

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(2026年1月16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   | コリスチンメタンサルホン酸ナトリウム塩 | 注射剤の剤形追加<br><適応菌種><br>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<br><適応症><br>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             | 経腔剤の剤形追加、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)<br>日本メドトロニック(株) <sup>※</sup> | 承認済  |
| 15  | コリスチンメタンサルホン酸ナトリウム塩 | 吸入用製剤の剤形追加、腭嚢胞線維症の気道感染症   | なし                                     |      |
| 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  | なし                                     |      |

※ 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<br>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)<br>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)<br>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<br>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   | ペガデマージェ                           | 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( <sup>131</sup> 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<br>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<br>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<br>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   | アタマジラム症(小児)            | 科研製薬(株)             | 承認申請準備中 |

＜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<br>があった企業   | 開発状況   |
|-----|---|---|-----------------------|--------|
| 1   | Carbidopa/levodopa, 1:4(徐<br>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<br>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<br>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)             | 承認申請済み |
| 9   | Doxylamine succinate／<br>Pyridoxine hydrochloride | 妊娠時の悪心・嘔吐                                       | 持田製薬(株)               | 治験準備中  |
| 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 $\alpha$ （PDGFRA）エクソン18に特定の変異（D842V）を有する症例 | なし                 |      |
| 6   | air polymer-type A    | 不妊症または不妊症が疑われる女性の卵管開存性を評価するための子宮卵管超音波検査における造影  | 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）          | 承認済    |
| 4   | ミダゾラム                          | 麻酔前投薬            | アルフレッサファーマ（株）    | ※1     |
| 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）        | 承認申請済み |
| 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。