

未承認薬 14 品目の開発支援について

1. 未承認薬 14 品目の開発支援の流れ

未承認薬 14 品目について、以下の手順で開発支援を行うこととしている。

- ①未承認薬 14 品目について、支援要望書に基づき開発者（社）及び開発計画を確認した上で、未承認薬等開発支援事業による開発支援品目に選定する。
- ②開発者（社）から提出された治験相談等の結果を踏まえた開発経費見積もりについて、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議（検討会議）における評価の上、支援上限額を決定する。
- ③未承認薬等開発支援センターより開発支援金を交付する。

2. 開発支援候補品目の範囲

未承認薬等開発支援事業による開発支援候補となりうる未承認薬は、未承認薬使用問題検討会議において検討された 44 品目のうち、平成 21 年 4 月 1 日現在、開発（治験）に着手されていなかった以下の 14 品目。

	医薬品名	対象疾病
1	ストレプトゾシン	脾島細胞癌
2	クロファラビン	小児急性リンパ性白血病
3	ペグアスパラガーゼ	ルアスパラギナーゼに過敏症の急性リンパ芽球性白血病
4	フェニル酪酸ナトリウム	尿素サイクル異常症
5	アテムツズマブ	B細胞性慢性リンパ性白血病
6	タルク	悪性胸水
7	スチリペントール	乳児重症ミオクロニーてんかん
8	ルフィナマイド	レノックス・ガストー症候群
9	メサドン	がん性疼痛
10	ヒトヘミン	ポリフィリン症
11	テトラペナジン	ハンチントン病
12	システアミン	シスチノーシス(シスチン蓄積症)
13	ベタイン	ホモシスチン尿症
14	経口リン酸塩製剤	原発性低リン血症性クル病

※平成 21 年 10 月 1 日に開催された未承認薬使用問題検討会議において、フェニル酪酸ナトリウム及びベタインを除く上記 12 品目が開発支援対象品目として了承された。

※平成 22 年 2 月 9 日に開催された第一回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議において、フェニル酪酸ナトリウム、ベタイン、ストレプトゾシン、ペグアスパラガーゼ及びシステアミンを除く上記 9 品目の支援上限額が決定された。

3. 開発支援品目の選定及び支援上限額の決定方法

- ①開発者（社）が調整中であるフェニル酪酸ナトリウム及びベタインは、開発者（社）の目処が立った段階で、開発者（社）による支援の希望の調査結果に基づき、検討会議において支援品目の妥当性を評価する。また、選定に合わせて検討会議において、薬事申請に想定されている申請パッケージの確認を行う。
- ②支援品目に係る開発経費見積書に基づき、検討会議において開発経費の確認を行い、支援上限額を決定する。

(参考)

未承認薬の開発支援の流れ (イメージ)

1 品目 (ベタイン)

