

ペグアスパラガーゼにかかる開発要請について

【経緯】

ペグアスパラガーゼ製剤は、2006年1月に開催された第7回未承認薬使用問題検討会議において、開発が必要であると判断された品目である（適応疾患：急性リンパ性白血病）。

2008年、当該品目については協和醸酵工業株式会社（現・協和発酵キリン株式会社（以下「KHK社」という。））に開発が依頼されたが、下記のような状況の変化により開発が難航し、現時点においてもペグアスパラガーゼ製剤の承認は得られていない。

①第7回未承認薬使用問題検討会議において採択された時点の状況

- ペグアスパラガーゼ製剤として海外で承認された製剤は、Oncaspar（液剤）のみであり、未承認薬使用問題検討会議においても当該製品を念頭に必要性が議論された。
- 当時の検討会議は必要性を議論した上、関係する企業について開発を依頼するものであったが、当時の海外ライセンス企業である Enzon 社には日本法人がなく、開発の依頼ができなかったため、協和醸酵工業株式会社（当時）に依頼が行われた。



②販売契約締結を行った際の状況

- Enzon 社及び引き継いだ Sigma-Tau 社は有効期間が長い EZN-2285 を開発し、市場展開する方針としていた。KHK 社はその決定を前提に、国内における製品実現性の高い同製剤に関する契約を 2012 年に結んだ。
- 同契約に際し、未承認開発支援臨時特例交付金として約 9 億円が交付された。
- 日本国内での EZN-2285 の開発計画は、米国での開発と同時進行するものであった。



③最近の状況

- 2015 年、Sigma-Tau 社は EZN-2285 の開発と販売権を Baxalta 社に譲渡した。
- 現在 Shire 社の一部である Baxalta 社は、有効期間を 24 箇月とした Oncaspar（凍結乾燥製剤）の欧州での承認を取得（2017 年 12 月 12 日）した。
- 一方、KHK 社が契約を締結した EZN-2285 は、現在も米国においても未承認であるため、日本国内での開発の目途は立っていない。そのため、Shire 社は日本においては Oncaspar（凍結乾燥製剤）の開発と上市を目指すことを決定した。
- Shire 社については、日本法人であるシャイアー・ジャパン株式会社が存在する。



④KHK 社及びシャイアー・ジャパン株式会社による協議

- 上記のような状況を踏まえ、ペグアスパラガーゼの本邦への導入について KHK 社とシャイアー・ジャパン株式会社で協議が行われ、EZN-2285 にかわり、Oncaspar（凍結乾燥製剤）の開発を共同で行う旨、厚生労働省に説明がなされた。

【本会議における対応方針について】

- ペグアスパラガーゼ製剤については、本検討会議のスキーム以前の会議体である未承認薬使用問題検討会議において医療上の必要性が議論され、開発を行うべきとされた品目であるため、医療上の必要性が高いことは既に検討済みである。

- 同製剤については、
 - ・ Oncaspar（凍結乾燥製剤）の欧州での承認を取得している Shire 社の日本法人であるシャイアー・ジャパン株式会社
 - ・ 開発が遂行されていない製剤ではあるものの、公的資金を投入の上、EZN-2285 の国内開発・販売に関する契約を締結済みである KHK 社 が、現時点において開発要請先として考えられる。さらに両社からは、いち早く本邦に同製剤を導入するため、欧州で承認され、国内での製品実現性の高い Oncaspar（凍結乾燥製剤） に関し両社で開発を共同で行う旨の申し出が行われている。

- 当局としては、この状況を踏まえ、以下のとおり、本検討会議のスキームに則った開発要請を行うこととしたい。
 - ・ 本検討会議における「開発要請先の考え方」（参考資料 4-2）に従い、現在のスキームにおける開発要請を行う。
 - ・ 開発要請先は、両社の合意をふまえ、協和発酵キリン株式会社とシャイアー・ジャパン株式会社の両社に対し行い、留意事項として、双方の協力に基づき開発を行うことを開発要請文中に付記する。

| 医薬品名 | 適応疾患 | 開発要請先 |
|-----------|-----------|-------------------------------|
| ペグアスパラガーゼ | 急性リンパ性白血病 | 協和発酵キリン株式会社 シャイアー・ジャパン株式会社 |