



厚生労働省

ひと、暮らし、みらいのために

Ministry of Health, Labour and Welfare

先駆的医薬品指定制度（医薬品の先駆け審査指定制度）について

厚生労働省 医薬・生活衛生局
医薬品審査管理課

Ministry of Health, Labour and Welfare of Japan

先駆的医薬品指定制度

「日本再興戦略」改訂2014(平成26年6月24日)に基づき、世界に先駆けて、革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、各種支援による早期の実用化(例えば、医薬品では通常の半分の6ヶ月間で承認)を目指す「**先駆け審査指定制度**」を平成27年4月1日より試行的に開始(通知)。令和元年の薬機法改正で「**先駆的医薬品等**」の指定制度として法制化。

指定基準

※医薬品の場合

1. **治療薬の画期性**: 原則として、以下のいずれかに該当するものであること
 - ・既承認薬と異なる新作用機序であること
 - ・既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患への適応は初めてであること
 - ・革新的な薬物送達システムを用いていること
2. **対象疾患の重篤性**: 生命に重大な影響がある重篤な疾患又は根治療法がなく症状(社会生活が困難な状態)が継続している疾患
3. **対象疾患に係る極めて高い有効性**: 既承認薬が存在しない、又は既承認薬・治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる、若しくは著しい安全性の向上が見込まれること
4. **世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制**(同時申請も含む。)

指定制度の内容

 : 承認取得までの期間の短縮に関するもの : その他開発促進に関する取組

①優先相談

[2か月 → 1か月]

- 優先対面助言。随時募集対応とすることで事実上1か月で実施。

②事前評価の充実

[実質的な審査の前倒し]

- 事前評価を充実させる。

③優先審査

[12か月 → 6か月]

- 総審査期間の目標を、6か月に。
※②事前評価による審査の前倒し

④審査パートナー制度

[PMDA版コンシェルジュ]

- 専任の担当部長級職員をコンシェルジュとして指定。節目ごとに進捗確認等を行い、必要な部署との連絡調整を行うことにより、円滑な開発を促進する。

⑤製造販売後の安全対策充実

[再審査期間の延長]

- 法律に基づき、再審査期間を延長し、最長10年までの範囲内で設定する。

先駆け審査指定制度の対象品目一覧（医薬品）①

令和4年8月末

指定時期	名称	申請者	指定時の予定効能・効果	承認日 (販売名)
H27.10	シロリムス	ノーベルファーマ	結節性硬化症に伴う血管線維腫（皮膚病変）	H30.3.23 (ラバリムスゲル)
H27.10	NS-065/NCNP-01（ビルラルセン）	日本新薬	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	R2.3.23 (ビルテプソ点滴静注)
H27.10	S-033188（バロキサビル マルボキシル）	塩野義製薬	A型又はB型インフルエンザウイルス感染症	H30.2.23 (ゾフルーザ錠)
H27.10	BCX7353（ヘトラルスタット塩酸塩）	オーファンバシフィック	遺伝性血管浮腫(HAE)の患者を対象とした血管性浮腫の発作の管理	R3.1.22 (オラデオカプセル)
H27.10	ASP2215（ギルテリチニブ）	アステラス製薬	初回再発又は治療抵抗性のFLT3遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病	H30.9.21 (ソスパタ錠)
H27.10	ペムブロリズマブ（遺伝子組換え） (指定取消し：H29.9)	MSD	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	—
H29.4	オリプターゼアルファ（遺伝子組換え）	サノフィ	酸性スフィンゴミエリナーゼ欠乏症	R4.3.28 (ゼンフォザイム点滴静注)
H29.4	アデユカヌマブ (指定取消し：R1.9)	バイオジェン・ジャパン	アルツハイマー病の進行抑制	—
H29.4	DS-5141b	第一三共	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（ジストロフィン遺伝子のエクソン45スキッピングにより効果が期待できる患者）	—
H29.4	SPM-011（ボロファラン（10B））	ステラファーマ	・再発悪性神経膠腫 ・切除不能な局所再発頭頸部癌並びに局所進行頭頸部癌（非扁平上皮癌）	R2.3.25 (ステボロニン点滴静注)
H29.4	ニボルマブ（遺伝子組換え）	小野薬品工業	胆道癌	—

先駆け審査指定制度の対象品目一覧（医薬品）②

令和4年8月末

指定時期	名称	申請者	指定時の予定効能・効果	承認日 (販売名)
H30.3	RTA402（バルドキシロンメチル）	協和キリン	糖尿病性腎臓病	—
H30.3	JR-141（パピナフスプ アルファ）	JCRファーマ	ムコ多糖症II型（ハンター-症候群）	R3.3.23 (イズカーゴ点滴静注用)
H30.3	タファミジスメグルミン	ファイザー	トランスサイレチン型心アミロイドーシス（TTR-CM）	H31.3.26 (ピンダケルカプセル)
H30.3	MSC2156119J (テボチニブ塩酸塩水和物)	メルクバイオフファーマ	MET エクソン14 スキッピング変異を有する進行（IIIB/IV 期）非小細胞肺癌	R2.3.25 (テプミトコ錠)
H30.3	トラスツズマブ デルクステカン（遺伝子組換え）	第一三共	がん化学療法後に増悪したHER2 過剰発現が確認された治癒切除不能な進行・再発の胃癌	R2.9.25 (エンハーツ点滴静注用)
H30.3	エヌトレクチニブ	中外製薬	前治療後に疾患が進行又は許容可能な標準治療がないNTRK 融合遺伝子陽性の局所進行又は遠隔転移を有する成人及び小児固形がん患者の治療	R1.6.18 (ロスリートレカプセル)
H31.4	バレメトスタット	第一三共	再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫	—
H31.4	イキサゾミブクエン酸エステル (指定取消し：R2.6)	武田薬品工業	ALアミロイドーシス	—
H31.4	TAK-925	武田薬品工業	ナルコレプシー	—
H31.4	ASP-1929（セツキシマブ サロタロカンナトリウム（遺伝子組換え））	楽天メディカルジャパン	頭頸部癌	R2.9.25 (アキラルックス点滴静注)
H31.4	E7090 (指定取消し：R3.6)	エーザイ	FGFR2融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌	—
R2.6	CNT-01	大阪大学医学部附属病院	中性脂肪蓄積心筋血管症の症状及び予後改善	—
R2.6	エクリズマブ(遺伝子組換え)	アレクシオンファーマ	ギラン・バレー症候群	—
R2.6	M7824 (指定取消し：R3.12)	グラクソ・スミスクライン	胆道癌	—

先駆的医薬品指定制度の対象品目一覧（医薬品）

令和4年8月末

指定時期	名称	申請者	指定時の予定効能・効果	承認日 (販売名)
R3.8	ペボネジスタット塩酸塩 (指定取消し：R3.12)	武田薬品工業	骨髄異形成症候群（骨髄芽球比率が20～30%の急性骨髄性白血病を含む）	—
R3.11	バリシチニブ	日本イーライリリー	I型インターフェロン関連自己炎症性疾患（中條西村症候群、乳児発症性 STING 関連血管炎、エカルディ・グティエール症候群）	—