献血ヴェノグロブリンIH5%静注	全身型重症筋無力症（ステロイド剤又はステロイド剤以外の免疫抑制剤が十分に奏効しない場合に限る）	2011年9月	
295	中外製薬	ミコフェノール酸モフェチル	セルセプトカプセル	腎移植における拒絶反応の抑制に対する小児用法・用量の追加	2011年9月	○
196	中外製薬	トラスツズマブ（遺伝子組換え）	ハーセプチン注射用	HER2過剰発現が確認された乳癌における術前補助化学療法	2011年11月	○
197	中外製薬	トラスツズマブ（遺伝子組換え）	ハーセプチン注射用	HER2過剰発現が確認された転移性乳癌について、3週間1回投与の用法・用量の追加	2011年11月	○
82	ノバルティス ファーマ	オクトレオチド酢酸塩	サンドスタチンLAR筋注用	消化管神経内分泌腫瘍	2011年11月	○
301	ノバルティス ファーマ	メチラポン	メトピロンカプセル	クッシング症候群	2011年11月	○
264.1	ファイザー	フルコナゾール	ジフルカン静注液、ジフルカンカプセル	造血幹細胞移植患者における深在性真菌症の予防	2011年11月	○
100	ブリストル・マイヤーズ	カルボプラチン	パラプラチン注射液	乳癌	2011年11月	○
107	中外製薬	グラニセトロン塩酸塩	カイトリル錠 カイトリル細粒 カイトリル注 カイトリル点滴静注バッグ	放射線照射に伴う消化器症状（悪心、嘔吐）	2011年12月	○

161	サノフィ	セフォタキシムナトリウム	クラフォラン注射用	通常小児には、セフォタキシムとして1日50～100mg（力価）／kg を3～4回に分けて静脈内に注射する。 なお、難治性又は重症感染症には症状に応じて、1日量を成人では4g（力価）まで増量し、2～4回に分割投与する。また小児では150mg（力価）／kg まで増量し、3～4回に分割投与する。なお、小児の化膿性髄膜炎では300mg（力価）／kg まで増量できる。 （下線部追加）	2011年12月	○
34	アステラス製薬	アモキシシリン	サワシリン細粒	小児：アモキシシリン水和物として、通常1日20～40mg（力価）／kgを3～4回に分割経口投与する。 なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日量として最大90mg（力価）／kgを超えないこと。 （下線部追加）	2012年2月	○
34	協和発酵キリン	アモキシシリン	パセトシン細粒	小児： アモキシシリン水和物として、通常1日20 ～ 40mg（力価）/kgを3 ～ 4回に分割経口投与する。 なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日量として 最大90mg（力価）/kgを超えないこと。 （下線部追加）	2012年2月	○
47	ノバルティス ファーマ	イマチニブメシル酸	グリベック錠	FIP1L1-PDGFRα陽性の下記疾患 好酸球増多症候群、慢性好酸球性白血病	2012年2月	○
62	日本化薬	エトポシド	ラステットSカプセル	がん化学療法後に増悪した卵巣癌	2012年2月	○
62	ブリストル・マイヤーズ	エトポシド	ベプシドカプセル	がん化学療法後に増悪した卵巣癌	2012年2月	○
143	ブリストル・マイヤーズ	シスプラチン	ブリプラチン注	胆道癌	2012年2月	○
143	日本化薬	シスプラチン	ランダ注	胆道癌	2012年2月	○
276	Meiji Seikaファルマ	ベンジルペニシリンカリウム	注射用ペニシリンGカリウム	＜適応菌種＞梅毒トレポネーマ ＜適応症＞梅毒	2012年2月	○
46	塩野義製薬	イホスファミド	注射用イホマイド	悪性リンパ腫	2012年3月	○

218	ブリストル・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	血管肉腫	2012年3月	○
219	ブリストル・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	再発又は遠隔転移を有する食道癌	2012年3月	○
220	ブリストル・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	再発又は遠隔転移を有する頭頸部癌	2012年3月	○
221	ブリストル・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	進行又は再発の子宮頚癌	2012年3月	○
222	ブリストル・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	卵巣癌の週1回投与の用法・用量の追加	2012年3月	○
43	Meiji Seikaファルマ	アンピシリンナトリウム	ビクシリン注射用	小児 アンピシリンとして、通常、小児には1 日１００～200mg(力価)/kgを3 ～ 4 回に分けて日局生理食塩液又は日局ブドウ糖注射液に溶解し静脈内注射し、点滴静注による場合は、輸液に溶解して用いる。なお、症状・病態に応じて適宜増量とするが、投与量の上限は1 日400mg(力価)/kgまでとする。 新生児 アンピシリンとして、通常、新生児には1 日５０～200mg(力価)/kgを2 ～ 4 回に分けて日局生理食塩液又は日局ブドウ糖注射液に溶解し静脈内注射し、点滴静注による場合は、輸液に溶解して用いる。	2012年5月	○
112 b	サノフィ	クロピドグレル	プラビックス錠	経皮的冠動脈形成術（PCI）が適用される下記の虚血性 心疾患 急性冠症候群（不安定狭心症、非ST上昇心筋梗塞、 ST上昇心筋梗塞） （下線部追加）	2012年8月	
125	中外製薬	スルファメトキサゾール・トリメトプリム配合剤	バクトラミン錠、バクトラミン配合顆粒	ニューモシスチス肺炎の治療及び発症抑制	2012年8月	○
125	塩野義製薬	スルファメトキサゾール・トリメトプリム配合剤	バクタ配合錠、バクタ配合顆粒	ニューモシスチス肺炎の治療及び発症抑制	2012年8月	○
112 a	サノフィ	クロピドグレル	プラビックス錠	末梢動脈疾患における血栓・塞栓形成の抑制	2012年9月	

340	ファイザー	リネゾリド	ザイボックス錠、ザイボックス注射液	通常、成人及び12歳以上の小児にはリネゾリドとして1日1200 mgを2回に分け、1回600 mgを12時間ごとに経口投与する。通常、12歳未満の小児にはリネゾリドとして1回10 mg/kgを8時間ごとに経口投与する。なお、1回投与量として600 mgを超えないこと。 （下線部追加）	2012年11月	○
22	グラクソ・スミスクライン	アトバコン・塩酸プログアニル配合剤	マラロン配合錠	マラリアの治療及び予防	2012年12月	
237	ファイザー	パロモマイシン	アメパロモカプセル	腸管アメーバ症	2012年12月	
265	日本メジフィジックス	ヘキサシアノ鉄（Ⅱ）酸鉄（Ⅲ）水和物	ラディオガルダーゼカプセル	タリウム及びタリウム化合物による中毒の治療	2012年12月	
305	ファイザー	メチルプレドニゾロンコハク酸エステルナトリウム	ソル・メドロール静注用	眩急性循環不全（出血性ショック、感染性ショック） 眩腎臓移植に伴う免疫反応の抑制 眩受傷後8時間以内の急性脊髄損傷患者（運動機能障害及び感覚機能 障害を有する場合）における神経機能障害の改善 眩ネフローゼ症候群 眩多発性硬化症の急性増悪 （下線部追加）	2013年3月	○
376	化学及血清療法研究所	乾燥組織培養不活化A型肝炎ワクチン	エイムゲン	A型肝炎の予防 （16歳未満への適応拡大）	2013年3月	
19.1	テルモ	アセトアミノフェン	アセリオ静注	1. 軽度から中等度の疼痛、2. 中等度から重度の疼痛（オピオイドと併用）、3. 解熱。 ただし、疼痛または高熱に迅速に対応する必要がある場合、および／または他の投与経路が適切でない場合等、静脈内投与経路による投与が臨床的に適切な場合に限る。	2013年6月 （新生児の用法用量の追加については検討中）	

229	アッヴィ	パリビズマブ（遺伝子組換え）	シナジス筋注用	下記の新生児，乳児および幼児におけるRSウイルス（Respiratory Syncytial Virus）感染による重篤な下気道疾患の発症抑制 RSウイルス感染流行初期において ・在胎期間28週以下の早産で，12ヵ月齢以下の新生児および乳児 ・在胎期間29週～35週の早産で，6ヵ月齢以下の新生児および乳児 ・過去6ヵ月以内に気管支肺異形成症（BPD）の治療を受けた24ヵ月齢以下の新生児，乳児および幼児 ・24ヵ月齢以下の血行動態に異常のある先天性心疾患（CHD）の新生児，乳児および幼児 ・24ヵ月齢以下の免疫不全を伴う新生児，乳児および幼児 ・24ヵ月齢以下のダウン症候群の新生児，乳児および幼児 （下線部追加）	2013年8月	
124	MSD	ゲンタマイシン硫酸塩	ゲンタシン注	最大投与量の変更	2013年9月	
12.2	日本メジフィジックス	イオフルパン（123I）	ダットスキャン静注	以下の疾患の診断におけるドパミントランスポーターシンチグラフィー ・レビー小体型認知症	2010年9月	
277	中外製薬	ベバシズマブ	アバスチン点滴静注用	卵巣癌	2013年11月	
114	アルフレッサ ファーマ	クロミプラミン	アナフラニール錠	ナルコレプシーに伴う情動脱力発作	2013年11月	○
148	協和発酵キリン	シナカルセト塩酸塩	レグパラ錠	下記疾患における高カルシウム血症 ・ 副甲状腺癌 ・ 副甲状腺摘出術不能又は術後再発の原発性副甲状腺機能亢進症	2014年2月	
239	塩野義製薬	バンコマイシン	塩酸バンコマイシン点滴静注用	＜適応菌種＞メチシリン耐性コアグラーゼ陰性ブドウ球菌、ペニシリン耐性腸球菌 ＜適応症＞グラム陽性球菌による血流感染（中心静脈カテーテル感染を含む）、好中球減少時の発熱、ペニシリンアレルギーの代替薬	2014年5月	○
329	グラクソ・スミスクライン	ラモトリギン	ラミクタール錠	成人における部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する単剤療法、成人における強直間代発作に対する単剤療法 小児における定型欠伸に対する単剤療法	成人：2014年8月 小児：2015年9月	

308	大日本住友製薬	メトホルミン塩酸塩	メトグルコ錠	＜効能・効果＞2型糖尿病の小児適応の追加 ＜用法・用量＞10歳以上の小児には1日500mgより開始し、維持量は通常1日500m～1500mg、1日最高投与量は2,000mgまでとする	2014年8月	
228	グラクソ・スミスクライン	バラシクロビル	バルトレックス錠、 バルトレックス顆粒	単純疱疹、造血幹細胞移植における単純ヘルペスウイルス感染症（単純疱疹）の発症抑制、帯状疱疹、性器ヘルペスの再発抑制の小児適応	2014年11月	
314.2	ガルデルマ	メトロニダゾール	ロゼックスゲル	がん性皮膚潰瘍部位の殺菌・臭気の軽減	2014年12月	
251	富山化学工業	ピペラシリンナトリウム	ペントシリン注射用、ペントシリン静注用	最大4gを6時間ごとに1日4回投与の用法・用量変更	2015年3月	
78	ヤクルト本社	オキサリプラチン	エルプラット点滴静注液	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	2015年3月	○
186	塩野義製薬	デュロキセチン	サインバルタカプセル	線維筋痛症に伴う疼痛	2015年5月	
8	グラクソ・スミスクライン	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注	斜視	2015年6月	
168	大鵬薬品工業	タゾバクタムナトリウム・ピペラシリンナトリウム配合剤	ゾシン静注用	発熱性好中球減少症	2015年6月	
250.2	サノフィ	ヒドロキシクロロキン	プラケニル錠	皮膚エリテマトーデス、全身性エリテマトーデス	2015年7月	
353	第一三共	レボフロキサシン	クラビット錠、クラビット細粒	多剤耐性結核	2015年8月	
57	田辺三菱製薬	インフリキシマブ	レミケード	ベーチェット病の特殊型（腸管型、神経型、血管型）	2015年8月	
151	バイエル薬品	シプロフロキサシン	シプロキサン注	小児に対するβラクタム系薬無効の尿路感染症（複雑性膀胱炎、腎盂腎炎）及び嚢胞性線維症	2015年9月	
152	バイエル薬品	シプロフロキサシン	シプロキサン注	最大投与量の変更	2015年9月	
328 a	ノバルティス ファーマ	ラパチニブ	タイケルブ錠	乳癌に対するホルモン剤併用療法（トラスツズマブ併用療法は開発方針について検討中）	2015年11月	
213	日本化薬	ノギテカン	ハイカムチン	進行・再発子宮頸癌	2015年11月	

56	田辺三菱製薬	インフリキシマブ	レミケード	大量ガンマグロブリン治療に抵抗を示す重症川崎病	2015年12月	
336	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン注	下記のABO血液型不適合移植における抗体関連型拒絶反応の抑制 腎移植、肝移植	2016年2月	
332	ヤンセン　ファーマ	リスペリドン	リスパダール錠、OD錠、細粒、内用液	自閉症障害における易刺激性	2016年2月	
243	サノフィ	ビガバトリン	サブリル散分包	点頭てんかん	2016年3月	
260	アストラゼネカ（ゼリア新薬工業が承認取得）	ブデソニド	ゼンタコートカプセル	経口剤の剤形追加、回腸又は上行結腸に病変を有する軽度から中等度の活動期クローン病	2016年9月	
283　b	シンバイオ製薬	ベンダムスチン	トレアキシン静注用	慢性リンパ性白血病	2016年8月	
75	大原薬品工業	クリサンタスパーゼ	アーウィナーゼ筋注用	急性白血病（慢性白血病の急性転化例を含む）、悪性リンパ腫 ただし、L-アスパラギナーゼ製剤に過敏症を示した場合に限る。	2016年12月	
262	アステラス製薬	クエチアピンフマル酸塩	ビプレッソ徐放錠	双極性障害におけるうつ症状の改善	2017年7月	
355	ファイザー	ロラゼパム	ロラピタ静注 2mg	静注剤の剤形追加、てんかん重積状態	2018年9月	
80	塩野義製薬	オキシコドン塩酸塩	オキシコンチンTR錠、オキノーム散	中等度から高度の慢性疼痛における鎮痛	2020年10月	

＜第3回開発要請分（5件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
274.1	アストラゼネカ	プロプラノロール塩酸塩	インデラル錠	期外収縮（上室性、心室性）、発作性頻拍の予防、頻拍性心房細動（徐脈効果）、洞性頻脈、新鮮心房細動、発作性心房細動の予防に使用する場合 成人 通常、成人にはプロプラノロール塩酸塩として1日30mgより投与をはじめ、効果が不十分な場合は60mg、90mgと漸増し、1日3回に分割経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。 小児 通常、小児にはプロプラノロール塩酸塩として1日0.5～2mg/kgを、低用量から開始し、1日3～4回に分割経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減する。効果不十分な場合には1日4mg/kgまで増量することができるが、1日投与量として90mgを超えないこと。 （下線部追加）	2012年5月	○
362	協和発酵キリン	アルテプラーゼ（遺伝子組換え）	アクチバシン注	虚血性脳血管障害急性期に伴う機能障害の改善（発症後4.5時間以内） （下線部変更）	2012年12月	○
362	田辺三菱製薬	アルテプラーゼ（遺伝子組換え）	グルトパ注	虚血性脳血管障害急性期に伴う機能障害の改善（発症後4.5時間以内） （下線部変更）	2012年12月	○
268	アッヴィ	フルボキサミンマレイン酸塩	ルボックス錠	小児における強迫性障害	2017年7月	
268	Meiji Seikaファルマ	フルボキサミンマレイン酸塩	デプロメール錠	小児における強迫性障害	2017年7月	

＜第4回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
※	協和キリン 日本セルヴィエ	ペグアスパラガーゼ	オンキャスパー点滴静注用3750 単位	急性リンパ性白血病、悪性リンパ腫	2023年6月	
1	ダイドーファーマ	アミファンプリジンリン酸塩	ファダプス錠10mg	ランバート・イートン筋無力症候群による筋力低下の改善	2024年9月	

a-1. 承認申請済みのもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

a-2. 治験計画届提出済みのもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

g. その他（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの（6件）

＜第1回開発要請分（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
189	ヤンセンファーマ	ドキソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤	ドキシル	多発性骨髄腫	第19回 （平成26年4月22日）	開発企業は国内第I相治験を実施したが、その結果及び他の薬剤の開発状況等を踏まえ、要望の取り下げが了承された。
293　b	アクテリオンファーマシューティカルズジャパン	ミグルスタット	Zavesca	ゴーシェ病Ｉ型	第23回 （平成27年4月22日）	要望者から、当該疾患領域の治療薬について、昨今の開発状況等を踏まえ、要望を取り下げる申出があり、要望の取り下げが了承された。
176	セルジーン	デキサメタゾン	レナデックス錠4mg	抗悪性腫瘍剤（シスプラチンなど）投与に伴う消化器症状（悪心、嘔吐）	第29回 （平成28年11月16日）	要望者から、他企業より同一有効成分含有医薬品が開発されたことを踏まえ、要望を取り下げる申出があり、要望の取り下げが了承された。

＜第2回開発要請分（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
178	ヤンセンファーマ	デシタビン	DACOGEN	骨髄異形成症候群	第12回 （平成24年7月30日）	開発企業は国内第I/II相治験を実施したが、その結果及び他の薬剤の開発状況等を踏まえ、要望の取り下げが了承された。
283　c	シンバイオ製薬	ベンダムスチン	トレアキシン静注用	多発性骨髄腫	第19回 （平成26年4月22日）	開発企業は国内第II相治験を実施したが、その結果及び他の薬剤の開発状況等を踏まえ、要望の取り下げが了承された。
35	大鵬薬品工業	パクリタキセル注射剤（アルブミン懸濁型）	アブラキサン点滴静注用	乳癌に対する4週間1サイクル投与（3週間隔週投与、1週間休薬）の用法・用量の追加	第32回 （平成29年８月23日）	開発企業は国内第II相治験を実施したが、その結果を踏まえ、要望者から要望の取り下げる届出があり、要望の取り下げが了承された。

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

資料４－４

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅱ回要望)(2025年8月29日時点)

1. 企業から提出された開発工程表に基づく情報

（単位：件）

	第1回開発要請分（2012年4月）	第2回開発要請分（2013年1月）	第3回開発要請分（2013年7月）	第4回開発要請分（2014年11月）	第5回開発要請分（2017年3月）	第6回開発要請分（2022年1月）	計
承認済み	64	11	5	3	2	0	85
承認申請済み	0	0	0	0	0	1	1
治験計画届提出済み	0	0	0	0	0	0	0
公知申請予定	5	2	0	0	0	0	7
治験計画届提出予定	0	0	0	0	0	0	0
その他	0	1	0	0	0	0	1
合計	69	14	5	3	2	1	94

開発要請取り下げ	5	0	0	0	0	1	6

2. 開発工程表の詳細な分類

a. 承認済みのもの、承認申請済みのもの、治験計画届提出済みのもの

（単位：件）

	第1回開発要請分（2012年4月）	第2回開発要請分（2013年1月）	第3回開発要請分（2013年7月）	第4回開発要請分（2014年11月）	第5回開発要請分（2017年3月）	第6回開発要請分（2022年1月）	計
承認済み	64	11	5	3	2	0	85
承認申請済み	0	0	0	0	0	1	1
治験計画届提出済み	0	0	0	0	0	0	0

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの

第1回開発要請分（2012年4月）	第2回開発要請分（2013年1月）	第3回開発要請分（2013年7月）	第4回開発要請分（2014年11月）	第5回開発要請分（2017年3月）	第6回開発要請分（2022年1月）	計
0	0	0	0	0	0	0

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの

第1回開発要請分（2012年4月）	第2回開発要請分（2013年1月）	第3回開発要請分（2013年7月）	第4回開発要請分（2014年11月）	第5回開発要請分（2017年3月）	第6回開発要請分（2022年1月）	計
0	0	0	0	0	0	0

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの

第1回開発要請分（2012年4月）	第2回開発要請分（2013年1月）	第3回開発要請分（2013年7月）	第4回開発要請分（2014年11月）	第5回開発要請分（2017年3月）	第6回開発要請分（2022年1月）	計
0	0	0	0	0	0	0

e. 開発要請後半年以降に公知申請を予定するもの

第1回開発要請分（2012年4月）	第2回開発要請分（2013年1月）	第3回開発要請分（2013年7月）	第4回開発要請分（2014年11月）	第5回開発要請分（2017年3月）	第6回開発要請分（2022年1月）	計
5	2	0	0	0	0	7

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの

第1回開発要請分（2012年4月）	第2回開発要請分（2013年1月）	第3回開発要請分（2013年7月）	第4回開発要請分（2014年11月）	第5回開発要請分（2017年3月）	第6回開発要請分（2022年1月）	計
0	0	0	0	0	0	0

g. その他

第1回開発要請分（2012年4月）	第2回開発要請分（2013年1月）	第3回開発要請分（2013年7月）	第4回開発要請分（2014年11月）	第5回開発要請分（2017年3月）	第6回開発要請分（2022年1月）	計
0	1	0	0	0	0	1

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの

第1回開発要請分（2012年4月）	第2回開発要請分（2013年1月）	第3回開発要請分（2013年7月）	第4回開発要請分（2014年11月）	第5回開発要請分（2017年3月）	第6回開発要請分（2022年1月）	計
5	0	0	0	0	1	6

3. 各医薬品の開発工程表の概要

a-0. 承認済みのもの（85件）

＜第１回開発要請分（64件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
II-109	ファイザー	スニチニブリンゴ酸塩	スーテントカプセル	膵神経内分泌腫瘍	2012年8月	
II-10	協和発酵キリン	L-アスパラギナーゼ	ロイナーゼ注用	急性白血病（慢性白血病の急性転化例を含む） 悪性リンパ腫 （筋肉内投与）通常、1日1回体表面積1m2あたり10000K.U.を週3回、または1日1回体表面積1m2あたり25000K.U.を週1回、筋肉内に注入する。なお、患者の状態により適宜減する。 （下線部追加）	2013年2月	○
II-77	日本イーライリリー	ゲムシタビン塩酸塩	ジェムザール注射用	再発・難治性悪性リンパ腫	2013年2月	○
II-150	ブリストル・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	再発又は難治性の胚細胞腫瘍(精巣腫瘍，卵巣腫瘍，性腺外腫瘍)	2013年2月	○
II-37	ヤクルト本社	イリノテカン塩酸塩水和物	カンプト点滴静注	小児悪性固形腫瘍	2013年3月	○
II-37	第一三共	イリノテカン塩酸塩水和物	トポテシン点滴静注	小児悪性固形腫瘍	2013年3月	○
II-58	ノバルティスファーマ（グラクソ・スミスクラインより承継）	オファツムマブ（遺伝子組換え）	アーゼラ点滴静注液	再発又は難治性のCD20陽性の慢性リンパ性白血病	2013年3月	
II-96	ノバルティスファーマ	シクロスポリン	ネオーラルカプセル、ネオーラル内用液	ベーチェット病（眼症状のある場合）、及びその他の非感染性ぶどう膜炎（既存治療で効果不十分であり、視力低下のおそれのある活動性の中間部又は後部の非感染性ぶどう膜炎に限る） （下線部追加）	2013年3月	○
II-98	塩野義製薬	シクロホスファミド水和物	注射用エンドキサン	褐色細胞腫	2013年3月	○
II-116	協和発酵キリン	ダカルバジン	ダカルバジン注用	褐色細胞腫	2013年3月	○

II-176	ブリストル・マイヤーズ	ヒドロキシカルバミド	ハイドレアカプセル	本態性血小板血症	2013年3月	○
II-177	ブリストル・マイヤーズ	ヒドロキシカルバミド	ハイドレアカプセル	真性多血症	2013年3月	○
II-186	日本化薬	ビンクリスチン硫酸塩	オンコビン注射用	褐色細胞腫	2013年3月	○
II-273	東亜薬品工業	硫酸マグネシウム	静注用マグネゾール、マグセント注	重症妊娠高血圧症候群における子癇の予防及び治療	2013年3月	○
II-51	ノボ ノルディスク ファーマ	エプタコグ アルファ（活性型）（遺伝子組換え）	ノボセブンHI静注用	＜効能・効果＞ 血液凝固第Ⅷ因子又は第Ⅸ因子に対するインヒビターを保有する先天性血 友病患者の出血抑制 ＜用法・用量＞ 軽度から中等度の出血に対して、270 μg/kgを単回投与する。	2013年5月	○
II-21	サノフィ	アミオダロン塩酸塩	アンカロン注	電気的除細動抵抗性の心室細動あるいは無脈性心室頻拍による心停止	2013年5月	
II-210	中外製薬	ベバシズマブ	アバスチン	悪性神経膠腫	2013年6月	
II-262	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン注	ウェゲナ肉芽腫症、顕微鏡的多発血管炎	2013年6月	○
II-263	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン注	免疫抑制状態下のCD20陽性のB細胞性リンパ増殖性疾患（成人）	2013年6月	○
II-264	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン注	免疫抑制状態下のCD20陽性のB細胞性リンパ増殖性疾患（小児）	2013年6月	○
II-141	中外製薬	トラズツマブ(遺伝子組み換え)	ハーセプチン注射用	HER2過剰発現が確認された乳癌に対する術後補助化学療法としてA法(1週間間隔投与)の用法・用量の追加	2013年6月	○
II-148	日本化薬	ノギテカン塩酸塩	ハイカムチン注射用	小児悪性固形腫瘍	2013年6月	○
II-195	塩野義製薬	プレドニゾロン	プレドニン錠	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2013年9月	○
II-172	CSL ベーリング	人血液凝固第XIII因子	フィブロガミンP静注用	後天性血液凝固第XIII因子欠乏症による出血傾向	2013年9月	○

II-253	ゲルベ・ジャパン	ヨード化ケシ油脂肪酸エチルエステル	リピオドール	シアノアクリレート剤を用いた出血性胃静脈瘤の治療	2013年9月	○
II-242	ヤンセンファーマ	メチルフェニデート塩酸塩	コンサータ錠	成人期における注意欠陥/多動性障害（AD/HD）	2013年12月	
II-36	ヤクルト本社	イリノテカン塩酸塩水和物	カンプト点滴静注	膵癌	2013年12月	
II-36	第一三共	イリノテカン塩酸塩水和物	トポテシン点滴静注	膵癌	2013年12月	
II-55	ヤクルト本社	オキサリプラチン	エルプラット点滴静注	膵癌	2013年12月	
II-194	協和発酵キリン	フルオロウラシル	5-FU注	膵癌	2013年12月	
II-281	ファイザー	レボホリナートカルシウム	アイソボリン	膵癌に対するフルオロウラシルの抗腫瘍効果の増強	2013年12月	
II-196	武田薬品工業	ブレンツキシマブ・ベドチン	アドセトリス点滴静注用	CD30陽性のホジキンリンパ腫	2014年1月	
II-196	武田バイオ開発センター（武田薬品工業が承認取得）	ブレンツキシマブ・ベドチン	アドセトリス点滴静注用	CD30陽性のホジキンリンパ腫	2014年1月	
II-197	武田薬品工業	ブレンツキシマブ・ベドチン	アドセトリス点滴静注用	CD30陽性の未分化大細胞リンパ腫	2014年1月	
II-197	武田バイオ開発センター（武田薬品工業が承認取得）	ブレンツキシマブ・ベドチン	アドセトリス点滴静注用	CD30陽性の未分化大細胞リンパ腫	2014年1月	
II-44	久光製薬	エストラジオール	エストラーナテープ	性腺機能低下症、性腺摘出、または原発性卵巣不全による低エストロゲン症の治療 （低用量製剤の追加についても承認済）	2014年2月	○
II-279	バイエル薬品	レボノルゲストレル	ミレーナ	過多月経	2014年6月	○
II-277	ノバルティスファーマ	レボドパ/カルビドパ/エンタカポン（配合剤）	スタレボ配合錠L	パーキンソン病（レボドパ・カルビドパ投与において症状の日内変動（wearing-off）が認められる場合）	2014年7月	
II-62	サノフィ	カバジタキセル	ジェブタナ点滴静注	前立腺癌	2014年7月	

II-78	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	心移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(小児)	2014年9月	
II-79	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	肺移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(小児)	2014年9月	
II-80	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	肝臓移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(小児)	2014年9月	
II-81	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	小腸移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(小児)	2014年9月	
II-82	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	心移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	
II-83	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	肺移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	
II-84	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	肝臓移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	
II-85	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	膵臓移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	
II-86	サノフィ (ジェンザイム・ジャパンより承継)	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	サイモグロブリン点滴静注用	小腸移植後の治療抵抗性の拒絶反応の治療(成人)	2014年9月	
II-124	協和発酵キリン	ダルベポエチン　アルファ(遺伝子組換え)	ネスプ注射液	骨髄異形成症候群に伴う貧血	2014年12月	
II-276	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケプラ錠	成人における部分発作(二次性全般化発作を含む)に対する単独療法	2015年2月	

II-268	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン注	CD20陽性の低悪性度又は濾胞性のB細胞性非ホジキンリンパ腫に関する維持療法の用法・用量の追加（下記） 維持療法に用いる場合は、通常、成人には、リツキシマブ（遺伝子組換え）として1回量375mg/m2を点滴静注する。投与間隔は8週間を目安とし、最大投与回数は12回とする。	2015年5月	
II-32	ブリストル・マイヤーズ	イピリムマブ	ヤーボイ点滴静注液	悪性黒色腫	2015年7月	
II-220	アクテリオンファーマシューティカルズジャパン	ボセンタン水和物	トラクリア錠	強皮症に伴う皮膚潰瘍の予防	2015年8月	
II-30	エア・ウォーター	一酸化窒素	アイノフロー吸入用	肺高血圧を伴う低酸素性呼吸不全の改善（小児）	2015年8月	
II-31	エア・ウォーター	一酸化窒素	アイノフロー吸入用	肺高血圧を伴う低酸素性呼吸不全の改善（成人）	2015年8月	
II-219	アクテリオンファーマシューティカルズジャパン	ボセンタン水和物	トラクリア錠	小児の肺動脈性肺高血圧症（WHO機能分類クラス3及び4に限る）	2015年9月	
II-189	サノフィ	プリマキンリン酸塩	プリマキン錠「サノフィ」	三日熱マラリア及び卵形マラリア（成人）	2016年3月	
II-190	サノフィ	プリマキンリン酸塩	プリマキン錠「サノフィ」	三日熱マラリア及び卵形マラリア（小児）	2016年3月	
II-254	ユーシービージャパン	ラコサミド	ビムパット	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないてんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する抗てんかん薬との併用療法	2016年7月	
II-283	ヤンセンファーマ	レミフェンタニル塩酸塩	アルチバ静注用	全身麻酔の維持における鎮痛（小児）	2016年8月	
II-25	大塚製薬	アリピプラゾール	エビリファイ錠	小児期の自閉スペクトラム症に伴う易刺激性	2016年9月	
II-200	CSL ベーリング	乾燥濃縮人プロトロンビン複合体	ケイセントラ静注用	ビタミンK拮抗薬投与中の患者における，急性重篤出血時，又は重大な出血が予想される緊急を要する手術・処置の施行時の出血傾向の抑制	2017年3月	
II-20	ブリストル・マイヤーズ　スクイブ	アバタセプト	オレンシア点滴静注用	多関節に活動性を有する若年性特発性関節炎（既存治療で効果不十分な場合に限る）	2018年2月	
II-266	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注100mg リツキサン点滴静注500mg	CD20陽性のB細胞性慢性リンパ性白血病	2019年3月	

＜第2回開発要請分（11件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
II-107	MeijiSeikaファルマ	ストレプトマイシン	ストレプトマイシン	＜適応菌種＞　本剤に感性のマイコバクテリウム属 ＜適応症＞　マイコバクテリウム・アビウムコンプレックス（MAC）症を含む非結核性抗酸菌症	2014年2月	○
II-73	ファイザー	クリンダマイシン	ダラシンS注射液	顎骨周辺の蜂巣炎、顎炎	2014年2月	○
II-163	ノバルティスファーマ	パミドロン酸二ナトリウム	アレディア点滴静注	1．悪性腫瘍による高カルシウム血症 2．乳癌の溶骨性骨転移（化学療法、内分泌療法、あるいは放射線療法と併用すること） 3．骨形成不全症 （下線部の追加）	2014年5月	○
II-88	ファイザー	メチルプレドニゾロンコハク酸エステルナトリウム	ソル・メドロール	治療抵抗性の下記リウマチ性疾患 全身性血管炎（顕微鏡的多発血管炎、ヴェゲナ肉芽腫症、結節性多発動脈炎、Churg-Strauss症候群、大動脈炎症候群等）、全身性エリテマトーデス（SLE）、多発性筋炎、皮膚筋炎、強皮症、混合性結合組織病、及び難治性リウマチ性疾患	2014年8月	○
II-203	アストラゼネカ	プロプラノロール塩酸塩	インデラル	＜効能・効果＞ 右心室流出路狭窄による低酸素発作の発症抑制 ＜当該効能・効果に関連する使用上の注意＞ ファロー四徴症等を原疾患とする右心室流出路狭窄による低酸素発作を起こす患者に投与すること。	2014年11月	○
II-278	バイエル薬品	レボノルゲストレル	ミレーナ	月経困難症	2014年11月	○
II-178	ファイザー	ヒドロコルチゾンコハク酸エステルナトリウム	①ソル・コーテフ注射用 ②ソル・コーテフ静注用	高用量の新用量 ②に気管支喘息の新効能 ②のパラベンフリーの製剤	2015年5月	○
II-179	ファイザー	ヒドロコルチゾンコハク酸エステルナトリウム	①ソル・コーテフ注射用 ②ソル・コーテフ静注用	小児の新用量 ②に気管支喘息の新効能 ②のパラベンフリーの製剤	2015年5月	○
II-231	中外製薬	ミコフェノール酸　モフェチル	セルセプトカプセル	ループス腎炎	2016年5月	○

II-168	田辺三菱	バルガンシクロビル塩酸塩	バリキサ錠	サイトメガロウイルス感染症のリスクのある小児(固形臓器)移植後のサイトメガロウイルス感染予防	2018年8月	○
II-69	武田テバ薬品株式会社	カンデサルタン シレキセチル	ブロプレス錠	小児高血圧症	2019年5月	○

＜第3回開発要請分（5件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
II-290	MSD	組換え沈降B型肝炎ワクチン（酵母由来）	ヘプタバックス-Ⅱ	【効能・効果】 B型肝炎ウイルス母子感染の予防（抗HBs人免疫グロブリンとの併用）（既承認効能・効果） 【用法・用量】 通常、0.25mLを1回、生後12時間以内を目安に皮下に注射する。更に、0.25mLずつを初回注射の1か月後及び6か月後の2回、同様の用法で注射する。 （※新生児への投与に関する用法・用量の追加）	2014年3月	○
II-290	化学及血清療法研究所	組換え沈降B型肝炎ワクチン（酵母由来）	ビームゲン	【効能・効果】 B型肝炎ウイルス母子感染の予防（抗HBs人免疫グロブリンとの併用）（既承認効能・効果） 【用法・用量】 通常、0.25mLを1回、生後12時間以内を目安に皮下に注射する。更に、0.25mLずつを初回注射の1か月後及び6か月後の2回、同様の用法で注射する。 （※新生児への投与に関する用法・用量の追加）	2014年3月	○
II-87	日本製薬	抗HBs人免疫グロブリン	乾燥HBグロブリン筋注用「ニチヤク」	用法・用量の変更 初回注射量は0.5～1.0mLを筋肉内に注射する。初回注射の時期は生後5日以内とする。なお、生後12時間以内が望ましい。また、追加注射には、体重1kg当たり0.16～0.24mLを投与する。 （下線部追加）	2014年3月	○
II-87	日本血液製剤機構	抗HBs人免疫グロブリン	ヘブスブリン筋注用 抗HBs人免疫グロブリン筋注「日赤」	用法・用量の変更 初回注射量は0.5～1.0mLを筋肉内に注射する。初回注射の時期は生後5日以内とする。なお、生後12時間以内が望ましい。また、追加注射には、体重1kg当たり0.16～0.24mLを投与する。 （下線部追加）	2014年3月	○
II-87	化学及血清療法研究所	抗HBs人免疫グロブリン	ヘパトセーラ	用法・用量の変更 初回注射量は0.5～1.0mLを筋肉内に注射する。初回注射の時期は生後5日以内とする。なお、生後12時間以内が望ましい。また、追加注射には、体重1kg当たり0.16～0.24mLを投与する。 （下線部追加）	2014年3月	○

＜第4回開発要請分（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
II-270	アストラゼネカ	リドカイン塩酸塩	キシロカイン注ポリアンプ	上肢手術における局所（区域）静脈内麻酔	2015年12月	○
II-22	日医工	アミトリプチリン塩酸塩	トリプタノール錠	末梢神経障害性疼痛	2016年2月	○
Ⅱ-110	サノフィ	スピラマイシン	スピラマイシン錠150万単位「サノフィ」	先天性トキソプラズマ症の発症抑制	2018年7月	

＜第5回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	承認内容	承認済み（承認月）	公知申請
II-215	ファイザー	ベンジルペニシリンベンザチン水和物	ステルイズ水性懸濁筋注 60 万単位シリンジ、同 240 万単位シリンジ	注射剤の剤形追加 神経梅毒を除いた、第1期、第2期、早期潜伏性梅毒、後期潜伏性梅毒、感染期間不明な後期梅毒の治療(成人)	2021年9月	
II-216	ファイザー	ベンジルペニシリンベンザチン水和物	ステルイズ水性懸濁筋注 60 万単位シリンジ、同 240 万単位シリンジ	注射剤の剤形追加 神経梅毒を除いた、第1期、第2期、早期潜伏性梅毒、後期潜伏性梅毒、感染期間不明な後期梅毒の治療(小児)	2021年9月	

＜第6回開発要請分（0件）＞

a-1. 承認申請済みのもの（1件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
II-5	PDRファーマ	3-ヨードベンジルグアニジン（^{131}I）	ライアットMIBG-I131静注	MIBG集積陽性の神経芽腫	○

a-2. 治験計画届提出済みのもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの（7件）

＜第1回開発要請分（5件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
II-17	第一三共	アドレナリン	ボスミン注	・0.01%注射液の剤型追加 ・心停止の補助治療、各種疾患もしくは状態に伴う急性低血圧またはショック時の補助治療	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-45	サンド	エタンブトール塩酸塩	エサンブトール錠	肺結核及びその他の結核症の小児の用法・用量の追加	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-45	科研製薬	エタンブトール塩酸塩	エブトール錠	肺結核及びその他の結核症（小児に関する要望）	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-272	第一三共	リファンピシン	リファジンカプセル	肺結核及びその他の結核症の小児の用法・用量の追加	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-272	サンド	リファンピシン	リファンピシンカプセル「サンド」	肺結核及びその他の結核症の小児の用法・用量の追加	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第2回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
II-72	ファイザー	クリンダマイシン	ダラシン	トキソプラズマ脳症を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発防止	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
II-223	ファイザー	ホリナートカルシウム	ロイコボリン	トキソプラズマ脳症を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発防止	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

g. その他（1件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	治験計画届提出予定（予定月）	個別事情
II-183	グラクソ・スミスクライン	ピリメタミン	Daraprim	トキソプラズマ脳症を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発予防	―	平成29年8月、海外で治験届を提出

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの（6件）

＜第1回開発要請分（5件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
II-274	グラクソ・スミスクライン	レチガビン	未定	成人における部分発作（二次性全般化発作を含む）に対する併用療法	第21回 （平成26年10月10日）	開発企業が第Ⅰ相治験に着手したが、海外の副作用の発生状況等により試験が中止されたこと、海外で厳しい使用制限がかけられたこと等を踏まえ、要望者より、開発要望が取り下げられた
II-91	フレゼニウスカービジャパン	魚油由来ω3系静注用脂肪製剤	オメガベン	腸管不全(静脈栄養)関連肝障害と栄養状態の改善	第26回 （平成28年2月3日）	海外において腸管不全の適応に対する承認はなく、ガイドラインの記載もないため、第Ⅱ回要望における検討会議の検討対象外であったことから、要望者より、開発要望が取り下げられた
II-67	KMバイオロジクス	乾燥濃縮人アンチトロンビンⅢ	アンスロビンP	後天性アンチトロンビン欠乏症における血栓塞栓性合併症（Gestosis Index 6以上の妊娠高血圧症候群に限る）の治療	第36回 （平成30年10月17日）	新たな科学的知見が蓄積されたことや、当該疾患に対する考え方や治療戦略の変化を踏まえ、要望者より開発要望が取り下げられた
II-67	CSL ベーリング	乾燥濃縮人アンチトロンビンⅢ	アンスロビンP	後天性アンチトロンビン欠乏症における血栓塞栓性合併症（Gestosis Index 6以上の妊娠高血圧症候群に限る）の治療	第36回 （平成30年10月17日）	新たな科学的知見が蓄積されたことや、当該疾患に対する考え方や治療戦略の変化を踏まえ、要望者より開発要望が取り下げられた
II-127	ニプロESファーマ	チオペンタールナトリウム	ラボナール注射用	頭蓋内圧亢進症	第37回 （平成31年2月7日）	要望者において、当該疾患に対する考え方や治療戦略の変化を踏まえた検討が行われた結果、要望者より開発要望が取り下げられた

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
II-7	PDRファーマ	3-ヨードベンジルグアニジン（^{131}I）	ライアットMIBG-I131静注	甲状腺髄様癌	第52回 （令和4年8月31日）	開発要請時から医療環境の変化があったこと等を踏まえ、開発要請先企業より医療上の必要性の再検討の依頼がなされ、本会議において、再検討を行った結果、要請の取り下げが了承された。

資料4－5

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅲ回要望)(2025年8月29日時点)

1. 企業から提出された開発工程表に基づく情報

(単位:件)

	第1～11回開発要請分（2014～2017年度）	第12回開発要請分（2018年3月）	第13回開発要請分（2018年8月）	第14回開発要請分（2022年1月）	第15回開発要請分（2022年9月）	第16回開発要請分（2023年9月）	第17回開発要請分（2024年10月）	計
承認済み	38	3	1	0	0	0	0	42
承認申請済み	0	0	0	0	2	0	1	3
治験計画届提出済み	0	0	0	0	0	0	0	0
公知申請予定	1	0	0	0	0	1	0	2
治験計画届提出予定	0	0	0	0	0	0	0	0
その他	0	0	0	1	0	0	0	1
合計	39	3	1	1	2	1	1	48
開発要請取り下げ	8	0	0	0	0	0	0	8

2. 開発工程表の詳細な分類

a. 承認済みのもの、承認申請済みのもの、治験計画届提出済みのもの

（単位：件）

	第1～11回開発要請分（2014～2017年度）	第12回開発要請分（2018年3月）	第13回開発要請分（2018年8月）	第14回開発要請分（2022年1月）	第15回開発要請分（2022年9月）	第16回開発要請分（2023年9月）	第17回開発要請分（2024年10月）	計
承認済み	38	3	1	0	0	0	0	42
承認申請済み	0	0	0	0	2	0	1	3
治験計画届提出済み	0	0	0	0	0	0	0	0

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの

第1～11回開発要請分（2014～2017年度）	第12回開発要請分（2018年3月）	第13回開発要請分（2018年8月）	第14回開発要請分（2022年1月）	第15回開発要請分（2022年9月）	第16回開発要請分（2023年9月）	第17回開発要請分（2024年10月）	計
0	0	0	0	0	0	0	0

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの

第1～11回開発要請分（2014～2017年度）	第12回開発要請分（2018年3月）	第13回開発要請分（2018年8月）	第14回開発要請分（2022年1月）	第15回開発要請分（2022年9月）	第16回開発要請分（2023年9月）	第17回開発要請分（2024年10月）	計
0	0	0	0	0	0	0	0

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの

（単位：件）

第1～11回開発要請分（2014～2017年度）	第12回開発要請分（2018年3月）	第13回開発要請分（2018年8月）	第14回開発要請分（2022年1月）	第15回開発要請分（2022年9月）	第16回開発要請分（2023年9月）	第17回開発要請分（2024年10月）	計
0	0	0	0	0	0	0	0

e. 開発要請後半年以降に公知申請を予定するもの

第1～11回開発要請分（2014～2017年度）	第12回開発要請分（2018年3月）	第13回開発要請分（2018年8月）	第14回開発要請分（2022年1月）	第15回開発要請分（2022年9月）	第16回開発要請分（2023年9月）	第17回開発要請分（2024年10月）	計
1	0	0	0	0	1	0	2

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの

第1～11回開発要請分（2014～2017年度）	第12回開発要請分（2018年3月）	第13回開発要請分（2018年8月）	第14回開発要請分（2022年1月）	第15回開発要請分（2022年9月）	第16回開発要請分（2023年9月）	第17回開発要請分（2024年10月）	計
0	0	0	0	0	0	0	0

g. その他

（単位：件）

第1～11回開発要請分（2014～2017年度）	第12回開発要請分（2018年3月）	第13回開発要請分（2018年8月）	第14回開発要請分（2022年1月）	第15回開発要請分（2022年9月）	第16回開発要請分（2023年9月）	第17回開発要請分（2024年10月）	計
0	0	0	1	0	0	0	1

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの

第1～11回開発要請分（2014～2017年度）	第12回開発要請分（2018年3月）	第13回開発要請分（2018年8月）	第14回開発要請分（2022年1月）	第15回開発要請分（2022年9月）	第16回開発要請分（2023年9月）	第17回開発要請分（2024年10月）	計
8	0	0	0	0	0	0	8

3. 各医薬品の開発工程表の概要

a-0. 承認済みのもの（42件）

＜第1回開発要請分（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-①-13	ノバルティス　ファーマ	アルテメテル/ルメファントリン	リアメット配合錠	マラリア（成人）	2016年12月	
Ⅲ-①-14	ノバルティス　ファーマ	アルテメテル/ルメファントリン	リアメット配合錠	マラリア（小児）	2016年12月	
Ⅲ-①-11	武田薬品工業	テデュグルチド(遺伝子組換え)	レベスティブ皮下注用3.8mg	短腸症候群	2021年6月	

＜第2回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-①-44	ブリストル・マイヤーズ	パクリタキセル	タキソール注射液	胃癌に対する1週間間隔投与の用法・用量の追加	2015年9月	○

＜第3回開発要請分（7件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-①-34	高田製薬	コルヒチン	コルヒチン錠「タカタ」	家族性地中海熱	2016年9月	○
Ⅲ-①-54	田辺三菱製薬	バルガンシクロビル塩酸塩	バリキサ錠	サイトメガロウイルス感染症のリスクのある臓器移植後のサイトメガロウイルス感染予防・発症抑制（成人）	2016年8月	○
Ⅲ-①-21	中外製薬	オセルタミビルリン酸塩	タミフルドライシロップ	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症（新生児 、乳児）	2017年3月	○
Ⅲ-①-69	EAファーマ	ポリエチレングリコール	モビコール配合内用剤	慢性便秘症	2018年9月	○
Ⅲ-①-18	グラクソ・スミスクライン	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注用	既存治療で効果不十分又は既存治療が適さない神経因性膀胱による尿失禁	2019年12月	

Ⅲ-①-19	グラクソ・スミスクライン	A型ボツリヌス毒素	ボトックス注用	既存治療で効果不十分又は既存治療が適さない過活動膀胱における尿意切迫感、頻尿及び切迫性尿失禁	2019年12月	
Ⅲ-①-41	大塚製薬	トルバプタン	サムスカ錠	抗利尿ホルモン不適合分泌症候群（SIADH）における低ナトリウム血症の改善	2020年6月	

＜第4回開発要請分（6件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-①-26	中外製薬	カペシタビン	ゼローダ錠	直腸癌における補助化学療法	2016年8月	○
Ⅲ-①-61	大塚製薬	ブスルファン	ブスルフェクス点滴静注用	【用法・用量】他の抗悪性腫瘍薬との併用において，成人にはA法又はB法，小児には C法を使用する。なお，患者の状態により適宜減量する。 成人 A法：ブスルファンとして1回 0.8mg/kgを2時間かけて点滴静注する。本剤は6時間毎に1日4回，4日間投与する。 B法：ブスルファンとして1回 3.2 mg/kgを3時間かけて点滴静注する。本剤は1日1回，4日間投与する。 C法：ブスルファンとして以下の体重別の投与量を2時間かけて点滴静注する。本剤は6時間毎に1日4回，4日間投与する。 実体重　本剤投与量 [mg/kg] 9kg未満　1.0 9kg以上16kg未満　1.2 16kg以上23kg以下　1.1 23kg超34kg以下　0.95 34kg超　0.8	2018年9月	○
Ⅲ-①-76.1 Ⅲ-①-76.2	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン注	未治療のCD20陽性B細胞性非ホジキンリンパ腫治療に用いる場合の希釈調製濃度を海外の希釈調製濃度と統一し（用法・用量の変更）、90分間点滴静注に関する用法・用量に関連する使用上の注意を追加。	2020年12月	
Ⅲ-①-42	丸石製薬	ニトロプルシドナトリウム水和物	ニトプロ持続静注液6mg ニトプロ持続静注液30mg	急性心不全（慢性心不全の急性増悪期を含む）	2021年8月	○
Ⅲ-①-43	丸石製薬	ニトロプルシドナトリウム水和物	ニトプロ持続静注液6mg ニトプロ持続静注液30mg	高血圧性緊急症	2021年8月	○
Ⅲ-①-60	大塚製薬	ブスルファン	ブスルフェクス点滴静注用	小児の用法用量に関して1日1回投与の追加	2021年8月	○

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（9件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-13	CSL ベーリング	乾燥濃縮人 C1-インアクチベーター	ベリナートP静注用500	侵襲を伴う処置による遺伝性血管性浮腫の急性発作の発症抑制	2017年3月	○
Ⅲ-①-74	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン注	慢性特発性血小板減少性紫斑病	2017年6月	○
Ⅲ-③-24	第一三共	アセチルコリン塩化物	オビソート注射用	冠攣縮性狭心症が疑われる患者に対し、診断を確定するために施行する冠攣縮薬物誘発負荷試験時の冠動脈内投与	2017年8月	○
Ⅲ-①-22.1 Ⅲ-①-22.2	日本イーライリリー	オランザピン	ジプレキサ錠、ジプレキサ細粒、ジプレキサザイディス錠	抗悪性腫瘍剤投与に伴う消化器症状（悪心、嘔吐）	2017年12月	○
Ⅲ-③-25	共和薬品工業株式会社	ドブタミン塩酸塩	ドブトレックス注射液 ドブトレックスキット点滴静注用	当該薬剤を投与することにより、心臓の交感神経を刺激し、心筋収縮力を高め、潜在的な循環動態異常を顕在化させる	2018年9月	○
Ⅲ-③-10	アスペンジャパン	アザチオプリン	イムラン錠	自己免疫性肝炎	2019年2月	○
Ⅲ-③-10	田辺三菱製薬	アザチオプリン	アザニン錠	自己免疫性肝炎	2019年2月	○
Ⅲ-④-3	武田薬品工業	ミダゾラム	ブコラム口腔用液 2.5mg/5mg/7.5mg/10mg	（効能・効果） てんかん重積状態 （用法・用量） ミダゾラムとして、生後3 ヵ月以上1 歳未満には2.5 mg（生後6 ヵ月以下は医療機関内での投与に限定）、1 歳以上5 歳未満には5 mg、5 歳以上10 歳未満には7.5 mg、10 歳以上18 歳未満には10 mg を口腔内（歯茎と頬の間）に緩徐に注入する。なお、必要に応じて、1 回投与量を半量に分割して口腔内の左右に注入することもできる。	2020年9月	－
Ⅲ-③-23	日本歯科薬品	メピバカイン塩酸塩	スキャンドネストカートリッジ3%	歯科領域における伝達麻酔	2022年12月	○

＜第7回開発要請分（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-1.1 Ⅲ-③-1.2	ヤンセンファーマ	ボルテゾミブ	ベルケイド注射用	原発性マクログロブリン血症/リンパ形質細胞リンパ腫	2018年3月	○

Ⅲ-③-11 Ⅲ-③-26	第一三共	インドシアニングリーン	ジアグノグリーン注射用	血管及び組織の血流評価	2018年7月	○
Ⅲ-①-80	あすか製薬	レボチロキシンナトリウム	チラーヂンS静注液200μg	粘液水腫性昏睡、重症甲状腺機能低下症	2020年1月	

＜第8回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-④-4	ギリアド・サイエンシズ	ソホスブビル	ソバルディ錠	次のいずれかのC型慢性肝炎又はC型代償性肝硬変におけるウイルス血症の改善 1.セログループ2（ジェノタイプ2）の患者 2. セログループ1（ジェノタイプ1）又はセログループ2（ジェノタイプ2）のいずれにも該当しない患者 （下線部が今回追加部分）	2017年3月	

＜第9回開発要請分（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-④-19	日本メジフィジックス	フルデオキシグルコース（18F）	FDGスキャン注	大型血管炎の診断における炎症部位の可視化	2018年2月	○
Ⅲ-①-72 Ⅲ-①-72.2 Ⅲ-①-72.3	帝人ファーマ	ランレオチド酢酸塩	ソマチュリン皮下注	甲状腺刺激ホルモン産生下垂体腫瘍	2020年12月	－
Ⅲ-①-78	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン注　10mg/mL	既存治療で効果不十分なループス腎炎	2023年8月	○

＜第10回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-54 Ⅲ-④-22	MSD	テモゾロミド	テモダールカプセル テモダール点滴静注用	再発・難治性ユーイング肉腫	2019年2月	○
Ⅲ-④-20	中外製薬	ベバシズマブ（遺伝子組換え）	アバスチン点滴静注用	卵巣癌（1回10mg/kg（体重）を2週間間隔で投与する用法用量の追加）	2022年6月	○

＜第11回開発要請分（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請

Ⅲ-③-7	ヤクルト本社	オキサリプラチン	エルプラット点滴静注液50mg・同100mg・同200mgエルプラット点滴静注液50mg・同100mg・同200mg	小腸癌	2018年9月	○
Ⅲ-③-8	協和発酵キリン	フルオロウラシル	5-FU注250mg、5-FU注1000mg	小腸癌	2018年9月	○
Ⅲ－④－1	ファイザー	レボホリナートカルシウム	アイソボリン点滴静注用25 mg アイソボリン点滴静注用100 mg	小腸癌	2018年9月	○

＜第12回開発要請分（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-12	ファイザー	メトトレキサート	リウマトレックスカプセル2mg	局所療法で効果不十分な尋常性乾癬、関節症性乾癬、膿疱性乾癬、乾癬性紅皮症	2019年3月	○
Ⅲ-②-6,7	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注100mg リツキサン点滴静注500mg	腎移植における抗体関連型拒絶反応の治療	2023年12月	
Ⅲ-②-8,9	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注100mg リツキサン点滴静注500mg	抗ドナー抗体陽性腎移植における術前脱感作	2023年12月	

＜第13回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅲ-③-19	サノフィ	フルダラビンリン酸エステル	フルダラ静注用50 mg	再発又は難治性の下記疾患 急性骨髄性白血病 （下線部が今回追加部分）	2022年6月	○

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

a-1. 承認申請済みのもの（3件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
Ⅲ-①-49	ノバルティスファーマ	バシリキシマブ（遺伝子組換え）	シムレクト静注用20 mg	肝移植後の急性拒絶反応の抑制	○
Ⅲ-①-50	ノバルティスファーマ	バシリキシマブ（遺伝子組換え）	シムレクト小児用静注用10 mg	肝移植後の急性拒絶反応の抑制	○

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
Ⅲ-④-12	ファイザー株式会社	メトロニダゾール	アネメトロ点滴静注液500mg	嫌気性菌感染症、感染性腸炎、アメーバ赤痢（小児の用量の追加）	○

a-2. 治験計画届提出済みのもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

b. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しており、WGより公知申請が可能とされたもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

c. 公知申請を計画していたが、WGの結論により臨床試験の実施等が必要とされたもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの（2件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅲ-②-2	日本新薬	三酸化二ヒ素	トリセノックス点滴静注12mg	未治療の急性前骨髄球性白血病	2025年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅲ-①-73	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注100mg リツキサン点滴静注500mg	小児のCD20陽性のB細胞性非ホジキンリンパ腫（バーキットリンパ腫、前駆Bリンパ球性リンパ腫を含む）	2026年4月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第17回開発要請分（0件）＞

f. 開発要請後一年以内に治験計画届を提出するもの（0件）

＜第1回開発要請分（0件）＞
＜第2回開発要請分（0件）＞
＜第3回開発要請分（0件）＞
＜第4回開発要請分（0件）＞
＜第5回開発要請分（0件）＞
＜第6回開発要請分（0件）＞
＜第7回開発要請分（0件）＞
＜第8回開発要請分（0件）＞
＜第9回開発要請分（0件）＞
＜第10回開発要請分（0件）＞
＜第11回開発要請分（0件）＞
＜第12回開発要請分（0件）＞
＜第13回開発要請分（0件）＞
＜第14回開発要請分（0件）＞
＜第15回開発要請分（0件）＞
＜第16回開発要請分（0件）＞
＜第17回開発要請分（0件）＞

g. その他（1件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅲ-②-1	Swedish Orphan Biovitrum Japan	アナキンラ	キネレット皮下注100 mg シリンジ（予定）	クリオピリン関連周期性症候群	開発計画検討中

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの（8件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（5件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
Ⅲ-①-3	アッヴィ	cisatracurium besylate	Nimbex	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。（成人）	第25回 （平成27年10月14日）	開発要請先企業の開発権利等の状況に鑑み、要請の取り下げが了承された。
Ⅲ-①-4	アッヴィ	cisatracurium besylate	Nimbex	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。（小児）	第25回 （平成27年10月14日）	開発要請先企業の開発権利等の状況に鑑み、要請の取り下げが了承された。
Ⅲ-①-3	グラクソ・スミスクライン	cisatracurium besylate	Nimbex	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。（成人）	第27回 （平成28年5月18日）	国内の医療現場における類似薬の使用状況等を踏まえ、要望者より、開発要望が取り下げられた。
Ⅲ-①-4	グラクソ・スミスクライン	cisatracurium besylate	Nimbex	全身麻酔や集中治療室での鎮静の補助として骨格筋を弛緩させ、気管挿管や人工呼吸を円滑に実施できるようにする。（小児）	第27回 （平成28年5月18日）	国内の医療現場における類似薬の使用状況等を踏まえ、要望者より、開発要望が取り下げられた。
Ⅲ-①-12	デンツプライシロナ	アーティカイン塩酸塩・アドレナリン酒石酸水素塩	未定	歯科領域における浸潤麻酔又は伝達麻酔	第32回 （平成29年8月23日）	本邦における当該製品の他社における開発状況等を踏まえ、要望者より、開発要望が取り下げられた。

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
Ⅲ-②-10	セルジーン	レナリドミド水和物	レブラミドカプセル	再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫	第39回 （令和元年8月26日）	当該疾患に関する現在の治療環境 等を考慮して改めて検討を行った結果、要望者より、開発要望が取り下げられた。

＜第6回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
Ⅲ-②-3.1 Ⅲ-②-3.2	ムンディファーマ	Cytarabine liposomal	DepoCyt	悪性リンパ腫に伴う髄膜播種	第29回 （平成28年11月16日）	開発要請先企業の開発権利等の状況に鑑み、要請の取り下げが了承された。

＜第7回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
Ⅲ-④-21	武田薬品工業	recombinant human parathyroid hormone	未定	副甲状腺機能低下症	第57回 （令和5年11月29日）	開発要請先企業における製造状況、国内における類似薬の開発状況等を踏まえ、要望者より、開発要望が取り下げられた。

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

資料４－６

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅳ回要望)(2025年8月29日時点)

1. 企業から提出された開発工程表に基づく情報

（単位：件）

	第１～10回開発要請分（2016～2019年分）	第11～24回開発要請分（2020～2022年分）	第25～30回開発要請分（2023～2024年分）	第31回開発要請分（2025年２月）	第32回開発要請分（2025年４月）	第33回開発要請分（2025年５月）	計
承認済み	21	38	3	0	0	0	62
承認申請済み	1	4	2	0	0	0	7
治験計画届提出済み	0	3	1	0	0	0	4
公知申請予定	3	3	22	2	2	3	35
その他	0	0	1	0	0	2	3
合計	25	48	29	2	2	5	111
開発要請取り下げ	2	1	0	0	0	0	3

a-0. 承認済みのもの（62件）

＜第1回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-18	MSD	リバビリン	レベトールカプセル	ソホスブビルとの併用による次のいずれかのC型慢性肝炎又はC型代償性肝硬変におけるウイルス血症の改善 (1)セログループ2（ジェノタイプ2）の患者 (2)セログループ1（ジェノタイプ1）又はセログループ2（ジェノタイプ2）のいずれにも該当しない患者 （下線部が今回追加部分）	2017年3月	
Ⅳ-18	中外製薬	リバビリン	コペガス錠	ソホスブビルとの併用による以下のいずれかのC型慢性肝炎又はC型代償性肝硬変におけるウイルス血症の改善 (1)セログループ2（ジェノタイプ2）の患者 (2)セログループ1（ジェノタイプ1）又はセログループ2（ジェノタイプ2）のいずれにも該当しない患者 （下線部が今回追加部分）	2017年3月	

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
ⅣS-2 ⅣS-7	大正製薬	タウリン	タウリン散98%「大正」	ミトコンドリア脳筋症・乳酸アシドーシス・脳卒中様発作（MELAS）症候群における脳卒中様発作の抑制 ミトコンドリア脳筋症・乳酸アシドーシス・脳卒中様発作（MELAS）症候群における脳卒中様発作の抑制	2019年2月	
Ⅳ-19	日本新薬	Defibrotide	デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群 （肝中心静脈閉塞症）	2019年6月	

＜第4回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-1	クリニジェン	ホスカルネットナトリウム水和物	点滴静注用ホスカビル注 24 mg/mL	造血幹細胞移植後ヒトヘルペスウイルス 6 脳炎	2019年3月	○
Ⅳ-12	マルホ	メトロニダゾール	ロゼックスゲル0.75%	酒さ	2022年5月	○

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（6件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-46	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注100mg、同500mg	後天性血栓性血小板減少性紫斑病	2020年2月	○
Ⅳ-48	サノフィ	フルダラビンリン酸エステル	フルダラ静注用50 mg	再発又は難治性の下記疾患 急性骨髄性白血病 （下線部が今回追加部分）	2022年6月	○
Ⅳ-50	中外製薬	レノグラスチム（遺伝子組換え）	ノイトロジン注50μg，同注100μg，同注250μg	再発・難治性急性骨髄性白血病（小児）	2022年6月	○
Ⅳ-50	協和キリン	フィルグラスチム（遺伝子組換え）	グラン注射液75、同150、同M300 グランシリンジ75、同150、同M300	再発・難治性急性骨髄性白血病（小児）	2022年6月	○
Ⅳ-53	中外製薬	レノグラスチム（遺伝子組換え）	ノイトロジン注50μg，同注100μg，同注250μg	再発・難治性急性骨髄性白血病（成人）	2022年6月	○
Ⅳ-53	協和キリン	フィルグラスチム（遺伝子組換え）	グラン注射液75、同150、同M300 グランシリンジ75、同150、同M300	再発・難治性急性骨髄性白血病（成人）	2022年6月	○

＜第7回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-29	ファイザー	抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリン	アトガム点滴静注液	効能・効果：中等症以上の再生不良性貧血 用法・用量：通常、1日1回体重1 kgあたり抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリン抗体として40 mgを緩徐に点滴静注する。投与期間は4日間とする。	2023年3月	

＜第8回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-66	大塚製薬	ブスルファン	ブスルフェクス点滴静注用60mg	悪性リンパ腫における自家造血幹細胞移植の前治療	2020年3月	○
ⅣS-15	ノバルティスファーマ	オクトレオチド酢酸塩	サンドスタチン皮下注用50μg，同100μg	ジアゾキシド不応性先天性高インスリン血症に伴う低血糖症状の改善	2020年8月	○

＜第9回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-30	協和キリン	マイトマイシンC	マイトマイシン眼科外用液用2mg	緑内障観血的手術における補助	2022年12月	○

＜第10回開発要請分（5件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-51 Ⅳ-52	中外製薬	ミコフェノール酸　モフェチル	セルセプトカプセル250 セルセプト懸濁用散31.8%	造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制	2021年6月	○
Ⅳ-44	ファイザー	ソマトロピン（遺伝子組換え）	ジェノトロピンゴークイック注用12mg，同5.3mg，ジェノトロピンTC注用12mg，同5.3mg	プラダーウィリー症候群における体組成改善（成人）	2023年12月	
Ⅳ-45	ファイザー	ソマトロピン（遺伝子組換え）	ジェノトロピンゴークイック注用12mg，同5.3mg，ジェノトロピンTC注用12mg，同5.3mg	プラダーウィリー症候群における体組成改善（小児）	2023年12月	
Ⅳ-60	ファイザー	組織培養不活化ダニ媒介性脳炎ワクチン	タイコバック水性懸濁筋注0.5mL	ダニ媒介脳炎の予防	2024年3月	
Ⅳ-61	ファイザー	組織培養不活化ダニ媒介性脳炎ワクチン	タイコバック小児用水性懸濁筋注0.25mL	ダニ媒介脳炎の予防	2024年3月	

＜第11回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-59a	日本血液製剤機構	乾燥人フィブリノゲン	フィブリノゲンHT静注用1ｇ「JB」	産科危機的出血に伴う後天性低フィブリノゲン血症に対するフィブリノゲンの補充	2022年3月	○

＜第12回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-57	太陽ファルマ	グラニセトロン塩酸塩	カイトリル注1mg カイトリル注3mg カイトリル点滴静注バッグ3mg/50mL カイトリル点滴静注バッグ3mg/100mL	術後の消化器症状（悪心、嘔吐）	2022年2月	○

＜第13回開発要請分（9件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-73	丸石製薬	オンダンセトロン塩酸塩	オンダンセトロン注4mgシリンジ「マルイシ」	術後の消化器症状（悪心、嘔吐）（小児）	2022年2月	○
Ⅳ-89	丸石製薬	オンダンセトロン塩酸塩	オンダンセトロン注4mgシリンジ「マルイシ」	術後の消化器症状（悪心、嘔吐）（成人）	2022年2月	○
Ⅳ-63	ヤクルト本社	オキサリプラチン	エルプラット点滴静注液50mg・同100mg・同200mg	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	2023年3月	○
Ⅳ-64	協和キリン	フルオロウラシル	5-FU注250mg、5-FU注1000mg	【効能・効果】治癒切除不能な進行・再発の胃癌 【用法・用量】レボホリナート・フルオロウラシル持続静注併用療法 レボホリナートとして1回200 mg/m2（体表面積）を2時間かけて点滴静注する。レボホリナートの点滴静注終了直後にフルオロウラシルとして400 mg/m2（体表面積）を静注、さらにフルオロウラシルとして2400～3000 mg/m2（体表面積）を46時間持続静注する。これを2週間ごとに繰り返す。	2023年3月	○
Ⅳ-65	ファイザー	レボホリナートカルシウム水和物	アイソボリン点滴静注用25mg、アイソボリン点滴静注用100mg	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	2023年3月	○
Ⅳ-77	ファイザー	メチルプレドニゾロンコハク酸エステルナトリウム	ソル・メドロール静注用40mg、同125mg、同500mg、同1000mg	川崎病の急性期（重症であり，冠動脈障害の発生の危険がある場合）	2023年9月	○
Ⅳ-85	協和キリン	ロミプロスチム（遺伝子組換え）	ロミプレート皮下注250μg調製用	【効能・効果】慢性特発性血小板減少性紫斑病（小児に関する要望） 【用法・用量】ロミプロスチム（遺伝子組換え）として、初回投与量1 μg/kgを皮下投与する。投与開始後は血小板数、症状に応じて投与量を適宜増減し、週1回皮下投与する。また、最高投与量は週1回10 μg/kgとする。	2024年11月	○
Ⅳ-84	ノバルティスファーマ	エルトロンボパグ オラミン	レボレード錠12.5 mg、レボレード錠25 mg	慢性特発性血小板減少性紫斑病（小児）	2024年11月	○
Ⅳ-87	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注100mg リツキサン点滴静注500mg	小児の慢性特発性血小板減少性紫斑病	2024年11月	○

＜第14回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-82	第一三共	インドシアニングリーン	ジアグノグリーン注射用25mg	肝外胆管（肝門部領域胆管と遠位胆管）の描出	2023年9月	○

＜第15回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-43	あゆみ製薬	アセトアミノフェン	カロナール原末 カロナール細粒20%・同50% カロナール錠200・同300・同500	下記の疾患並びに症状の鎮痛 関節リウマチ	2023年2月	○
Ⅳ-55	あゆみ製薬	アセトアミノフェン	カロナール原末 カロナール細粒20%・同50% カロナール錠200・同300・同500	下記の疾患並びに症状の鎮痛 術後疼痛	2023年2月	○

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-74	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケプラ点滴静注500 mg	てんかん重積状態	2022年12月	○

＜第18回開発要請分（0件）＞

＜第19回開発要請分（14件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-123	あすか製薬	ヒト絨毛性性腺刺激ホルモン	ゴナトロピン注用5000単位	生殖補助医療における卵胞成熟及び黄体化	2022年8月	○
Ⅳ-123	富士製薬工業	ヒト絨毛性性腺刺激ホルモン	注射用HCG5,000単位「F」 注射用HCG10,000単位「F」	生殖補助医療における卵胞成熟及び黄体化	2022年8月	○
Ⅳ-123	持田製薬	ヒト絨毛性性腺刺激ホルモン	HCGモチダ注射用5千単位、同1万単位	生殖補助医療における卵胞成熟及び黄体化	2022年8月	○
Ⅳ-124	あすか製薬	ヒト絨毛性性腺刺激ホルモン	ゴナトロピン注用5000単位	一般不妊治療（体内での受精を目的とした不妊治療）における排卵誘発及び黄体化	2022年8月	○
Ⅳ-124	富士製薬工業	ヒト絨毛性性腺刺激ホルモン	注射用HCG5,000単位「F」 注射用HCG10,000単位「F」	一般不妊治療（体内での受精を目的とした不妊治療）における排卵誘発及び黄体化	2022年8月	○
Ⅳ-124	持田製薬	ヒト絨毛性性腺刺激ホルモン	HCGモチダ注射用5千単位、同1万単位	一般不妊治療（体内での受精を目的とした不妊治療）における排卵誘発及び黄体化	2022年8月	○
Ⅳ-125	あすか製薬	ヒト下垂体性性腺刺激ホルモン	HMG注用75単位「あすか」 HMG注用150単位「あすか」	生殖補助医療における調節卵巣刺激	2022年8月	○
Ⅳ-125	フェリング・ファーマ	ヒト下垂体性性腺刺激ホルモン	HMG注射用75IU「フェリング」、 HMG注射用150IU「フェリング」	生殖補助医療における調節卵巣刺激	2022年8月	○
Ⅳ-125	富士製薬工業	ヒト下垂体性性腺刺激ホルモン	HMG注射用75単位「F」 HMG注射用150単位「F」	生殖補助医療における調節卵巣刺激	2022年8月	○
Ⅳ-126	あすか製薬	精製下垂体性性腺刺激ホルモン	uFSH注用75単位「あすか」 uFSH注用150単位「あすか」	生殖補助医療における調節卵巣刺激	2022年9月	○
Ⅳ-126	富士製薬工業	精製下垂体性性腺刺激ホルモン	フォリルモンP注75 フォリルモンP注150	生殖補助医療における調節卵巣刺激	2022年9月	○
Ⅳ-128	ファイザー	ナファレリン酢酸塩水和物	ナサニール点鼻液0.2%	生殖補助医療における早発排卵の防止	2022年8月	○
Ⅳ-129	クリニジェン	ブセレリン酢酸塩	スプレキュア点鼻液0.15%	生殖補助医療における早発排卵の防止	2022年8月	○
Ⅳ-134	ノバルティスファーマ	レトロゾール	フェマーラ錠2.5mg	多嚢胞性卵巣症候群における排卵誘発	2022年9月	○

＜第20回開発要請分（7件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-127	日本化薬	セトロレリクス酢酸塩	セトロタイド注射用0.25mg	調節卵巣刺激下における早発排卵の防止	2022年9月	○
Ⅳ-130	富士製薬工業	クロミフェンクエン酸塩	クロミッド錠50mg	生殖補助医療における調節卵巣刺激	2022年9月	○
Ⅳ-131	マイランEPD	ジドロゲステロン	デュファストン錠5mg	生殖補助医療における黄体補充	2022年9月	○
Ⅳ-132	住友ファーマ	メトホルミン塩酸塩	メトグルコ錠250mg ／メトグルコ錠500mg	多嚢胞性卵巣症候群の排卵誘発 ただし、肥満、耐糖能異常、又はインスリン抵抗性のいずれかを呈する患者に限る。	2022年9月	○
Ⅳ-133	住友ファーマ	メトホルミン塩酸塩	メトグルコ錠250mg ／メトグルコ錠500mg	多嚢胞性卵巣症候群の生殖補助医療における調節卵巣刺激 ただし、肥満、耐糖能異常、又はインスリン抵抗性のいずれかを呈する患者に限る。	2022年9月	○
Ⅳ-135	ノバルティスファーマ	レトロゾール	フェマーラ錠2.5mg	原因不明不妊における排卵誘発	2022年9月	○
Ⅳ-136	ファイザー	カベルゴリン	カバサール錠0.25mg	生殖補助医療に伴う卵巣過剰刺激症候群の発症抑制	2022年9月	○

＜第21回開発要請分（0件）＞

＜第22回開発要請分（0件）＞

＜第23回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-97	クリニジェン	カルボプラチン	パラプラチン注射液50 mg、同150 mg、同450 mg	子宮体癌	2024年6月	○

＜第24回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-94 Ⅳ-141	塩野義製薬	シクロホスファミド水和物	注射用エンドキサン100 mg 注射用エンドキサン500 mg	造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制	2024年2月	○

＜第25回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
Ⅳ-40	中外製薬	ミコフェノール酸モフェチル	セルセプトカプセル 250 セルセプト懸濁用散 31.8%	強皮症に伴う間質性肺疾患の増悪抑制、改善	2024年6月	○

＜第26回開発要請分（0件）＞

＜第27回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	承認年月	公知申請
IV-70	ギリアド・サイエンシズ	エムトリシタビン200 mg及びテノホビルジソプロキシルフマル酸塩300 mg（テノホビルジソプロキシルとして245 mg）	ツルバダ配合錠	HIV-1感染症の曝露前予防	2024年8月	○
IV-155	アッヴィ合同会社	アダリムマブ（遺伝子組換え）	ヒュミラ皮下注40mgシリンジ0.4mL ヒュミラ皮下注80mgシリンジ0.8mL ヒュミラ皮下注40mgペン0.4mL ヒュミラ皮下注80mgペン0.8mL	X線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎の効能追加	2025年2月	○

＜第28回開発要請分（0件）＞

＜第29回開発要請分（0件）＞

＜第30回開発要請分（0件）＞

＜第31回開発要請分（0件）＞

＜第32回開発要請分（0件）＞

＜第33回開発要請分（0件）＞

a-1. 承認申請済みのもの（7件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
Ⅳ-27	藤本製薬	ケノデオキシコール酸	フジケノン粒状錠125	脳腱黄色腫症	

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
Ⅳ-59b	日本血液製剤機構	乾燥人フィブリノゲン	フィブリノゲンHT静注用1g「JB」	心臓血管外科手術における出血に伴う後天性低フィブリノゲン血症に対するフィブリノゲンの補充	○

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

＜第18回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
Ⅳ-5	丸石製薬	ミダゾラム	ドルミカムシロップ2mg／mL	麻酔前投薬	

＜第19回開発要請分（0件）＞

＜第20回開発要請分（0件）＞

＜第21回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
Ⅳ-80	Swedish Orphan Biovitrum Japan	アナキンラ	キネレット皮下注100 mg シリンジ（予定）	成人スチル病	
Ⅳ-81	Swedish Orphan Biovitrum Japan	アナキンラ	キネレット皮下注100 mg シリンジ（予定）	全身型若年性特発性関節炎	

＜第22回開発要請分（0件）＞

＜第23回開発要請分（0件）＞

＜第24回開発要請分（0件）＞

＜第25回開発要請分（0件）＞

＜第26回開発要請分（0件）＞

＜第27回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
IVS-27	中外製薬	ミコフェノール酸モフェチル	セルセプトカプセル250 セルセプト懸濁用散31.8%	難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）に対するリツキシマブ治療後の寛解維持療法	○

＜第28回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
IV-168 IV-169	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注100mg リツキサン点滴静注500mg	広義の自己免疫性溶血性貧血（温式、冷式を含む）	○

＜第29回開発要請分（0件）＞

＜第30回開発要請分（0件）＞

＜第31回開発要請分（0件）＞

＜第32回開発要請分（0件）＞

＜第33回開発要請分（0件）＞

a-2. 治験計画届提出済みのもの（4件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅳ-2	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注100mg リツキサン点滴静注500mg	既存治療で効果不十分な関節リウマチ	

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅳ-62	日本メダック	ロムスチン（CCNU）	未定	神経膠腫	

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

＜第18回開発要請分（0件）＞

＜第19回開発要請分（0件）＞

＜第20回開発要請分（0件）＞

＜第21回開発要請分（0件）＞

＜第22回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅳ-18	サンファーマ	イソトレチノイン (isotretinoin, 13-cis-retinoic acid)	未定	高リスク神経芽腫の維持療法	

＜第23回開発要請分（0件）＞

＜第24回開発要請分（0件）＞

＜第25回開発要請分（0件）＞

＜第26回開発要請分（0件）＞

＜第27回開発要請分（0件）＞

＜第28回開発要請分（0件）＞

＜第29回開発要請分（0件）＞

＜第30回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅳ-183	ノーベルファーマ	Naxitamab-gqgk [Naxitamab、ナキシタマブ]	DANYELZA	再発/難治性高リスク神経芽腫	

＜第31回開発要請分（0件）＞

＜第32回開発要請分（0件）＞

＜第33回開発要請分（0件）＞

d. 開発要請後半年以内に公知申請を予定しているが、WGが検討中であるもの（5件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

＜第18回開発要請分（0件）＞

＜第19回開発要請分（0件）＞

＜第20回開発要請分（0件）＞

＜第21回開発要請分（0件）＞

＜第22回開発要請分（0件）＞

＜第23回開発要請分（0件）＞

＜第24回開発要請分（0件）＞

＜第25回開発要請分（0件）＞

＜第26回開発要請分（0件）＞

＜第27回開発要請分（0件）＞

＜第28回開発要請分（0件）＞

＜第29回開発要請分（0件）＞

＜第30回開発要請分（0件）＞

＜第31回開発要請分（0件）＞

＜第32回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 （予定月）
IV-144	サノフィ株式会社	フルダラビンリン酸エステル	フルダラ静注用50mg	同種造血幹細胞移植の前治療	2025年11月
IV-145	サノフィ株式会社	フルダラビンリン酸エステル	フルダラ静注用50mg	同種造血幹細胞移植の前治療(小児)	2025年11月

＜第33回開発要請分（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定 （予定月）
IV-189	高田製薬株式会社	コルヒチン	コルヒチン錠 0.5mg「タカタ」	ベーチェット病	未定
IV-197	アルフレッサファーマ株式会社	イリノテカン塩酸塩水和物	トポテシン点滴静注40mg,100mg	再発・難治性神経芽腫	未定
IV-203	バイエル薬品株式会社	モキシフロキサシン塩酸塩	アベロックス錠 400mg	適応菌種：モキシフロキサシン塩酸塩に感性の多剤耐性結核菌 適応症：多剤耐性肺結核	未定

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの（30件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅳ-25	チェプラファーム中外製薬	カペシタビン	ゼローダ錠	膵神経内分泌腫瘍	2026年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-26	大原薬品工業	テモゾロミド	テモダールカプセル	膵神経内分泌腫瘍	2026年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
ⅣS-8	中外製薬	ベバシズマブ（遺伝子組換え）	アバスチン点滴静注用100mg/4mL アバスチン点滴静注用400mg/16mL	脳放射線壊死に起因する脳浮腫	2027年3月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅳ-71	チェプラファーム株式会社	トレチノイン	ベサノイドカプセル10mg	急性前骨髄球性白血病	2026年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

baier

＜第16回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅳ-39	住友ファーマ	チオテパ	リサイオ点滴静注液100 mg	中枢神経系原発リンパ腫	2026年5月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第17回開発要請分（0件）＞

＜第18回開発要請分（0件）＞

＜第19回開発要請分（0件）＞

＜第20回開発要請分（0件）＞

＜第21回開発要請分（0件）＞

＜第22回開発要請分（0件）＞

＜第23回開発要請分（0件）＞

＜第24回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅳ-112 Ⅳ-140	ファイザー	メトトレキサート	注射用メソトレキセート5mg／ 注射用メソトレキセート50mg	同種造血細胞移植時の移植片対宿主病の抑制	2025年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第25回開発要請分（5件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅳ-160	ファイザー	メトトレキサート	メソトレキセート点滴静注液200mg／メソトレキセート点滴静注液1000mg	中枢神経系原発リンパ腫	2026年5月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-161	日本新薬	シタラビン	キロサイドN注 400mg、 キロサイドN注1g	中枢神経系原発リンパ腫	2026年5月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-162	全薬工業	リツキシマブ（遺伝子組換え）	リツキサン点滴静注100mg リツキサン点滴静注500mg	中枢神経系原発リンパ腫に対するMATRixレジメン	2026年5月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-106	バイエル薬品	レゴラフェニブ水和物	スチバーガ錠40mg	再発・難治性骨肉腫	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-111	バイエル薬品	レゴラフェニブ水和物	スチバーガ錠40mg	再発・難治性骨肉腫	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第26回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
IVS-21	第一三共	インドシアニングリーン	ジアグノグリーン注射用25mg	リンパ管、リンパ節のリンパ流状態観察（赤外線照射時の蛍光測定による）	2025年9月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第27回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
IV-157	ユーシービージャパン	レベチラセタム	イーケプラ点滴静注500 mg	てんかん重積状態 （小児用量の追加）	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第28回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
IV-117	第一三共	インドシアニングリーン	ジアグノグリーン注射用25mg	次の疾患におけるセンチネルリンパ節の同定 子宮体がん	2025年9月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
IV-118	第一三共	インドシアニングリーン	ジアグノグリーン注射用25mg	次の疾患におけるセンチネルリンパ節の同定 子宮頸がん	2025年9月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第29回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅳ-75	ノバルティスファーマ	イマチニブメシル酸塩	グリベック錠100mg	隆起性皮膚線維肉腫	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-122	日本イーライリリー	ゲムシタビン塩酸塩	ジェムザール注射用200mg ジェムザール注射用1g	①局所進行上咽頭癌に対する導入化学療法 ②再発又は遠隔転移を有する上咽頭癌に対する化学療法	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第30回開発要請分（11件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅳ-83	サノフィ	アレムツズマブ（遺伝子組換え）	マブキャンパス点滴静注30mg	T細胞性前リンパ球性白血病	2025年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-92	ヤクルト本社	オキサリプラチン	エルプラット点滴静注液50mg、同100mg、同200mg	再発・難治性非ホジキンリンパ腫	2025年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-137	大原薬品工業	テモゾロミド	テモダールカプセル20 mg テモダールカプセル100 mg テモダール点滴静注用100 mg	再発・難治性神経芽腫	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-158	大原薬品工業	テモゾロミド	テモダールカプセル20 mg テモダールカプセル100 mg テモダール点滴静注用100 mg	悪性下垂体腺腫（下垂体癌と難治性下垂体腺腫*） *標準治療（外科手術、薬物治療、放射線治療）に抵抗性で再発を繰り返す下垂体腺腫	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-159	サノフィ	ドセタキセル水和物	タキソテール点滴静注用80mg／タキソテール点滴静注用20mg ワンタキソテール点滴静注20mg/1mL／ワンタキソテール点滴静注80mg/4mL	乳癌	2025年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-171	ヤクルト本社	オキサリプラチン	エルプラット点滴静注液50mg、同100mg、同200mg	膵癌	2025年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-172	アルフレッサ ファーマ ヤクルト本社	イリノテカン塩酸塩水和物	トポテシン点滴静注40mg、同100mg	膵癌	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-173	協和キリン	フルオロウラシル	5-FU注250mg、5-FU注1000mg	膵癌	2025年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-174	ファイザー	レボホリナートカルシウム水和物	アイソボリン点滴静注用25mg アイソボリン点滴静注用100mg	膵癌	2025年11月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-179	ノバルティスファーマ	トラメチニブ　ジメチルスルホキシド付加物	メキニスト錠0.5mg，同錠2mg	がん化学療法後に増悪した低異型度漿液性卵巣癌	2025年9月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
ⅣS-25	サンドファーマ	メルファラン	－	網膜芽細胞腫	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第31回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請予定（予定月）	個別事情	WGの検討状況
Ⅳ-177	日本メジフィジックス	フルデオキシグルコース（^{18}F）	FDGスキャン注	不明熱の原因部位の可視化 （38℃以上の発熱が3 週間以上続き、一連の診療でも発熱の原因部位が不明な場合に利用）	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-185	中外製薬	エポエチン ベータ ペゴル（遺伝子組換え）	ミルセラ注シリンジ 12.5 μg，同 25 μg，同 50 μg，同 75 μg，同 100 μg，同 150 μg，同 200 μg，同 250 μg	生後3 か月以上の小児における腎性貧血	2026年3月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

＜第32回開発要請分（0件）＞

＜第33回開発要請分（0件）＞

g. その他（3件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（0件）＞

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

＜第17回開発要請分（0件）＞

＜第18回開発要請分（0件）＞

＜第19回開発要請分（0件）＞

＜第20回開発要請分（0件）＞

＜第21回開発要請分（0件）＞

＜第22回開発要請分（0件）＞

＜第23回開発要請分（0件）＞

＜第24回開発要請分（0件）＞

＜第25回開発要請分（0件）＞

＜第26回開発要請分（0件）＞

＜第27回開発要請分（0件）＞

＜第28回開発要請分（0件）＞

＜第29回開発要請分（0件）＞

＜第30回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
IV-190	MSD	ペムブロリズマブ（遺伝子組換え）	キイトルーダ®点滴静注100mg	がん化学療法後に増悪した絨毛性腫瘍（絨毛癌＊、PSTT、ETT） ＊臨床的絨毛癌、high-risk GINを含む	海外臨床試験の結果を利用した申請を検討予定

＜第31回開発要請分（0件）＞

＜第32回開発要請分（0件）＞

＜第33回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
Ⅳ-72	フレゼニウスカービジャパン株式会社	魚油由来静脈注射用脂肪乳剤（精製魚油エマルジョン）	Omegaven	小児静脈栄養関連胆汁うっ滞における栄養補給	東北大学による医師主導治験の結果を評価した後に再検討を行う。
IV-202	ヴィアトリス製薬合同会社	プレトマニド	Preatomanid, DOVPRELA	適応菌種：多剤耐性結核菌 適応症：多剤耐性肺結核	治験を実施することなく海外試験データ等に基づく承認申請の受け入れについて対面助言を行った上で承認申請することを検討中

h. 企業が開発を実施していたが、開発要請が取り下げられたもの（3件）

＜第1回開発要請分（0件）＞

＜第2回開発要請分（0件）＞

＜第3回開発要請分（0件）＞

＜第4回開発要請分（0件）＞

＜第5回開発要請分（0件）＞

＜第6回開発要請分（0件）＞

＜第7回開発要請分（0件）＞

＜第8回開発要請分（0件）＞

＜第9回開発要請分（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
Ⅳ-67	サノフィ	ドセタキセル水和物	タキソテール点滴静注用80mg タキソテール点滴静注用20mg ワンタキソテール点滴静注20mg/1mL ワンタキソテール点滴静注80mg/4mL	進行悪性軟部肉腫	第52回 （令和4年8月31日）	要望の効能効果を適切にして再提出を希望するため、要望者より開発要望が取り下げられた
Ⅳ-68	日本イーライリリー	ゲムシタビン塩酸塩	ジェムザール注射用200mg、同注射用1g	進行悪性軟部肉腫	第52回 （令和4年8月31日）	要望の効能効果を適切にして再提出を希望するため、要望者より開発要望が取り下げられた

＜第10回開発要請分（0件）＞

＜第11回開発要請分（0件）＞

＜第12回開発要請分（0件）＞

＜第13回開発要請分（0件）＞

＜第14回開発要請分（0件）＞

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	開発要請 取り下げ時期	個別事情
Ⅳ-69	藤本製薬	サリドマイド	サレドカプセル25、 サレドカプセル50、 サレドカプセル100	未治療多発性骨髄腫	第53回 （令和4年12月21日）	本邦における下記の適応外薬の治療体系や医療環境に変更が生じたため、要望者より開発要望が取り下げられた

＜第17回開発要請分（0件）＞
＜第18回開発要請分（0件）＞
＜第19回開発要請分（0件）＞
＜第20回開発要請分（0件）＞
＜第21回開発要請分（0件）＞
＜第22回開発要請分（0件）＞
＜第23回開発要請分（0件）＞
＜第24回開発要請分（0件）＞
＜第25回開発要請分（0件）＞
＜第26回開発要請分（0件）＞
＜第27回開発要請分（0件）＞
＜第28回開発要請分（0件）＞
＜第29回開発要請分（0件）＞
＜第30回開発要請分（0件）＞
＜第31回開発要請分（0件）＞
＜第32回開発要請分（0件）＞
＜第33回開発要請分（0件）＞

資料５

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議での検討結果を受けて開発企業の募集を行った医薬品のリスト（2025年8月29日時点）

○ 下表の医薬品については、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で医療上の必要性が高いという評価を得て、開発企業の募集を行った医薬品のリストです。

○ 開発企業の募集又は開発要請の取扱いについては、「開発要請先企業の指定の考え方について」（参考資料4−2）に基づいて決定しています。

＜第Ｉ回要望募集＞

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	フェニル酪酸ナトリウム	尿素サイクル異常症	シミックホールディングス（株）	承認済
2	デクスラゾキサン	アントラサイクリン系薬剤静脈内投与による血管外漏出	キッセイ薬品工業(株)	承認済
3	ベタイン	ホモシスチン尿症	（株）レクメド	承認済
4	メトロニダゾール	静注剤の剤形追加、嫌気性菌感染症、アメーバ赤痢	ファイザー（株）	承認済
5	ホメピゾール	エチレングリコール中毒、及びメタノール中毒の治療	武田薬品工業（株）	承認済
6	ニチシノン	チロシン血症Ｉ型	アステラス製薬(株)	承認済
7	メチレンブルー	薬剤性のメトヘモグロビン血症	第一三共(株)	承認済
8	コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	注射剤の剤形追加 ＜適応菌種＞ 多剤耐性緑膿菌（MDRP）、多剤耐性アシネトバクター属、その他の多剤耐性グラム陰性菌 ＜適応症＞ 多剤耐性グラム陰性菌による各種感染症	グラクソ・スミスクライン（株）	承認済
9	プロゲステロン	経腟剤の剤形追加、体外受精−胚移植（IVF−ET）の際の黄体補充	富士製薬工業（株）	承認済
10	亜セレン酸ナトリウム	セレン欠乏症により生じる重篤な視力障害、神経障害、心筋障害、毛髪変化の改善	藤本製薬（株）	承認済
11	ハイドロモルフォン塩酸塩	癌性疼痛の軽減	第一三共プロファーマ(株)	承認済
12	カルグルミック酸	N−アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症	(株)ポーラファルマ	承認済
13	プロゲステロン	経口剤の剤形追加、子宮非摘出閉経女性におけるホルモン補充療法（HRT）の補助	富士製薬工業（株）	承認済
14	モルヒネ塩酸塩水和物	中等度から高度の疼痛をともなう各種癌における鎮痛及び難治性慢性疼痛に対する鎮痛における体内植え込み型薬剤投与ポンプを用いた脊髄くも膜下腔内持続投与	武田薬品工業（株） 日本メドトロニック（株）※	承認済
15	コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	吸入用製剤の剤形追加、膵嚢胞線維症の気道感染症	あり（企業名未公表）	未公表
16	ナフシリン	ペニシリナーゼ産生ブドウ球菌による感染症	あり（企業名未公表）	未公表

※ 令和2年2月12日開催の第40回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議にて、日本メドトロニック社にて医療機器開発として進めることについて了承が得られ、日本メドトロニック社により申請され、承認済み。

＜第Ⅱ回要望募集＞

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	ヒスタミン二塩酸塩	アレルギー皮膚テスト実施時の陽性コントロールとして使用する（成人）	日本たばこ産業(株) 鳥居薬品(株)	承認済
2	ヒスタミン二塩酸塩	アレルギー皮膚テスト実施時の陽性コントロールとして使用する（小児）	日本たばこ産業(株) 鳥居薬品(株)	承認済
3	メサコリン塩化物	気管支喘息の診断（成人）	(株)三和化学研究所	承認済
4	メサコリン塩化物	気管支喘息の診断（小児）	参天製薬(株)	承認済
5	メチロシン	褐色細胞腫	小野薬品工業（株）	承認済
6	カルグルミック酸	イソ吉草酸血症、メチルマロン酸血症、プロピオン酸血症における高アンモニア血症の改善	(株)ポーラファルマ	承認済
7	スルファジアジン	トキソプラズマ脳炎を含む重症トキソプラズマ症の治療および再発予防	ノバルティスファーマ（株）	開発計画検討中
8	ジメチルスルホキシド	間質性膀胱炎	杏林製薬（株）	承認済
9	ペガデマーゼ	アデノシン・デアミナーゼ（ADA）欠損症に対する酵素補充療法	帝人ファーマ(株)	承認済
10	イブプロフェン　リジン塩	早産児動脈管開存症	千寿製薬(株)	承認済
11	3-ヨードベンジルグアニジン(^{131}I)	褐色細胞腫	富士フイルム富山化学（株）	承認済
12	チオテパ	下記疾患の自家造血幹細胞移植における前治療 悪性リンパ腫（ブスルファンとの併用）	大日本住友製薬（株）	承認済
13		下記疾患の自家造血幹細胞移植における前治療 小児固形癌（メルファランとの併用）		承認済

＜第Ⅲ回要望募集＞

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	ヒト合成セクレチン	ガストリノーマ診断のためのガストリン分泌刺激	なし	
2	ヒト合成セクレチン	膵外分泌機能検査における膵液分泌刺激	なし	
3	イベルメクチン	アタマジラミ症（小児）	科研製薬（株）	治験実施中

＜第Ⅳ回要望募集＞

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	Carbidopa/levodopa, 1:4（徐放性製剤）	パーキンソン病の治療	大原薬品工業（株）	治験実施中
2	ヘリウム酸素混合ガス	気道狭窄に伴う呼吸不全の改善	エア・ウォーター（株）	治験実施中
3	ミダゾラム	麻酔前投薬	丸石製薬（株）	承認申請済
4	β-グルクロニダーゼ	ムコ多糖症Ⅶ型に見られる諸症状の改善	アミカス・セラピューティクス（株）	承認済
5	コール酸	先天性胆汁酸代謝異常症	（株）レクメド	承認済
6	オンダンセトロン塩酸塩	術後の悪心・嘔吐の予防及び治療	丸石製薬（株）	承認済
7	Angiotensin Ⅱ	敗血症性ショックや他の血管拡張性ショック患者に対する、血管収縮作用を介した血圧上昇効果	なし	
8	イソトレチノイン	高リスク神経芽腫の維持療法	サンファーマ（株）	治験実施中
9	Doxylamine succinate／Pyridoxine hydrochloride	妊娠時の悪心・嘔吐	なし	
10	リドカイン	帯状疱疹後神経痛に伴う疼痛の緩和	東洋製薬化成（株）	治験実施中

＜ドラッグ・ロス解消に向けた取組＞

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	開発状況
1	artesunate	成人および小児の重症マラリアの治療	J-ENTRY Consortium	未公表
2	lefamulin acetate	細菌性の市中肺炎（CABP）の治療	なし	
3	omadacycline tosylate	細菌性肺炎、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症	なし	
4	obiltoxaximab	吸入炭疽の治療と予防	J-ENTRY Consortium	未公表
5	avapritinib	成人の切除不能または転移性の消化管間質腫瘍（GIST）で、血小板由来増殖因子受容体α（PDGFRA）エクソン18に特定の変異（D842V）を有する症例	なし	

※開発に向けた検討依頼品目について

○ 下表の医薬品については、開発企業の募集と併せて、開発に向けた検討依頼先となる企業に対して、その検討を依頼した医薬品のリストです。

＜第Ⅳ回要望募集＞

No.	医薬品名	対象疾病	検討依頼先企業	開発状況
1	Carbidopa/levodopa, 1:4（徐放性製剤）	パーキンソン病の治療	大原薬品工業（株）	治験実施中
2	Carbidopa/levodopa, 1:4（徐放性製剤）	パーキンソン病の治療	MSD(株)	検討中
3	ミダゾラム	麻酔前投薬	丸石製薬（株）	承認申請済
4	ミダゾラム	麻酔前投薬	アルフレッサファーマ（株）	検討中
5	オンダンセトロン塩酸塩	術後の悪心・嘔吐の予防及び治療	丸石製薬（株）	承認済
6	オンダンセトロン塩酸塩	術後の悪心・嘔吐の予防及び治療	富士製薬工業（株）	※1
7	オンダンセトロン塩酸塩	術後の悪心・嘔吐の予防及び治療	サンド（株）	※1
8	イソトレチノイン	高リスク神経芽腫の維持療法	サンファーマ（株）	治験実施中
9	イソトレチノイン	高リスク神経芽腫の維持療法	ヴィアトリス・ヘルスケア合同会社	検討中
10	リドカイン	帯状疱疹後神経痛に伴う疼痛の緩和	サンドファーマ（株）	検討中
11	リドカイン	帯状疱疹後神経痛に伴う疼痛の緩和	帝國製薬（株）	検討中

※1 丸石製薬（株）が同要望に対する製造販売承認を取得したため、本検討会議のスキームに則った開発は不要。

ドラッグ・ロス86品目グループBの対応状況について

資料６

以下の品目について、最新の状況を調査した結果、**海外承認が取り下げられておりドラッグ・ロス品目ではなくなっている**、もしくは**既に未承認薬検討会議において医療上の必要性を評価済みである**ことが確認されたため、未承認薬検討会議への上程を不要としたい。

海外承認取り下げ済みの品目

販売名	成分名（一般名）	効能・効果	備考
ZULRESSO※	ブレキサノロン	産後うつ病 (PPD)	FDAで承認取り下げ（EMAを含む他の国での承認なし）
BEVYXXA	ベトリキサバン	静脈血栓塞栓症	FDAで承認取り下げ（EMAを含む他の国での承認なし）

※グループAに分類された品目だが、学会からの医療ニーズ調査に関する回答提出が遅れたため、
令和７年度「未承認薬等迅速解消促進調査事業」において情報を整理することとした。

既に医療上の必要性を評価済みの品目

販売名	成分名（一般名）	効能・効果	備考
DANYELZA	ナキシタマブ	神経芽細胞腫	既に要望書（IV-183）が提出されており、ノーベルファーマに開発要請済み（令和６年11月７日）
GIAPREZA	アンジオテンシン II	敗血症患者への血管収縮剤	既に要望書（IV-93）が提出されており、開発企業を募集中（令和２年10月12日）

ドラッグ・ロス86品目グループBの対応状況について

以下の品目については、平時において日本国内に患者がいない、もしくは患者数が少ないために企業が治験を実施して薬事承認を取得することが極めて困難であることから、未承認薬検討会議における医療上の必要性の評価、及び企業への開発要請・開発企業の公募は行わず、**有効性・安全性を確認するための特定臨床研究・医師主導治験等の体制を構築する**こととしたい。

特定臨床研究・医師主導治験等の体制を構築する品目

販売名	成分名（一般名）	効能・効果
LAMPIT	ニフルチモックス	シャーガス病
BENZNIDAZOLE	ベンズニダゾール	シャーガス病
EGATEN	トリクラベンダゾール	肝蛭症

参考資料　1

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」開催要綱

厚生労働省医政局研究開発政策課
厚生労働省医薬局医薬品審査管理課

1．目的

○　国内では承認されていない医薬品や適応（以下「未承認薬・適応外薬」という。）について、
① 欧米での承認実績や論文等で公表された優れた試験成績等のエビデンスに基づいて医療上の必要性を評価するとともに、
② 公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認すること、
③ また、これまでに得られている治験薬のエビデンスに基づき、既存の治療薬がない及び対象とする疾患の重篤性の観点から、人道的見地から実施される治験への該当性について確認すること、
④ 特定の用途における医療上のニーズが著しく充足されていないこと及びその用途の使用価値を評価すること
等により、製薬企業による未承認薬・適応外薬の開発を促進するとともに、新薬の開発を阻害することなく、新たな革新的な新薬による治療機会の改善に資することを目的とする。

2．検討事項

（1）医療上の必要性
・生命に重大な影響がある疾患である等、適応疾患が重篤であること
・当該疾患に係る既存の療法が国内にない等、医療上の有用性があること
のいずれにも該当するか否かを検討する。

（2）公知申請への該当性及び追加実施が必要な試験
医療上の必要性が高いと評価された未承認薬・適応外薬について、公知申請への該当性や承認申請のために追加で実施が必要な試験の妥当性を確認する。

（3）人道的見地から実施される治験への制度該当性の確認
新たに開始の要望がある人道的見地から実施される治験について、その制度該当性基準である生命に重大な影響がある重篤な疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない未承認又は適応外の治療薬であることへの該当性を確認する。

（4）特定用途医薬品への該当性
開発が要望又は提案された特定用途医薬品の候補となる医薬品について、特定用途医薬品の指定基準への該当性を評価する。

（5）その他
製薬企業が開発を行う医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬について、定期的に開発進捗状況を確認する。
その他、必要な事項の検討を行う。

3．構成員

○　検討会議は、薬物療法に関する医学的・薬学的な学識経験を有する者で構成し、各疾患領域に対応する。
○　検討会議は、構成員のうち１人を座長として選出する。

4．運営

○　検討会議は、年４回を目途に開催するが、必要に応じて随時開催することができる。
○　検討会議は、知的財産権等に係る事項を除き、原則公開するとともに、議事録を作成・公表する。
○　検討会議は、検討事項について具体的な調査を行うため、各疾患領域に係る専門家からなる専

門作業班会議を開催することができる。

５．庶務

○　検討会議の庶務は医薬局医薬品審査管理課が行い、医政局研究開発政策課及び保険局医療課がこれに協力する。

参考資料　2

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」構成員

○座長

五十嵐　隆　　国立成育医療研究センター　理事長
伊藤　　美千穂　国立医薬品食品衛生研究所　生薬部　部長
岩田　　敏　　熊本大学　特任教授
大江　　裕一郎　医療法人財団慈生会野村病院
北風　　政史　　医療法人錦秀会　阪和病院・阪和記念病院　統括院長・総長
○康　　勝好　　埼玉県立小児医療センター　副病院長
崔　　吉道　　金沢大学附属病院　教授・薬剤部長
志賀　　剛　　東京慈恵会医科大学臨床薬理学　教授
田村　　研治　　島根大学医学部附属病院 腫瘍内科 / 先端がん治療センター　教授
田村　　直人　　順天堂大学　膠原病内科　主任教授
戸高　　浩司　　九州大学病院　ARO 次世代医療センター　センター長・教授
中村　　秀文　　国立研究開発法人国立成育医療研究センター　研究開発監理部　開発企画主幹
平林　　容子　　国立医薬品食品衛生研究所安全性生物試験研究センター　センター長
松本　　哲哉　　国際医療福祉大学医学部感染症学講座　主任教授
宮川　　政昭　　日本医師会　常任理事
村島　　温子　　妊娠と薬情報研究会　理事長
柳原　　克紀　　長崎大学大学院医歯薬学総合研究科病態解析・診断学（臨床検査医学）　教授
山口　　拓洋　　東北大学大学院医学系研究科医学統計学分野　教授
横谷　　進　　福島県立医科大学 放射線医学県民健康管理センター 特任教授
渡邊　　衡一郎　杏林大学医学部　精神神経科学教室　教授

（※他の専門分野は、必要に応じて適宜参考人として出席を要請。）

第 65 回検討会議　参考人

米盛　　勧　　国立研究開発法人　国立がん研究センター中央病院　腫瘍内科　　科長

専門作業班（WG）の設置について

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議

検討指示 ⇩ ⇧ 検討案の上程

企業見解
文献報告
海外規制情報
等

専門作業班（WG）

7つの班で、品目毎の個別具体的検討

- 代謝・その他WG
- 循環器WG
- 精神・神経WG
- 抗菌・抗炎症WG
- 抗がんWG
- 生物WG
- 小児WG

※ 小児WGは、分野横断的に対応

各WGに5～10名程度の専門家を配置

＜検討事項＞

○医療上の必要性

○公知申請への該当性

○承認申請のために追加で実施が必要な追加試験　等

参考資料 3-2

「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」
専門作業班（WG）メンバー

○WG座長

WG名	氏名	所属
代謝・その他WG	○花岡　英紀	千葉大学医学部附属病院　臨床試験部　部長・教授
	小早川　雅男	福島県立医科大学　医療研究推進センター　教授
	岩部　真人	日本医科大学大学院医学研究科　内分泌代謝・腎臓内科学分野　大学院教授
	大門　貴志	兵庫医科大学 医学部医学科/大学院医学研究科 生物統計学 教授
	鈴木 亮	東京医科大学 糖尿病・代謝・内分泌内科学分野　主任教授
	軒原　浩	国立健康危機管理研究機構　国立国際医療センター　呼吸器内科　医長
循環器WG	○安河内　聰	慈泉会相澤病院　エコーセンター長兼循環器内科顧問
	海野　信也	北里大学名誉教授
	真田　昌爾	神戸大学医学部附属病院　臨床研究推進センター長／教授
	大門　貴志	兵庫医科大学 医学部医学科/大学院医学研究科 生物統計学 教授
	橋詰　淳	名古屋大学医学部附属病院　先端医療開発部　教授 名古屋大学大学院医学系研究科　臨床研究教育学　教授（兼任）
	星出　聡	自治医科大学内科学講座循環器内科学部門・臨床研究センター　教授
	又吉　哲太郎	沖縄大学健康栄養学部管理栄養学科　教授
精神・神経WG	○勝野　雅央	名古屋大学大学院医学系研究科脳神経病態制御学講座　神経内科学　教授
	稲垣　中	青山学院大学　保健管理センター　所長　兼　教育人間科学部　教授
	稲田　健	北里大学医学部精神科学　教授
	尾方　克久	国立病院機構東埼玉病院 院長
	小杉　志都子	慶應義塾大学医学部　麻酔学教室　准教授
	許斐 健二	慶應義塾大学医学部 臨床研究推進センター　教授
	住谷　昌彦	国立大学法人東京大学医学部附属病院　緩和ケア診療部　准教授
	大門　貴志	兵庫医科大学 医学部医学科/大学院医学研究科 生物統計学 教授
	吉冨　健志	福岡国際医療福祉大学　視能訓練学科　教授
抗菌・抗炎症WG	○宮崎　義継	国立健康危機管理研究機構　国立感染症研究所　副所長　病原体ゲノム解析研究センター・センター長・真菌部・部長　併任
	井上　彰	東北大学大学院医学系研究科　緩和医療学分野　教授
	川畑　仁人	聖マリアンナ医科大学　リウマチ・膠原病・アレルギー内科　主任教授
	小早川　雅男	福島県立医科大学　医療研究推進センター　教授
	齋藤　好信	日本医科大学武蔵小杉病院 呼吸器内科 部長
	手良向　聡	京都府立医科大学　大学院医学研究科　生物統計学　教授
	花岡　英紀	千葉大学医学部附属病院　臨床試験部　部長・教授
	坂東　政司	自治医科大学内科学講座呼吸器内科学部門　附属病院臨床研究センター　教授 / センター長
	藤本　学	大阪大学大学院　医学系研究科　皮膚科学　教授
	堀野　哲也	東京慈恵会医科大学　内科学講座　感染症内科　教授
	横幕　能行	国立病院機構名古屋医療センター　感染症内科　エイズ総合診療部長
抗がんWG	○米盛　勧	国立研究開発法人　国立がん研究センター中央病院　腫瘍内科　科長
	平瀬　主税	近畿大学病院　臨床研究センター　准教授
	大庭　幸治	東京大学大学院情報学環 教授
	柴田　大朗	国立がん研究センター　研究支援センター　センター長／生物統計部長
	鈴木　賢一	東京薬科大学薬学部 臨床薬理学教室　教授
	富澤　大輔	国立研究開発法人国立成育医療研究センター　小児がんセンター　血液腫瘍科　診療部長
	長瀬　通隆	長野県厚生農業協同組合連合会　佐久総合病院　佐久医療センター　腫瘍内科　部長
生物WG	○中川　雅生	医療法人啓信会　京都きづ川病院　病院顧問
	土田　尚	国立病院機構本部　総合研究センター　治験研究部　部長
	荒戸　照世	北海道大学病院臨床研究開発センター　教授
	石川　洋一	明治薬科大学　特任教授
	林　邦彦	順天堂大学　健康データサイエンス研究科　特任教授
小児WG	○森川　和彦	東京都立病院機構　研究推進センター　担当課長／東京都立小児総合医療センター　研究推進センター　センター長
	中川　雅生	医療法人啓信会　京都きづ川病院　病院顧問
	土田　尚	国立病院機構本部　総合研究センター　治験研究部　部長
	石川　洋一	明治薬科大学　特任教授
	小村　誠	独立行政法人国立病院機構 渋川医療センター　薬剤部長
	庄司　健介	国立成育医療研究センター病院　教育研修センター　センター長/小児内科系専門診療部感染症科　医長
	丹沢　彩乃	国立成育医療研究センター病院　薬剤部　薬歴管理主任
	林　邦彦	順天堂大学　健康データサイエンス研究科　特任教授

※上記は、各WGのコアとなるメンバーであり、必要に応じて、随時、追加して協力依頼を行うものとする。

参考資料　4-1

医療上の必要性の評価の基準について

医療上の必要性の評価の基準について、下記のとおり分類している。

（１）適応疾病の重篤性

重篤性あり
- ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- イ　病気の進行が不可逆的で、日常生活に著しい影響を及ぼす疾患
- ウ　その他日常生活に著しい影響を及ぼす疾患

エ　該当しない

（２）医療上の有用性

有用性あり
- ア　既存の療法が国内にない
- イ　欧米等の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている
- ウ　欧米等において標準的療法に位置づけられており、国内外の医療環境の違い等を踏まえても国内における有用性が期待できると考えられる

エ　該当しない

※１　ア、イ、ウのうち複数に該当すると考えられる場合には、もっとも適切と判断されるものにあてはめることとした。

※２　（１）（２）の両方について、ア、イ又はウと評価された場合には、「医療上の必要性の基準に該当」とし、国が企業に開発要請又は開発企業の募集を行う。

※３　一定の要件をみたす国内外未承認薬については、（２）の代わりに以下のア～エで評価するものとする。

（２）医療上の有用性

有用性あり
- ア　既存の療法が国内にない
- イ　国内外の臨床試験において有効性・安全性等が既存の療法と比べて明らかに優れている

ウ　－

エ　該当しない

参考資料　4-2

開発要請先企業の指定の考え方について

＜共通ルール＞

- 既に開発を行っている企業があれば、当該企業の開発を見守ることとして、要望は処理済み or 対象外とする。
- 開発要請する企業が存在しない場合は、開発企業を公募する。
- 開発企業を公募している品目について、新たに要請先となり得る企業が確認された場合、その時点で開発企業が決まっていない場合には、当該企業に対して開発要請する。

１．未承認薬

要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
該当する企業が複数存在する場合、要請先の優先順位は①＝②とする

① 海外で先発医薬品として承認を取得している企業の日本法人企業
② わが国での開発権を有することが確認された企業（注１）

（注１）「わが国での開発権を有することが確認された企業」とは、日本法人企業を想定しているが、要望に対する開発権を保有する企業が海外企業であって、その日本法人企業が存在する場合、当該日本法人企業も含む。

２．適応外薬

要望された品目と既承認薬の関係を（１）～（３）に分類
既承認薬が複数存在する場合、上位（（１）＞（２）＞（３）、１＞２、ただし①＝②）に該当するものから優先的に要請

（１）投与経路、剤形いずれも同じ場合（注２）
要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
① わが国において先発医薬品として承認を取得している企業
② わが国での開発権を有することが確認された企業

（２）投与経路は同じだが、剤形が異なる場合
１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
① 海外で先発医薬品として承認を取得している企業の日本法人企業
② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と剤形違いの既承認薬について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

（３）投与経路が異なる場合
１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請
① 海外で先発医薬品として承認を取得している企業の日本法人企業
② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と同一の有効成分を含有する医薬品が日本で承認されており、当該医薬品について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

（注２）要望された品目が、既承認薬の規格違いの製剤開発である場合、企業側の負担も考慮し、効能・効果の追加等、臨床試験が必要となる品目よりも優先的に要請する。

３．未承認薬迅速実用化スキーム対象品目

要望された品目の投与経路、効能・効果、用法・用量、剤形等は国内外未承認であることを前提とし、要望された品目と同一の有効成分を含有する既承認薬（国内外は問わない）との関係を（１）～（３）に分類
既承認薬が複数存在する場合、上位（（１）＞（２）＞（３）、１＞２、ただし①＝②）に該当するものから優先的に適用

（１）投与経路、剤形いずれも同じ場合

１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請

① わが国において先発医薬品として承認を取得している企業

② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と同じ投与経路及び同じ剤形の製剤について海外で承認を取得しており、要望された品目について、わが国での開発権を有することが確認された企業の日本法人企業に対して要請

（２）投与経路は同じだが、剤形が異なる場合

１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

① 要望された品目と剤形違いの既承認薬について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業

② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と剤形違いの製剤について海外で承認を取得しており、要望された品目について、わが国での開発権を有することが確認された企業の日本法人企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

（３）投与経路が異なる場合

１．要望された品目について、以下のいずれかの要件に該当する企業が存在する場合、当該企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対す

る検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

① 要望された品目と同一の有効成分を含有する既承認薬について、わが国において先発医薬品として承認を取得している企業

② わが国での開発権を有することが確認された企業

２．１．以外の場合であって、要望された品目と同一の有効成分を含有する製剤について海外で承認を取得しており、要望された品目について、わが国での開発権を有することが確認された企業の日本法人企業に対して要請（まずは要望された製剤の開発に対する検討を依頼し、製剤の開発の目処が立った段階で、開発要請）

参考資料　５

人道的見地から実施される治験の制度該当性基準について

人道的見地から実施される治験の制度該当性について、確認要望があった場合には、下記のとおり分類する。

＜制度該当性基準＞

生命に重大な影響がある重篤な疾患であって、既存の治療法に有効なものが存在しない未承認又は適応外の治療薬であること。

（１）適応疾病の重篤性（承認まで待てない）

重篤・緊急性あり
- ア　生命に重大な影響がある疾患（致死的な疾患）
- イ　－
- ウ　－
- エ　該当しない

（２）医療上の有用性（既存の有効な治療法がない）

有用性・必要性あり
- ア　既存の治療法に有効なものが存在しない
- イ　－
- ウ　－
- エ　該当しない

（１）（２）の両方について、アと評価された場合には、「人道的見地から実施される治験の制度該当性基準に該当」とし、厚生労働省は、主たる治験の治験実施者（いわゆる医師主導治験にあっては当該治験を自ら実施する者と当該治験の治験薬を提供している者）に対して、人道的見地から実施される治験の実施の検討を要請する。

＜留意点＞

注１）人道的見地から実施される治験は、以下の理由等により、実施できない場合も想定され得る。
①既存の治療法に有効なものが存在する、あるいは生命に重大な影響がある重篤な疾患ではない【制度該当性事由】
②治験薬の供給に余裕がないこと等【絶対事由】
③主たる治験の組入れ期間中である等の理由で主たる治験の実施に悪影響を与えるおそれがあること【時期的事由】
④患者の病状に鑑みて、明らかにリスクが高いことから、安全性の観点から拡大治験への参加が勧められないこと等【個別事由】

注２）本検討会議においては、制度該当性事由（制度該当性事由を含む複数の事由の場合も含む。）により人道的見地から実施される治験の実施ができないと治験実施者から回答をうけた主治医及び患者が、第三者の観点から、制度該当性について確認することを要望する場合に、該当性の評価を実施する。

参考資料 6

特定用途医薬品への該当性の基準について

特定用途医薬品に係る開発の要望があった場合には、要望された医薬品を下記のとおり分類する。

１．小児の疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの

ア　対象とする用途に関して開発を行う必要があること

①　用法又は用量の変更

②　剤形の追加

イ　対象とする用途の需要が著しく充足していないこと

① 既存の治療法、予防法又は診断法がないもの（既存の治療法、予防法又は診断法が医薬品を用いるもののみの場合であって、治療法、予防法又は診断法に用いる医薬品として対象とする小児に対する用法及び用量が設定された医薬品がない場合を含む）

② 小児にとっての有効性、安全性若しくは肉体的・精神的な患者又は介護者負担の観点から、既存の治療法等より医療上の有用性の高い治療法、予防法又は診断法が必要とされているもの

ウ　対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること

以下の①及び②の両方を満たすものであること

① 適応疾患が重篤である、又は重篤な疾患に対して支持的に用いるもの

② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

２．薬剤耐性を有する病原体による疾病の診断、治療又は予防を用途とするもの

２－１．薬剤耐性を有する病原体を対象とした薬剤の場合

ア　対象となる用途に用いるために開発を行う必要があるもの

①　効能又は効果の変更

②　用法又は用量の変更

イ　対象とする用途の需要が著しく充足していないこと
以下の①及び②の両方を満たすものであること
① 現在主として用いられている薬剤に耐性を有する（又は有することとなる可能性がある）病原体を対象とするものであること
② 当該主として用いられている薬剤以外に対象とする病原体による疾患に対して承認された医薬品がないこと

ウ　対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること
以下の①及び②の両方を満たすものであること
① 対象とする薬剤耐性を有する病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的な観点から、医薬品の必要性が高いこと
② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

２－２．薬剤耐性を有する病原体の発生を抑制するための薬剤の場合
ア　対象となる用途に用いるために開発を行う必要があるもの
① 用法及び用量の変更
② 効能又は効果の変更

イ 対象とする用途の需要が著しく充足していないこと
① 既承認の用法及び用量で使用すると、対象となる疾患の原因となる病原体に対して薬剤耐性を生じさせることとなるおそれがあること
② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているにもかかわらず、対象とする疾患に対する効能又は効果を有していないこと

ウ 対象とする用途に対して特に優れた使用価値を有すること
以下の①及び②の両方を満たすものであること
① 薬剤耐性を有する病原体が発生した場合に想定される当該病原体の感染力、当該病原体による疾患の重篤性等の総合的

な観点から、医薬品の必要性が高いこと

② 国際的なガイドライン等で標準的な治療法として確立しているもの、又はランダム化比較試験の結果等で高いエビデンスが得られているもの

※ 特定用途医薬品への該当性の評価結果は、要望された医薬品の製造販売業者へ通知される。

参考資料　7

執行部に所属している学会について

令和7年9月29日現在

氏　名	学　会
五十嵐　隆	なし
伊藤　美千穂	日本東洋医学会、日本生薬学会、日本食品化学学会
岩田　敏	日本臨床腸内微生物学会、日本マイコプラズマ学会、 辨野腸内フローラ研究所、日本感染症医薬品協会、日本ワクチンアクション、TDM品質管理機構
大江　裕一郎	なし
北風　政史	なし
康　勝好	なし
崔　吉道	日本医療薬学会、日本病院薬剤師会、薬剤師認定制度認証機構
志賀　剛	日本臨床薬理学会、日本TDM学会、日本不整脈心電学会
田村　研治	日本臨床腫瘍学会、日本腫瘍循環器学会
田村　直人	日本脊椎関節炎学会、日本リウマチ学会、日本臨床免疫学会
戸高　浩司	ARO協議会
中村　秀文	日本小児臨床薬理学会
平林　容子	日本食品衛生学会、日本核酸医薬学会
松本　哲哉	日本感染症学会、日本化学療法学会、日本臨床微生物学会、日本環境感染学会
宮川　政昭	なし
村島　温子	日本母性内科学会
柳原　克紀	日本環境感染学会、日本臨床微生物学会、日本DDS学会、日本嫌気性菌感染症学会、 日本臨床検査医学会、日本感染症学会、日本医療検査科学会、日本化学療法学会
山口　拓洋	日本臨床試験学会、日本薬剤疫学会、日本臨床腫瘍薬学会
横谷　進	なし
渡邊　衡一郎	日本うつ病学会、日本臨床神経精神薬理学会、日本社会精神医学会、日本不安症学会、日本 産業精神保健学会、日本ストレス学会、日本女性心身医学会、東京精神医学会