第 59 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６年７月５日(金)
オンライン会議
(AP 虎ノ門)

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．要望品目の医療上の必要性について

４．開発要請品目の公知申請への該当性について

５．企業から提出された開発工程表等について

６．ドラッグロス解消に向けた取組について

７．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

医療上の必要性に関する専門作業班（WG）の評価
　資料 3　抗がん WG

公知申請への該当性に係る報告書（案）
　資料 4　アダリムマブ（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 5-1　企業から提出された開発工程表について
　資料 5-2　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 5-3　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 5-4　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 5-5　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 5-6　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 6　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 7　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）

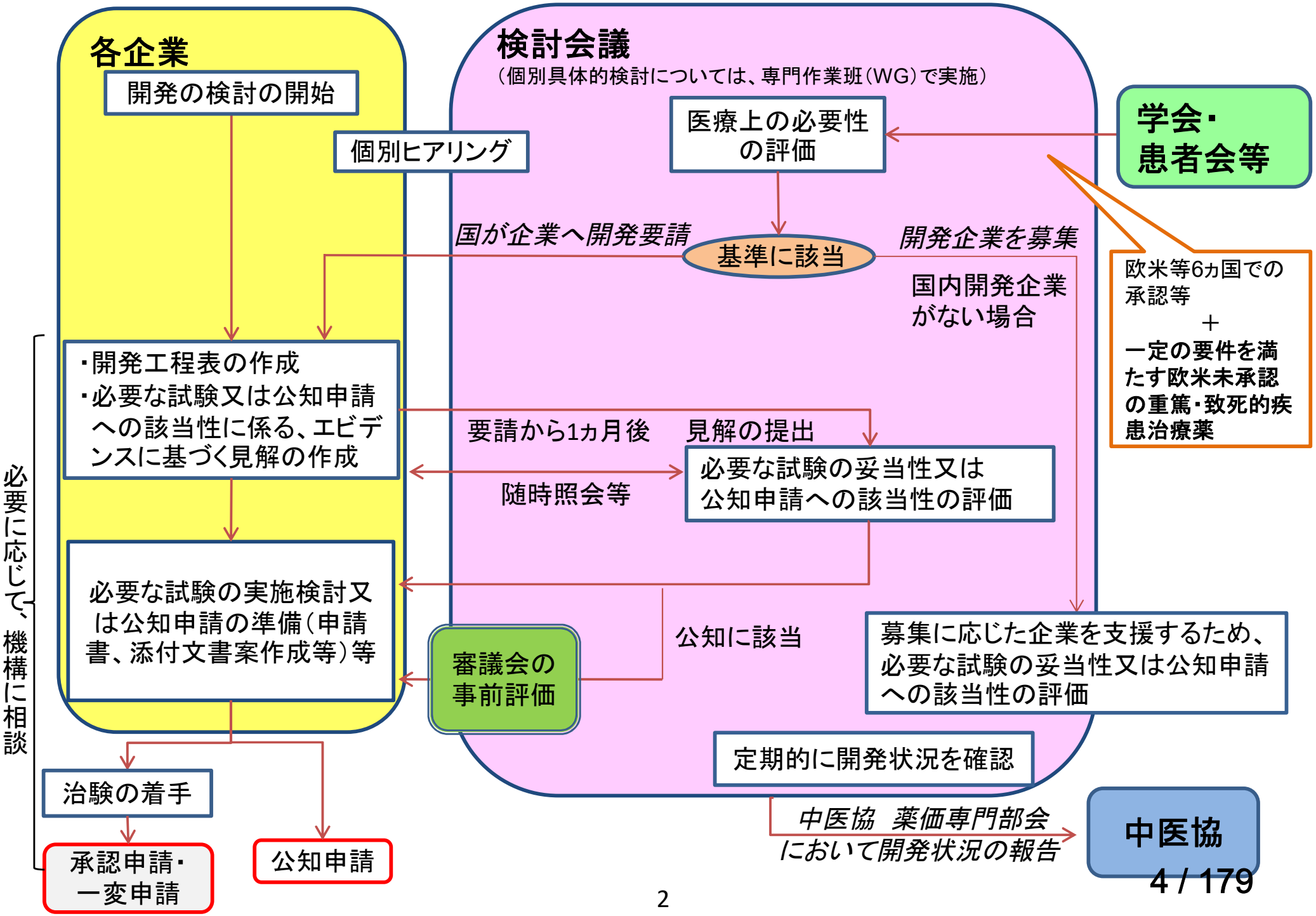
【製薬企業】

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



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６年７月５日 第59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	224件 (+3)	1056件	新規要望を受理（+3件） ※2
専門WG	検討中		8件	59件 (+1)	67件	新規要望を受理（+3件）、専門WGで検討終了（-2件）
専門WG	検討済	必要性高い	347件	94件 (+2)	441件	抗がんWGで評価（＋２件）→本日の会議で審議
専門WG	検討済	必要性高くない	187件	14件	201件	
本会議	検討済	必要性高い	347件	92件 (+4)	439件	前回会議で評価済み（+4件）
本会議	検討済	必要性高くない	187件	14件	201件	
対象外	既に開発中		21件	８件	29件	
対象外	取下げ等		269件	49件	318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
＜代謝・その他WG＞									
1	Ⅲ-④-17	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	腎移植の急性拒絶反応の抑制	サイモグロブリン 1.0～1.5 mg/kg/日を3～7 日間投与する。	日本移植学会	サノフィ株式会社	適応外薬		要望者が要望の範囲を検討中
2	Ⅲ-④-18	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	小児腎移植の急性拒絶反応の抑制	サイモグロブリン 1.0～1.5 mg/kg/日を3～7 日間投与する。	日本移植学会	サノフィ株式会社	適応外薬	○	要望者が要望の範囲を検討中
＜抗菌・抗炎症WG＞									
3	Ⅲ-④-12	メトロニダゾール	成人における既承認効能・効果に対する小児に関する要望 1. 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＞ ・敗血症・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、膿胸・骨盤内炎症性疾患・腹膜炎、腹腔内膿瘍・胆嚢炎、肝膿瘍・化膿性髄膜炎・脳膿瘍 2. 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） 3. アメーバ赤痢	7.5mg/kgを8時間おきに20分以上かけて点滴静注する。最大投与量は成人の最大投与量を超えない。	日本小児感染症学会	ファイザー株式会社	適応外薬	○	抗菌・抗炎症WG（小児WG）今後の方針を検討中
4	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

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
5	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
6	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
7	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
＜生物WG＞									
8	Ⅲ-①-29.1 Ⅲ-①-29.2 Ⅲ-①-29.3	乾燥人フィブリノゲン	大量出血に伴う後天性低フィブリノゲン血症の出血傾向の改善	注射用水に溶解し、静脈内に注入する。通常1 回3 gを用いる。なお、年齢・症状により適宜増減する。	日本麻酔科学会 日本外傷学会 日本血栓止血学会	一般社団法人 日本血液製剤機構	適応外薬		要望者と要望内容について検討中。

未承認薬	0
適応外薬	8
合計	8

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-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	開始用量：切替え前の1週間のESA総投与量に基づき、下記の表を参考に算出する。 維持用量：目標Hb値を10g/dl以上に維持するために用量調節が必要な場合は、4週間の投与量を約25%調節する。 Hb値の上昇が4週間で1g/dLを超えた場合や、Hb値が上昇し12g/dLに近づいた場合は用量を約25%減量する。減量後もHb値が上昇し続ける場合はHb値が減少傾向となるまで休薬し、以前の投与量より25%少ない用量で投与を再開する。用量調節の頻度は4週間に1回以上あけること。	日本小児腎臓病学会	中外製薬	適応外薬	○	企業見解確認中
2	ⅣS-28	トラフェルミン（遺伝子組換え）	骨頭圧潰リスクの高い特発性大腿骨頭壊死症の骨頭圧潰の抑制	低侵襲手術（骨穿孔術）により、大腿骨頭内にトラフェルミン（遺伝子組換え）800μgを含む架橋ゼラチン製剤を単回投与する。	日本整形外科学会、NPO 法人おれんじの会、個人	科研製薬株式会社 ノーベルファーマ株式会社	迅速実用化		WG準備中
3	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		要望書を確認中
＜循環器WG＞									
4	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
5	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	体重1 kgあたり1日1 g （Omegavenとして10 mL)を8 時間～24時間かけて経静脈的に持続投与する（0.15g /kg/hrを越えない速度で投与する）	日本小児外科学会	Fresenius Kabi Deutschland GmbH	未承認薬	○	企業見解待ち

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
6	Ⅳ-95	ダルテパリン	担がん患者に発症した静脈血栓塞栓症	3. 担がん患者に発症した静脈血栓塞栓症 ①発症後30日間：200 IU/kg 1 日 1 回 皮下注。なお、一日投与総量として18,000IUを超えないこと。 ②発症後2―6か月：150 IU/kg 1 日 1 回 皮下注。なお、一日投与総量として18,000IUを超えないこと。 プレフィルドシリンジを使用する場合、下記の表に従った一日用量で投与を行うこと。 静脈血栓塞栓症発症後1か月間： 体重（kg）：1日1回の用量（国際単位） 56以下：10,000 IU 57-68 ：12,500 IU 69-82 ：15,000 IU 83以上：18,000 IU 静脈血栓塞栓症発症後２－６か月間： 体重（kg）：1日1回の用量（国際単位） 56以下：7,500 IU 57-68：10,000 IU 69-82：12,500 IU 83-98：15,000 IU 99以上：18,000 IU 使用上の注意への追記希望 ①本製剤は部分トロンボプラスチン時間(aPTT)検査のモニタリングは不要であり、十分な説明の上長期在宅自己投与が可能である。 ②腎機能低下症例の注意点：重度の腎機能障害患者（Cockroft-Gault式によるクレアチニンクリアランス< 30 mL/分）では，抗Xa値をモニタリングして，適切なフラグミン用量を決定すること。 ③減量規定：血小板数により下記の対応を行う。 50000-100000/mm3：至適用量から2500IU/日あるいは1規格を減量し投薬する。 （血小板数100000/mm3へ回復するまで）50000/mm3 以下：休薬（100000/mm3 以上に回復するまで）	日本腫瘍循環器学会	ファイザー株式会社	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-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
8	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
9	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	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
10	Ⅳ-142	一酸化窒素	肺移植周術期において認める肺高血圧の改善。肺移植手術期に認める低酸素血症の改善	・本剤は吸入濃度20ppmで吸入を開始する。 ・十分な効果が得られなかった場合、40ppmまで増量できる。 ・酸素化の改善に伴い、5ppmに減少し、安全に離脱できる状態になるまで吸入を継続する。	日本呼吸器外科学会、日本胸部外科学会、日本移植学会、日本肺および心肺移植研究会	エア・ウォーター社	適応外薬		対象外と考えられるため、要望者が対応検討中。
11	Ⅳ-154	一酸化窒素	小児肺移植における周術期の肺高血圧の改善。小児肺移植に手術期に認める低酸素血症の改善	・本剤は吸入濃度20ppmで吸入を開始する。 ・十分な効果が得られなかった場合、40ppmまで増量できる。 ・酸素化の改善に伴い、5ppmに減少し、安全に離脱できる状態になるまで吸入を継続する。	日本呼吸器外科学会、日本胸部外科学会、日本移植学会、日本肺および心肺移植研究会	エア・ウォーター社	適応外薬	○	対象外と考えられるため、要望者が対応検討中。
12	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

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
13	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
14	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
15	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
16	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）	①通常、成人にはFDGスキャン注® 1バイアル（検定日時において185 MBq）を静脈内に投与し撮像する。投与量（放射能）は、年齢、体重により適宜増減するが、最小74 MBq、最大370 MBqまでとする。 ②通常、成人にはフルデオキシグルコース(18F)静注「FRI」1バイアル（検定日時において185 MBq）を静脈内に投与し撮像する。投与量（放射能）は、年齢、体重により適宜増減するが、最小74 MBq、最大370 MBqまでとする。	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	①日本メジフィジックス株式会社 ②PDRファーマ株式会社	適応外薬		企業見解確認中
17	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		企業見解待ち

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
＜精神・神経WG＞									
18	Ⅳ-S-16	glycyl-L-2-methylprolyl-L-glutamic acid（グリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸）（trofinetide(トロフィネチド)（開発名: NNZ-2566)）	レット症候群に起因する運動・神経系の諸障害の改善および進行の停止	レット症候群患者に対してグリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸として1日70 mg/kg 分2（成人(15歳超)）を経口投与により使用する。	認定NPO法人　レット症候群支援機構	Neuren Pharmaceuticals, Ltd.（豪）（ニューレンファーマシューティカルズリミテッド） ACADIA Pharmaceuticals Inc.（米）（アカディアファーマシューティカルズインコーポレイテッド）	迅速実用化		要望書を確認中
19	Ⅳ-S-17	glycyl-L-2-methylprolyl-L-glutamic acid（グリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸）（trofinetide(トロフィネチド)（開発名: NNZ-2566)）	レット症候群に起因する運動・神経系の諸障害の改善および進行の停止	レット症候群患者に対してグリシル-L-2-メチルプロリル-L-グルタミン酸として1日200 mg/kg分2（小児(5-15歳)）を経口投与により使用する。	認定NPO法人　レット症候群支援機構	Neuren Pharmaceuticals, Ltd.（豪）（ニューレンファーマシューティカルズリミテッド） ACADIA Pharmaceuticals Inc.（米）（アカディアファーマシューティカルズインコーポレイテッド）	迅速実用化	○	要望書を確認中
20	Ⅳ-102	ロラゼパム	①急性興奮の鎮静 ②急性不安の鎮静	通常、成人にはロラゼパムとして 4 mgを静脈内投与する。投与速度は 2 mg/分を目安として緩徐に投与すること。なお、必要に応じて4 mgを追加投与するが、初回投与と追加投与の総量として 8 mgを超えないこと。 通常、生後 3 ヵ月以上の小児にはロラゼパムとして0.05 mg/kg（最大 4 mg）を静脈内投与する。投与速度は 2 mg/分を目安として緩徐に投与すること。なお、必要に応じて0.05 mg/kgを追加投与するが、初回投与と追加投与の総量として0.1 mg/kgを超えないこと。	公益社団法人日本精神神経学会	ファイザー株式会社	適応外薬		要望書を確認中
21	Ⅳ-166	トラマドール塩酸塩	下記疾患ならびに状態における鎮痛 各種癌、術後	通常、成人にはトラマドール塩酸塩として 1 回 50～100mg を静脈内に注射し、その後必要に応じて 4～5 時間毎に反復注射する。なお、症状により適宜増減する	日本麻酔科学会	日本新薬株式会社	適応外薬		要望書を確認中
22	Ⅳ-180	フェニル酪酸ナトリウム/タウルウルソジオール	筋萎縮性側索硬化症患者の機能低下抑制、進行抑制、総生存期間の延長効果が期待される。	フェニル酪酸ナトリウム 3 g とタウルウルソジオール 1 g を 1 日 1 回 3 週間、その後は 1 日 2 回室温の水に溶かし、経口または栄養チューブから投与する。	一般社団法人　日本ALS協会	Amylyx Pharmaceuticals Inc（米国）	未承認薬		検討中

<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>23</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>24</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>25</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>26</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>27</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>
</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
28	Ⅳ-107	トシリズマブ	全身性強皮症に伴う間質性肺疾患の増悪抑制、改善	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。	日本リウマチ学会 日本呼吸器学会	中外製薬株式会社	適応外薬		企業見解を確認中
29	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
30	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
31	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
32	Ⅳ-189	コルヒチン	ベーチェット病	1日0.5～1.5mgを1～3回に分けて分割経口投与する。	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	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
33	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		要望内容を確認中
＜抗がんWG＞									
34	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
35	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
36	Ⅳ-83	アレムツズマブ	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。なお、患者の状態により適宜減量する。	日本リンパ網内系学会	サノフィ株式会社	適応外薬		使用実態調査依頼中
37	Ⅳ-92	オキサリプラチン	再発・難治性非ホジキンリンパ腫	B法：他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはオキサリプラチンとして130 mg/m²（体表面積）を1日1回静脈内に2時間で点滴投与し、少なくとも20日間休薬する。これを1サイクルとして投与を繰り返す。 C法：他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはオキサリプラチンとして100 mg/m²（体表面積）を1日1回静脈内に2時間で点滴投与し、少なくとも13日間休薬する。これを1サイクルとして投与を繰り返す。	日本リンパ網内系学会	ヤクルト本社	適応外薬		使用実態調査依頼中
38	Ⅳ-100	イボシデニブ （IDH1阻害剤）	1. 再発又は難治性のIDH1変異陽性の急性骨髄性白血病 2. 通常の強力寛解導入療法の適応とならないIDH1変異陽性の急性骨髄性白血病	通常一日一回・500mg 経口投与 重篤な副作用を認めないかぎり、病勢の進行をみとめるまで継続投与	一般社団法人日本血液学会	Agios Pharmaceuticals	未承認薬		企業見解を確認中
39	Ⅳ-137	テモゾロミド	再発・難治性神経芽腫	○テモダールカプセル 20 mg、テモダールカプセル 100 mg、テモゾロミド錠 20 mg「NK」、テモゾロミド錠 100 mg「NK」 再発・難治性神経芽腫に対してトポイソメラーゼI阻害剤などとの併用の一剤として、1回 100～150 mg/m2を 1日1回連日5日間、経口投与し、16日間以上休薬する。これを 1コースとして、 投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。 ○テモダール点滴静注用 100 mg 下記のとおり本剤を 90分間かけて静脈内投与する。 再発・難治性神経芽腫に対してトポイソメラーゼI阻害剤などとの併用の一剤として、1回100～ 150 mg/m2 を1日1回連日 5日間、投与し、16日間以上休薬する。これを1コースとして、投与を反復する。なお、患者状態により適宜減量する。	日本小児血液・がん学会	MSD 株式会社 日本化薬株式会社	適応外薬		企業見解を確認中

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
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		企業見解を確認中
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	○	企業見解を確認中
42	Ⅳ-144	フルダラビンリン酸エステル(成人)	造血幹細胞移植の前治療	フルダラビンリン酸エステルとして、1日量30mg/m2(体表面積)を6日間連日点滴静注(約30分)する。なお、患者の状態により、投与量及び投与日数は適宜減ずる。	日本造血・免疫細胞療法学会	サノフィ株式会社	適応外薬		企業見解待ち
43	Ⅳ-145	フルダラビンリン酸エステル(小児)	造血幹細胞移植の前治療	(小児) フルダラビンリン酸エステルとして、1日量30mg/m2(体表面積)を6日間連日点滴静注(約30分)する。なお、患者の状態により、投与量及び投与日数は適宜減ずる。	日本造血・免疫細胞療法学会	サノフィ株式会社	適応外薬	○	企業見解待ち
44	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		企業見解待ち
45	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	○	企業見解待ち
46	Ⅳ-156	ベムラフェニブ	BRAF V600変異を有するエルドハイム・チェスター病(Erdheim-Chester disease: ECD)	ベムラフェニブとして1回960mgを1日2回経口投与する	日本血液学会	中外製薬株式会社	適応外薬		企業見解を確認中

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
47	Ⅳ-158	テモゾロミド	下垂体癌、難治性下垂体腺腫	1. **初発の悪性神経膠腫の場合、下垂体癌または難治性下垂体腺腫で放射線治療を併用する場合：放射線照射との併用にて、通常、成人ではテモゾロミドとして1回75mg/m2(体表面積)を1日1回連日42日間、経口投与し、4週間休薬する。 その後、本剤単独にて、テモゾロミドとして1回150mg/m2を1日1回連日5日間、経口投与し、23日間休薬する。この28日を1クールとし、次クールでは1回200mg/m2に増量することができる。 2. **再発の悪性神経膠腫の場合、下垂体癌または難治性下垂体腺腫で放射線治療を併用しない場合：通常、成人ではテモゾロミドとして1回150mg/m2(体表面積)を1日1回連日5日間、経口投与し、23日間休薬する。 この28日を1クールとし、次クールで1回200mg/m2に増量することができる。 3. **再発又は難治性のユーイング肉腫の場合：イリノテカンとの併用において、通常、テモゾロミドとして1回100mg/m2を1日1回連日5日間、経口投与し、16日間以上休薬する。 これを1クールとし、投与を反復する。なお、患者の状態により適宜減量する。	日本間脳下垂体腫瘍学会	MSD株式会社 日本化薬	適応外薬		企業見解を確認中
48	Ⅳ-159	ドセタキセル水和物	乳癌	通常、成人に1日1回、ドセタキセルとして60mg/m2（体表面積）を1時間以上かけて3～4週間間隔で点滴静注する。なお、患者の状態により適宜増減すること。ただし、1回最高用量は100mg/m2とする。	日本乳癌学会	サノフィ株式会社他	適応外薬		企業見解を確認中
49	ⅣS-25	メルファラン	網膜芽細胞腫	両側性網膜芽細胞腫： メルファランとして1眼あたり1日1回5mg/m2を眼動脈より投与する。 片側性網膜芽細胞腫： メルファランとして1眼あたり1日1回7.5mg/m2を眼動脈より投与する。	小児血液・がん学会	サンドファーマ株式会社	迅速実用化	○	企業見解を確認中
50	Ⅳ-171	オキサリプラチン	~~治癒切除不能な~~膵癌 （取消線部削除）	膵癌には、他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人にはオキサリプラチンとして85 mg/m2（体表面積）を1日1回静脈内に2時間で点滴投与し、少なくとも13日間休薬する。これを1サイクルとして投与を繰り返す。なお、患者の状態により適宜減量する。	日本膵臓学会	ヤクルト本社	適応外薬		企業見解を確認中
51	Ⅳ-172	イリノテカン	~~治癒切除不能な~~膵癌 （取消線部削除）	膵癌には、イリノテカン塩酸塩水和物として、通常、成人に1日1回、180 mg/m2を点滴静注し、少なくとも2週間休薬する。これを1クールとして投与を繰り返す。なお、病期、患者の状態により適宜減量する。	日本膵臓学会	ヤクルト本社	適応外薬		企業見解を確認中
52	Ⅳ-173	フルオロウラシル	~~治癒切除不能な~~膵癌 （取消線部削除）	膵癌に対するレボホリナート・フルオロウラシル持続静注併用療法において、通常、成人にはレボホリナートとして1回200 mg/m2（体表面積）を2時間かけて点滴静脈内注射する。レボホリナートの点滴静脈内注射終了直後にフルオロウラシルとして400 mg/m2（体表面積）を静脈内注射、さらにフルオロウラシルとして2,400 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。なお、病期、年齢、患者の状態などにより適宜減量・削除する。	日本膵臓学会	協和キリン株式会社	適応外薬		企業見解を確認中

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
53	Ⅳ-174	レボホリナートカルシウム水和物	治癒切除不能な膵癌 （取消線部削除）	膵癌に対するレボホリナート・フルオロウラシル持続静注併用療法において、通常、成人にはレボホリナートとして1回200 mg/m2（体表面積）を2時間かけて点滴静脈内注射する。レボホリナートの点滴静脈注射終了直後にフルオロウラシルとして400 mg/m2（体表面積）を静脈内注射するとともに、フルオロウラシルとして2,400 mg/m2（体表面積）を46時間かけて持続静脈内注射する。これを2週間ごとに繰り返す。なお、病期、年齢、患者の状態などにより適宜減量・削除する。	日本膵臓学会	ファイザー株式会社	適応外薬		企業見解を確認中
54	Ⅳ-179	トラメチニブ　ジメチルスルホキシド付加物	再発した低悪性度漿液性卵巣癌または腹膜癌	再発した低悪性度漿液性卵巣癌または腹膜癌に対しては、トラメチニブとして2mgを1日1回、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。	日本臨床腫瘍学会、日本婦人科腫瘍学会、卵巣がん体験者の会スマイリー	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬		企業見解を確認中
55	Ⅳ-183	ナキシタマブ	再発/難治性高リスク神経芽腫	米国では各投与サイクルの1日目、3日目、5日目にDANYELZA(ナキシタマブ) 3mg/kg/日（最大150mg/日）を静脈内点滴で投与し、併用療法としてGM-CSFを-4日目から0日目に250μg/m^2/日、1日目から5日目に500μg/m^2/日を皮下投与する。 完全奏効または部分奏効するまで4週間ごとに繰り返す。その後は4週間ごとに5サイクル追加する。その後8週間ごとに繰り返すことができるとして承認されている。	神経芽腫の会	Y-mAbs Therapeutics, Inc.社	未承認薬	○	要望書を確認中
56	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	通常、成人には、ペムブロリズマブ（遺伝子組換え）として、1回200mgを3週間間隔又は1回400mgを6週間間隔で30分間かけて点滴静注する。	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		企業見解を確認中
57	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	○	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
＜生物WG＞									
58	Ⅳ-188	Meningococcal group B vaccine	血清群B髄膜炎菌の予防	~~①Bexsero~~ ~~0.5mL　筋肉注射　1ヶ月以上の間隔をあけて二回投与~~ ~~②TRUMENBA~~ 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	~~①GlaxoSmithKline~~ ②Pfizer Inc.	未承認薬		要望者の対応待ち（小児の要望書提出待ち）
59	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		要望者の対応待ち（小児の要望書提出待ち）

未承認薬	6
適応外薬	48
迅速実用化	5
合計	59

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６年７月５日 第59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			301件	76件 (+4)	377件	前回会議で評価後に開発要請（+4件）
専門WG	検討中		10件	20件 (+3)	30件※3	前回会議で評価後に開発要請（+4件）、専門WGで検討終了（-1件）
専門WG	検討済	公知申請が妥当	126件	44件 (+1)	170件	抗菌・抗炎症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）	165件	12件	177件	
本会議	検討済	公知申請が妥当	126件	43件 (+3)	169件	前回会議で検討済み（+3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6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
＜代謝・その他WG＞									
1	Ⅲ-①-49	バシリキシマブ（遺伝子組換え）	肝移植後の急性拒絶反応の抑制	日本移植学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬		現在計画中の使用実態調査の結果を踏まえて検討予定	治験相談実施済み 国内使用実態調査、海外臨床試験の結果等を利用した申請を検討予定
2	Ⅲ-①-50	バシリキシマブ（遺伝子組換え）	肝移植後の急性拒絶反応の抑制	日本移植学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬	○	現在計画中の使用実態調査の結果を踏まえて検討予定	治験相談実施済み 国内使用実態調査、海外臨床試験の結果等を利用した申請を検討予定
＜循環器WG＞									
3	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＞									
4	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
5	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
6	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
7	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

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
＜抗がんWG＞									
8	Ⅱ-5	3-ヨードベンジルグアニジン（131I）	神経芽腫	個人	富士フイルムRI ファーマ株式会社	未承認薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
9	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
10	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	1
適応外薬	9
合計	10

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。	使用実態調査実施予定
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。	使用実態調査実施予定
3	Ⅳ-168	リツキシマブ（遺伝子組換え）	広義の自己免疫性溶血性貧血（温式、冷式を含む）（小児）	日本血液学会	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
4	Ⅳ-169	リツキシマブ（遺伝子組換え）	広義の自己免疫性溶血性貧血（温式、冷式を含む）（成人）	日本血液学会	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
5	ⅣS-27	ミコフェノール酸モフェチル	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	日本小児腎臓病学会	中外製薬株式会社	迅速実用化	○	公知申請を希望する。	WG準備中
＜循環器WG＞									
2	Ⅳ-117	インドシアニングリーン	○ 肝機能検査（血漿消失率、血中停滞率及び肝血流量測定） 肝疾患の診断、予後治癒の判定 ○ 循環機能検査（心拍出量、平均循環時間又は異常血流量の測定） 心臓血管系疾患の診断 ○ 血管及び組織の血流評価 ○ 次の疾患におけるセンチネルリンパ節の同定 乳癌、悪性黒色腫、子宮体がん	日本婦人科腫瘍学会	第一三共株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
3	Ⅳ-118	インドシアニングリーン	○ 肝機能検査（血漿消失率、血中停滞率及び肝血流量測定） 肝疾患の診断、予後治癒の判定 ○ 循環機能検査（心拍出量、平均循環時間又は異常血流量の測定） 心臓血管系疾患の診断 ○ 血管及び組織の血流評価 ○ 次の疾患におけるセンチネルリンパ節の同定 乳癌、悪性黒色腫、子宮頸がん	日本婦人科腫瘍学会	第一三共株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
8	ⅣS-21	インドシアニングリーン	・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）	日本形成外科学会、日本リンパ浮腫治療学会、日本脈管学会	第一三共株式会社	迅速実用化		公知申請を希望する。	今後の方針を検討中

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
＜精神・神経WG＞									
9	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。	企業見解確認中
10	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
＜抗菌・抗炎症WG＞									
＜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。	企業見解確認中
14	Ⅳ-62	ロムスチン(CCNU)	神経膠腫	日本脳腫瘍学会	medac Pharma	未承認薬		公知申請を希望する。	当該医薬品は「新有効成分含有医薬品」に該当し、承認申請において日本人における当該医薬品の有効性及び安全性をより慎重に評価する必要があり、その際に日本人を対象とした臨床試験成績は必要である。 詳細な試験計画については、これまでに得られた情報を整理し、実施可能性も考慮した上で機構と治験相談等を実施することを推奨する。 なお、開発方針について、以下の点に留意すること。 ・ 要望書の内容、海外診療ガイドライン等を踏まえると、少なくとも①再発例におけるロムスチン単独投与及び②切除術等施行後の患者を対象としたロムスチンと他剤との併用投与の2つについて開発することが望ましいこと。 ・ 英国の承認内容のうち、120 mg/m2の設定根拠となる臨床試験成績が、企業見解からは確認できないことから、当該用法・用量の適切性については英国での承認の経緯も含めて確認・検討する必要があること。

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
15	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。	企業見解確認中
16	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。	企業見解確認中
17	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。	企業見解確認中
18	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。	企業見解確認中
19	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。	企業見解確認中
20	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。	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	1
適応外薬	16
迅速実用化	3
合計	20

資料 3

「医療上の必要性に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

＜抗がん WG＞

目　次

＜抗がん剤分野＞
【医療上の必要性の基準に該当すると考えられた品目】
本邦における適応外薬
イマチニブメシル酸塩（要望番号；IV-75）　1
ゲムシタビン塩酸塩（要望番号；IV-122）　2

	Ⅳ-75	要 望 者 名	日本臨床腫瘍学会
要望された医薬品		一　般　名	イマチニブメシル酸塩
		会　社　名	ノバルティスファーマ株式会社
要 望 内 容		効 能 ・ 効 果	隆起性皮膚線維肉腫
		用 法 ・ 用 量	通常、成人にはイマチニブとして 1 日 800 mg（400 mg を 1 日 2 回）を食後に経口投与する。なお、年齢・症状により適宜減量する。
「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		（1）適応疾病の重篤性についての該当性　ア 〔特記事項〕 隆起性皮膚線維肉腫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〕 イマチニブは、欧米等において切除不能、再発又は遠隔転移を有する隆起性皮膚線維肉腫に対して承認されている。また、海外診療ガイドライン及び海外における教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績から、イマチニブは、切除不能、再発又は遠隔転移を有する隆起性皮膚線維肉腫に対して、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。	
備　　考			

<table>
<tr><td>要望番号</td><td>Ⅳ-122</td><td>要 望 者 名</td><td colspan="2">日本頭頸部癌学会</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">ゲムシタビン塩酸塩</td></tr>
<tr><td>会 社 名</td><td colspan="2">日本イーライリリー株式会社</td></tr>
<tr><td colspan="2" rowspan="2">要 望 内 容</td><td>効能・効果</td><td colspan="2">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、及び再発又は転移を有する上咽頭癌に対する化学療法）</td></tr>
<tr><td>用法・用量</td><td colspan="2">① 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
通常、シスプラチンとの併用療法として、成人にはゲムシタビンとして 1 回 1,000 mg/m^2 を 30 分かけて点滴静注し、週 1 回投与を 2 週連続し、3 週目は休薬する。これを 1 コースとして投与を繰り返す。なお、患者の状態により適宜減量する。
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
通常、成人にはゲムシタビンとして 1 回 1,000 mg/m^2 を 30 分かけて点滴静注し、週 1 回投与を 3 週連続し、4 週目を休薬する。これを 1 コースとして投与を繰り返す。シスプラチンと併用する場合は、成人にはゲムシタビンとして 1 回 1,000 mg/m^2 を 30 分かけて点滴静注し、週 1 回投与を 2 週連続し、3 週目は休薬を 1 コースとすることもできる。なお、患者の状態により適宜減量する。</td></tr>
<tr><td>「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="4">(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 ア
〔特記事項〕
上咽頭癌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及び海外における教科書の記載内容、並びに海外臨床試験成績から、①局所進行上咽頭癌患者に対する根治治療前の補助化学療法（以下、「導入化学療法」）として、ゲムシタビン塩酸塩とシ</td></tr>
</table>

	スプラチンとの併用投与、及び②再発又は遠隔転移を有する上咽頭癌患者に対する化学療法として、ゲムシタビン塩酸塩とシスプラチンとの併用投与又はゲムシタビン塩酸塩単独投与は、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。 　なお、要望されている効能・効果のうち「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」について、根拠となる公表論文の内容を踏まえると、医療上の有用性が期待できると判断できるのは「局所進行上咽頭癌に対する導入化学療法」に限定される。
備　　考	

資料 4

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）
アダリムマブ（遺伝子組換え）
X 線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎

１．要望内容の概略について

要望された医薬品	一般名：アダリムマブ（遺伝子組換え）	
	販売名：ヒュミラ皮下注 40 mg シリンジ 0.4 mL、同皮下注 80 mg シリンジ 0.8 mL、同皮下注 40 mg ペン 0.4 mL、同皮下注 80 mg ペン 0.8 mL	
	会社名：アッヴィ合同会社	
要望者名	日本脊椎関節炎学会、日本リウマチ学会、日本 AS 友の会	
要望内容	効能・効果	X 線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎
	用法・用量	通常、成人にはアダリムマブ（遺伝子組換え）として 40 mg を 2 週に 1 回、皮下注射する。
	効能･効果及び用法･用量以外の要望内容（剤形追加等）	
備考	本邦において既存治療で効果不十分な強直性脊椎炎の効能・効果は承認済み	

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

体軸性脊椎関節炎（以下、「axSpA」）は、脊椎関節炎のうち、体軸関節病変を主体とする全身性の慢性炎症性疾患であり、炎症性背部痛を特徴とし、末梢関節の障害やぶどう膜炎、炎症性腸疾患、乾癬、心血管障害等の骨関節外症状を併発することもある。axSpA は、強直性脊椎炎（以下、「AS」）と X 線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎（以下、「nr-axSpA」）に分けられ、nr-axSpA は AS の前段階又は軽症例という考えもあるものの、いくつかのレジストリ及び臨床試験のデータによると、両者は疼痛、疾患活動性、健康関連 Quality of Life、労働アウトカム等において同程度の負担を有することが報告されている。nr-axSpA では、進行により、不可逆的な骨化、体軸関節の強直、可動域制限、関節破壊等の身体機能障害が認められることから、「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」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

海外で実施されたプラセボ対照無作為化二重盲検並行群間比較試験（ABILITY-1 試験）[1)] の結果、nr-axSpA 患者において、プラセボに対するアダリムマブ（遺伝子組換え）（以下、

「本薬」）の優越性が確認され、安全性プロファイルは本薬の他の適応疾患で報告されているものと同様であった。当該試験成績を基に欧州で要望効能・効果及び用法・用量の承認を得ており、また、ASAS-EULAR[2)]、ACR/SAA/SPARTAN[3),4)]、APLAR[5)]等の海外の診療ガイドラインにおいて、nr-axSpA 患者に対し TNF 阻害薬による治療が推奨されている。また、国内で実施された axSpA の全国疫学調査[6),7),8)]では、nr-axSpA 患者 29 例に本薬が使用されており、89.7%（26/29 例）が有効例であったと報告されている。したがって、「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」に該当すると判断した。

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[9)]	
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）	本薬は米国で承認されているが、nr-axSpA の効能・効果については承認されていない（2024 年 2 月 16 日現在）。
備考	nr-axSpA の効能・効果に係る承認申請後、米国食品医薬品局より追加試験の実施が求められたことを踏まえ、申請は取り下げられた。
２）英国[10)]	
効能・効果	関節リウマチ、若年性特発性関節炎（多関節型若年性特発性関節炎、付着部炎関連関節炎）、axSpA（AS、<u>nr-axSpA</u>）、乾癬性関節炎、乾癬、化膿性汗腺炎、クローン病、潰瘍性大腸炎、ぶどう膜炎 【効能・効果に関連する注意事項】（要望内容に係る事項のみ抜粋） <u>X 線検査で AS の所見は認められないが、C-反応性タンパク（以下、「CRP」）上昇及び／又は MRI による炎症の客観的徴候が認められる重度の axSpA を有する成人患者のうち、非ステロイド性抗炎症薬（以下、「NSAIDs」）に対して効果不十分、又は不耐容である患者の治療に適応される。</u> 注）要望内容に係る部分は下線
用法・用量	

効能・効果	用法・用量
関節リウマチ	＜成人＞ メトトレキサートとの併用で 40 mg 隔週皮下投与。メトトレキサートに不耐容又はメトト

<table>
<tr><td></td><td>
<table>
<tr><td></td><td>レキサートによる治療継続が適切ではない場合は単剤での治療も可能である。
単剤投与時に効果が減弱した場合は40 mg 毎週皮下投与又は80 mg 隔週皮下投与への増量が可能。</td></tr>
<tr><td>axSpA（AS、nr-axSpA）、乾癬性関節炎</td><td>＜成人＞
40 mg 隔週皮下投与。</td></tr>
<tr><td>乾癬</td><td>＜成人＞
初回に 80 mg を皮下投与し、投与 1 週後から 40 mg 隔週皮下投与。
16 週以降、効果不十分な場合は 40 mg 毎週皮下投与又は 80 mg 隔週皮下投与への増量が可能であるが、用量の増加により十分な効果が得られた場合、その後 40 mg 隔週投与に減量することも可能である。
＜小児＞
4 歳以上 18 歳未満の小児尋常性乾癬患者には、体重に応じて以下のとおり皮下投与する。
<table>
<tr><th>体重</th><th>用法・用量</th></tr>
<tr><td>15 kg 以上 30 kg 未満</td><td>初回に 20 mg を皮下投与し、投与 1 週後から 20 mg の隔週投与。</td></tr>
<tr><td>30 kg 以上</td><td>初回に 40 mg を皮下投与し、投与 1 週後から 40 mg の隔週投与。</td></tr>
</table></td></tr>
<tr><td>化膿性汗腺炎</td><td>＜成人＞
初回に 160 mg、投与 2 週後に 80 mg を皮下投与し、投与 4 週後から 40 mg 毎週皮下投与又は 80 mg 隔週皮下投与。
＜小児＞
12 歳以上、体重 30 kg 以上の小児化膿性汗腺炎患者には、初回に 80 mg、投与 1 週後から 40 mg の隔週皮下投与。効果不十分な場合は 40 mg 毎週皮下投与又は 80 mg 隔週皮下投与</td></tr>
</table>
</td></tr>
</table>

<table>
<tr><td></td><td></td><td></td><td>への増量が可能。</td></tr>
<tr><td></td><td></td><td>クローン病</td><td>＜成人＞
導入用量として、初回に 80 mg、投与 2 週後に 40 mg の皮下投与。より速やかな効果が必要な場合は初回 160 mg、2 週間後に 80 mg の皮下投与も可能。投与 4 週後から、40 mg 隔週皮下投与。効果が減弱した場合は 40 mg 毎週皮下投与又は 80 mg 隔週皮下投与への増量が可能。
＜小児＞
6 歳以上 18 歳未満の小児クローン病患者には、体重に応じて以下のとおり皮下投与する。
<table>
<tr><th>体重</th><th>用法・用量</th></tr>
<tr><td>40 kg 未満</td><td>導入用量として、初回に 40 mg、投与 2 週後に 20 mg を皮下投与。より速やかな効果が必要な場合は初回 80 mg、投与 2 週後に 40 mg の皮下投与も可能。投与 4 週後から、20 mg 隔週投与。効果不十分な場合は 20 mg 毎週投与への増量が可能。</td></tr>
<tr><td>40 kg 以上</td><td>導入用量として、初回に 80 mg、投与 2 週後に 40 mg を皮下投与。より速やかな効果が必要な場合は初回 160 mg、投与 2 週後に 80 mg の皮下投与も可能。投与 4 週後から、40 mg 隔週投与。効果不十分な場合は 40 mg 毎週投与又は 80 mg 隔週投与への増量も可能。</td></tr>
</table></td></tr>
<tr><td></td><td></td><td>潰瘍性大腸炎</td><td>＜成人＞
導入用量として、初回に 160 mg、投与 2 週後に 80 mg の皮下投与。投与 4 週後から、40 mg</td></tr>
</table>

<table>
<tr><td></td><td></td><td></td><td>
隔週皮下投与。効果が減弱した場合は 40 mg 毎週皮下投与又は 80 mg 隔週皮下投与への増量が可能。
＜小児＞
6 歳以上 18 歳未満の小児潰瘍性大腸炎患者には、体重に応じて以下のとおり皮下投与する。
<table>
<tr><th>体重</th><th>用法・用量</th></tr>
<tr><td>40 kg 未満</td><td>導入用量として、初回に 80 mg、投与 2 週後に 40 mg を皮下投与。投与 4 週後から、40 mg 隔週投与。</td></tr>
<tr><td>40 kg 以上</td><td>導入用量として、初回に 160 mg、投与 2 週後に 80 mg を皮下投与。投与 4 週後から、80 mg 隔週投与。</td></tr>
</table>
</td></tr>
<tr><td></td><td></td><td>ぶどう膜炎</td><td>
＜成人＞
初回に 80 mg 皮下投与。投与 1 週後から 40 mg 隔週皮下投与。本剤による治療は副腎皮質ステロイド及び／又はその他の非生物学的免疫調整薬との併用で開始することができる。
＜小児＞
2 歳以上の小児ぶどう膜炎患者には、体重に応じて以下のとおり皮下投与する。本剤投与開始時に、維持用量開始 1 週間前に、必要に応じて、30 kg 未満の場合は 40 mg、30 kg 以上の場合は 80 mg の負荷投与を行うことも可能。
<table>
<tr><th>体重</th><th>用法・用量</th></tr>
<tr><td>30 kg 未満</td><td>メトトレキサートとの併用で 20 mg 隔週投与。</td></tr>
<tr><td>30 kg 以上</td><td>メトトレキサートとの併用で 40 mg 隔週投与。</td></tr>
</table>
</td></tr>
<tr><td></td><td></td><td>若年性特発性関節炎</td><td>2 歳以上の小児多関節型若年性特発性関節炎患者には、体重に応じて以下のとおり皮下投与する。</td></tr>
</table>

体重	用法・用量
10 kg 以上 30 kg 未満	20 mg 隔週投与。
30 kg 以上	40 mg 隔週投与。

6 歳以上の小児付着部炎関連関節炎患者には、体重に応じて以下のとおり皮下投与する。

体重	用法・用量
15 kg 以上 30 kg 未満	20 mg 隔週投与。
30 kg 以上	40 mg 隔週投与。

【用法・用量に関連する注意事項】（要望内容に係る事項のみ抜粋）
通常、治療 12 週間以内に臨床的効果が得られる。この期間に反応が得られなかった患者においては、治療の継続を注意深く再検討すべきである。

注）要望内容に係る部分は下線

承認年月（または英国における開発の有無）	2003 年 9 月に関節リウマチの治療薬として承認され、その後 2012 年 7 月に nr-axSpA の効能追加が承認された。
備考	
３）独国 [10]	
効能・効果	英国と同じ
用法・用量	英国と同じ
承認年月（または独国における開発の有無）	英国と同じ
備考	EU 中央審査方式での承認のため
４）仏国 [10]	
効能・効果	英国と同じ
用法・用量	英国と同じ

承認年月（または仏国における開発の有無）	英国と同じ
備考	EU 中央審査方式での承認のため
５）加国 [11]	
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）	本薬は加国で承認されているが、nr-axSpA の効能・効果については承認されていない（2024 年 2 月 16 日現在）。
備考	nr-axSpA の効能・効果に係る承認申請後、カナダ保健省より追加試験の実施が求められたことを踏まえ、申請は取り下げられた。
６）豪州 [12]	
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）	本薬は豪州で承認されているが、nr-axSpA の効能・効果については承認されていない（2024 年 2 月 16 日現在）。
備考	nr-axSpA の効能・効果に係る承認申請後、追加解析結果の提出時期に関してオーストラリア医療製品規制庁の合意が得られなかったことを踏まえ、申請は取り下げられた。

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

企業により実施された海外臨床試験の成績の概略は以下のとおりである。英国、独国及び仏国では、ABILITY-1 試験成績に基づき、nr-axSpA の効能・効果を取得している。

1） ABILITY-1 試験 [1),13)]

NSAIDs で効果不十分、又は NSAIDs が禁忌若しくは不耐容である 18 歳以上の活動性の nr-axSpA 患者[※1] を対象に、本薬の有効性及び安全性を検討するためのプラセボ対照無作為化二重盲検並行群間比較試験が実施された。当該試験は二重盲検期（12 週間）及び非盲検継続投与期（144 週間）から構成された。

二重盲検期における用法・用量は、本薬 40 mg 又はプラセボを隔週で 12 週間皮下投与することとされ、二重盲検期を完了した被験者は、非盲検継続投与期に本薬 40 mg の隔週投与を最長 144 週間行うこととされた。

無作為化された被験者 192 例（本薬群 95 例、プラセボ群 97 例）全例で、治験薬が 1 回以上投与され、安全性解析対象集団とされた。このうち、治験担当医師のコンプライアンス違反が確認された治験実施施設 1 施設 7 例（本薬群 4 例、プラセボ群 3 例）を除外した

185 例（本薬群 91 例、プラセボ群 94 例）が有効性解析対象集団とされた。

二重盲検期における試験中止例（中止理由）は、本薬群 4 例（有害事象 1 例、その他 3 例）、プラセボ群 2 例（有害事象及びその他各 1 例）であった。

有効性について、主要評価項目とされた投与 12 週時における ASAS40 反応率※2 は、本薬群 36.3%（33/91 例）、プラセボ群 14.9%（14/94 例）であり、本薬群で統計学的に有意に高かった（p＜0.001、Non responder imputation（以下、「NRI」）、統計解析手法の記載なし）。

二重盲検期における安全性について、有害事象は本薬群 57.9%（55/95 例）、プラセボ群 58.8%（57/97 例）に認められ、主な有害事象は本薬群では上咽頭炎 11.6%（11/95 例）、悪心 7.4%（7/95 例）、頭痛 6.3%（6/95 例）、プラセボ群では悪心 8.2%（8/97 例）、下痢 7.2%（7/97 例）、上気道感染 4.1%（4/97 例）であった。死亡は両群ともに認められなかった。

重篤な有害事象は本薬群 3.2%（3/95 例）、プラセボ群 1.0%（1/97 例）に認められ、本薬群では乳房形成異常、人工流産及び急性肝炎が各 1 例に認められた。

投与中止に至った有害事象は本薬群 2.1%（2/95 例）、プラセボ群 1.0%（1/97 例）に認められた。

注目すべき有害事象について、感染症が本薬群 29.5%（28/95 例）、プラセボ群 28.9%（28/97 例）に、肝関連事象が本薬群 4.2%（4/95 例）、プラセボ群 4.1%（4/97 例）に認められた。悪性腫瘍、日和見感染、結核、ループス様症候群及び脱髄疾患は両群ともに認められなかった。

長期投与における有効性解析対象集団は二重盲検期と同様に 185 例とされ、ベースライン時の MRI の評価が欠測であった 1 例を除く 184 例のうち、142 例が炎症の客観的な徴候がある※3MRI/CRP 陽性集団、42 例が炎症の客観的な徴候のない MRI/CRP 陰性集団とされた。また、本薬を 1 回以上投与された被験者 190 例（曝露：412.2 人・年）が長期投与における安全性解析対象集団とされた。二重盲検期を完了後、非盲検継続投与期に移行し、本薬の 144 週間の投与を完了した被験者は、全体集団で 65.4%（121/185 例）、MRI/CRP 陽性集団で 67.6%（96/142 例）、MRI/CRP 陰性集団で 57.1%（24/42 例）であった。

長期投与時の有効性について、治験薬投与開始後 1 年、2 年及び 3 年時点における ASAS40 反応率は、全体集団でそれぞれ 49.7%（92/185 例）、48.1%（89/185 例）及び 43.8%（81/185 例）、MRI/CRP 陽性集団でそれぞれ 52.8%（75/142 例）、50.0%（71/142 例）及び 47.2%（67/142 例）、並びに MRI 及び CRP 陰性集団でそれぞれ 38.1%（16/42 例）、40.5%（17/42 例）及び 31.0%（13/42 例）であった。

長期投与時の安全性について、重篤な有害事象は 33 例（10.9 件/100 人・年）で報告された。死亡は 2 例（0.5 件/100 人・年）に報告され、1 例は自殺（非盲検の本薬投与中止 40 日後に死亡、アルコール依存と不安の既往歴あり）、他方の 1 例は心肺不全（非盲検の本薬投与中に死亡、嗜好用鎮静剤と関連ありとの判断）であった。

注目すべき有害事象について、重篤な感染症が 8 例（2.4 件/100 人・年）、新規発症の乾癬及び肝関連事象が各 2 例（0.5 件/100 人・年）、結核、肺塞栓症、憩室炎及びループス様

症候群／全身性エリテマトーデスが各 1 例（0.2 件/100 人・年）に認められた。

悪性腫瘍、血管炎、脱髄疾患及び B 型肝炎の再活性化は認められなかった。

※1 主な組入れ基準：①axSpA の ASAS（Assessment of SpondyloArthritis international Society）分類基準を満たす、②AS に対する 1984 年改訂ニューヨーク基準を満たさない、③総背部痛スコア（VAS（visual analogue scale）：0～10 cm）4 以上かつ BASDAI（Bath ankylosing spondylitis disease activity index）スコア 4 以上の活動性である、④乾癬及び乾癬性関節炎の診断及び既往歴、並びに異なる病因の炎症性関節炎の既往歴がない、⑤生物製剤を過去に使用していない

※2 以下の①～④のうち 3 項目以上で、ベースラインから 40%以上の改善及び 2 単位以上（0～10 スケール）の改善を認め、かつ、残りの項目で悪化が認められなかった被験者の割合
①疾患活動性の患者による全般的評価（VAS：0～10 cm）
②疼痛（総背部痛、VAS：0～10 cm）
③機能（BASFI（Bath ankylosing spondylitis functional index）、VAS：0～10 cm）
④炎症評価／朝のこわばり（BASDAI（VAS：10 cm）の Q5（朝のこわばりの程度）及び Q6（朝のこわばりの継続時間）の平均値）

※3 ベースラインの MRI 画像に基づき仙腸関節若しくは脊椎の SPARCC（Spondyloarthritis Research Consortium of Canada）スコアが 2 以上、又は CRP 上昇が認められた場合を炎症の客観的な兆候があると定義

2） ABILITY-3 試験[14)]

少なくとも 2 種類の NSAIDs で効果不十分、又は NSAIDs が禁忌若しくは不耐容である 18 歳以上の活動性の nr-axSpA 患者[※4]を対象に、本薬による持続的な臨床的寛解の達成後、本薬の投与中止の可否を検討するプラセボ対象無作為化二重盲検並行群間比較試験が実施された。当該試験は、非盲検導入期（28 週間）及び二重盲検期（40 週間）で構成され、非盲検導入期では、全例に本薬 40 mg の隔週皮下投与が行われ、持続的寛解（本薬投与 16、20、24 及び 28 週時に ASDAS（Ankylosing spondylitis disease activity score）1.3 未満の達成と定義）を認めた被験者を 28 週時に本薬 40 mg 隔週皮下投与を継続する群又は本薬投与を中止しプラセボを投与する群に無作為に割り付けた。

非盲検導入期に 673 例が登録され、28 週時に持続的寛解を達成した 305 例が無作為化された（本薬群 152 例、プラセボ群 153 例）。

有効性について、主要評価項目である二重盲検期に再燃（2 回の連続した来院で ASDAS 2.1 以上と定義）しなかった患者の割合は、本薬群 70%（107/152 例）、プラセボ群 47%（72/153 例）であり、プラセボ群と比較して本薬群で有意に高かった（$p<0.0001$、NRI、χ^2検定）。

二重盲検期における安全性について、有害事象は本薬群 65%（99/152 例）、プラセボ群 69%（105/153 例）に認められ、本薬群及びプラセボ群で発現割合の高かった有害事象として、上咽頭炎が本薬群 16%（25/152 例）、プラセボ群 13%（20/153 例）、上気道感染が本薬群 13%（20/152 例）、プラセボ群 8%（12/153 例）、axSpA の悪化が本薬群 7%（10/152 例）、プラセボ群 14%（21/153 例）に認められた。死亡は両群ともに認められなかった。

重篤な有害事象は本薬群 1%（1/152 例）、プラセボ群 7%（10/153 例）、投与中止に至った有害事象は本薬群 0%（0/152 例）、プラセボ群 3%（4/153 例）に認められた。

感染症は本薬群 53%（80/152 例）、プラセボ群 46%（70/153 例）に認められ、そのうち重篤な感染症は本薬群 0%（0/152 例）、プラセボ群 1%（2/153 例）に認められた。悪性腫瘍は本薬群 0%（0/152 例）、プラセボ群 1%（2/153 例）に認められた。

非盲検導入期及び二重盲検期を併合した本薬投与例における安全性について、有害事象は本薬投与例の 77%（516/673 例）に認められ、発現割合の高かった有害事象は上咽頭炎 17%（117/673 例）、上気道感染 12%（80/673 例）、axSpA の悪化 9%（58/673 例）、頭痛 8%（55/673 例）、下痢 6%（42/673 例）であった。死亡は認められなかった。

重篤な有害事象は 4%（28/673 例）に認められた。

投与中止に至った有害事象は 3%（18/673 例）に認められた。

感染症は 53%（355/673 例）に認められ、そのうち重篤な感染症は 1%（7/673 例）に認められた。悪性腫瘍は、＜1%（1/153 例〔胃腺癌〕）に認められた。活動性結核、血管炎、うっ血性心不全、脳卒中及びループス様症候群は認められなかった。

※4 主な組入れ基準：①axSpA の ASAS 分類基準を満たす、②AS に対する 1984 年改訂ニューヨーク基準の X 線検査基準を満たさない、③仙腸関節若しくは脊椎の MRI 所見での活動性炎症の客観的兆候又は高感度 CRP の上昇を認める、④ASDAS 2.1 以上、BASDAI 4 以上かつ総背部痛スコア（0～10 のスケール）4 以上の活動性である、⑤線維筋痛症又は脊椎関節炎以外の病因による炎症性関節炎の既往歴がない、⑥生物製剤を過去に使用していない

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は以下のとおりである。

＜海外における報告＞

本薬の nr-axSpA 患者を対象とした無作為化比較試験、薬物動態試験等に関する公表文献を以下の方法で検索した。

データベース：PubMed

検索日：2023 年 9 月 6 日

検索式：adalimumab and (non-radiographic or nonradiographic)

検索結果：55 報

55 報のうち、nr-axSpA 患者を対象とした無作為化比較試験及びそれらの非盲検継続投与期に関する報告として、「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」の項で記載した 3 報 [1),13),14)]が選定された。

＜国内における報告＞

本薬の nr-axSpA 患者を対象とした臨床試験及び症例報告等の観察研究に関する公表文献を以下の 2 つの方法で検索した。

方法 1

データベース：PubMed

検索日：2024 年 2 月 8 日

検索式：adalimumab and (non-radiographic or nonradiographic)

検索結果：56 報

方法 2
データベース：医中誌
検索日：2024 年 2 月 8 日
検索式：adalimumab and (non-radiographic or nr-axSpA or X 線基準を満たさない)
検索結果：8 報

検索の結果、本邦で実施された nr-axSpA 患者を対象とした本薬の臨床試験の報告は認められなかったが、nr-axSpA 患者に対して本薬を使用した症例報告が 2 報[15),16)]選定され、この 2 報は同一症例に関する報告であった。当該症例報告の内容については、「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。

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

1） Burmester GR et al. Long-Term Safety of Adalimumab in 29,967 Adult Patients From Global Clinical Trials Across Multiple Indications: An Updated Analysis. Adv Ther 2020; 37: 364-80[17)]

成人の尋常性乾癬、化膿性汗腺炎、関節リウマチ、AS、乾癬性関節炎、nr-axSpA、末梢性脊椎関節炎、クローン病、潰瘍性大腸炎及び非感染性ぶどう膜炎患者を対象とした 77 の臨床試験の安全性情報を収集し、本薬の長期安全性を評価した論文である。安全性の評価には、本薬の初回投与後から最終投与後 70 日（本薬の消失半減期の 5 倍）以内に発現した有害事象及び重篤な有害事象を含めた。総計で 29,967 人の患者（曝露：56,916 人・年）が対象とされ、そのうち nr-axSpA 患者は 863 人（曝露：709 人・年）であった。最も高頻度に報告された注目すべき重篤な有害事象は感染症であり、その発現頻度は、全体集団で 3.7 件/100 人・年、nr-axSpA 患者で 2.5 件/100 人・年であった。nr-axSpA 患者に認められた主な重篤な感染症は蜂巣炎（0.6 件/100 人・年）及び虫垂炎（0.3 件/100 人・年）であった。また、nr-axSpA 患者では、その他の注目すべき重篤な有害事象として、活動性結核、日和見感染（口腔カンジダ症及び結核を除く）、ループス様症候群、並びに悪性腫瘍（リンパ腫、肝脾 T 細胞リンパ腫、白血病、非黒色腫皮膚癌及び黒色腫を除く）が認められ、その発現頻度はいずれも 0.1 件/100 人・年であった。なお、全体集団におけるこれらの事象の発現頻度はそれぞれ 0.2、＜0.1、＜0.1 及び 0.6 件/100 人・年であった。

2） Huang Y et al. Impact of tumor necrosis factor α inhibitors on MRI inflammation in axial spondyloarthritis assessed by Spondyloarthritis Research Consortium Canada score: A meta-analysis. PLoS One 2020; 15: e0244788[18)]

Spondyloarthritis Research Consortium Canada（SPARCC）スコアを用いて、axSpA における MRI 炎症に対する TNF 阻害薬の効果を検討したメタ・アナリシスに関する論文である。

2020 年 11 月 14 日に OVID Medline、OVID EMBASE 及び Cochrane library のデータベースを包括的に検索し、条件を満たす 11 の無作為化比較試験を選定した。5 試験は axSpA 患者、2 試験は AS 患者、4 試験は nr-axSpA 患者を対象とした試験であり、投与した TNF 阻害薬別では、本薬 5 試験、ゴリムマブ（遺伝子組換え）2 試験、セルトリズマブ　ペゴル（遺伝子組換え）2 試験、エタネルセプト（遺伝子組換え）1 試験、薬剤名非報告 1 試験であった。対照群はプラセボ 9 試験、パミドロン酸 1 試験、従来型合成抗リウマチ薬（csDMARDs）1 試験であった。

axSpA 患者における TNF 阻害薬治療前後の仙腸関節及び脊椎の SPARCC スコアの変化をそれぞれ 11 試験及び 5 試験の成績を用いて検討した結果、対照群と比較した TNF 阻害薬群の SPARCC スコアのベースラインからの変化量の平均差［95%信頼区間］は仙腸関節で 2.86［2.50, 3.23］、脊椎で 1.87［1.27, 2.46］であり、この効果は、疾患（AS、nr-axSpA）による部分集団間で一貫していた。なお、臨床評価指標（ASDAS、BASDAI、BASFI 及び CRP）の解析においても、TNF 阻害薬の axSpA に対する治療効果が確認された。

また、本薬治療前後の仙腸関節及び脊椎の SPARCC スコアの変化をそれぞれ 5 試験及び 3 試験の成績を用いて検討した結果、対照群（プラセボ群）と比較した本薬群の SPARCC スコアのベースラインからの変化量の平均差［95%信頼区間］は仙腸関節で 2.55［2.17, 2.93］、脊椎で 4.44［－0.63, 9.51］であった。

3） Wang S et al. Risk of serious infections in biological treatment of patients with ankylosing spondylitis and non-radiographic axial spondyloarthritis: a meta-analysis. Clin Rheumatol 2018; 37: 439-50[19)]

生物製剤による治療を受けた AS 及び nr-axSpA 患者における重篤な感染症のリスクを検討したメタ・アナリシスに関する論文である。MEDLINE（PubMed 経由）、EMBASE、Cochrane Library 並びに米国リウマチ学会及び欧州リウマチ学会の年次学会の抄録アーカイブの系統的文献検索を行い、条件を満たす試験として、4,527 人（生物製剤投与 2,699 人、プラセボ、NSAIDs 又は DMRADs 投与 1,828 人）の患者を含む 25 の二重盲検無作為化比較試験を選定した。活動性 AS 患者を対象とした 21 試験及び nr-axSpA 患者を対象とした 4 試験において、本薬を含む 5 種類の TNF 阻害薬及び 3 種類の非 TNF 阻害薬が投与されていた。重篤な感染症のリスクについて、生物製剤を投与された axSpA 患者では対照群と比較してオッズ比［95%信頼区間］は 1.42［0.58, 3.47］であり、数値的にわずかに増加したもののリスクに差はないと判断された。なお、AS 患者及び nr-axSpA 患者における、対照群に対する生物製剤のリスク差［95%信頼区間］は、それぞれ 0.00［－0.01, 0.01］及び－0.00［－0.02, 0.01］であった。

また、AS 又は nr-axSpA 患者に本薬を投与した 5 試験の成績を用いて検討した結果、対照群に対する本薬のリスク差［95%信頼区間］は 0.00［－0.01, 0.01］であった。

4） Corbett M et al. Tumour necrosis factor-α inhibitors for ankylosing spondylitis and non-

radiographic axial spondyloarthritis: a systematic review and economic evaluation. Health Technol Assess 2016; 20: 1-334[20)]

活動性 AS 又は nr-axSpA（ただし客観的な炎症徴候を伴うもの）に対する TNF 阻害薬の有効性等に関するレビュー論文である。15 のデータベースから条件を満たす 28 の無作為化比較試験を選定した。28 試験のうち、データ統合に適した 24 試験を対象に解析が行われた。24 試験のうち、AS 患者を対象に本薬が投与された 2 試験を用いて本薬の効果（投与 10～16 週時、プラセボとの比較）を評価したところ、ASAS40 反応率のオッズ比［95%信頼区間］は 5.67［3.56, 8.97］であった。また、nr-axSpA 患者を対象に本薬が投与された 2 試験を用いて本薬の効果（投与 10～16 週時、プラセボとの比較）を評価したところ、ASAS40 反応率のオッズ比［95%信頼区間］は 5.04［2.44, 10.32］であった。

5） Callhoff J et al. Efficacy of TNFα blockers in patients with ankylosing spondylitis and non-radiographic axial spondyloarthritis: a meta-analysis. Ann Rheum Dis 2015; 74: 1241-8[21)]

AS 及び nr-axSpA の治療について、TNF 阻害薬の有効性を検討したメタ・アナリシスに関する論文である。系統的文献検索により、条件を満たす 20 のプラセボ対照二重盲検無作為化比較試験（AS 患者対象：15 試験、nr-axSpA 患者対象：4 試験、両患者対象：1 試験）を選定した。

AS 患者において、プラセボと比較した TNF 阻害薬の ASAS40 反応率のオッズ比［95%信頼区間］は 4.73［3.75, 5.98］であった。また、nr-axSpA 患者において、プラセボと比較した TNF 阻害薬の ASAS40 反応率のオッズ比［95%信頼区間］は 3.62［2,45, 5.34］であった。

（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） Rheumatology, 7th Edition[22)]

nr-axSpA 患者を対象とした第Ⅲ相試験成績に基づき、4 種類の TNF 阻害薬（本薬、セルトリズマブ　ペゴル（遺伝子組換え）、エタネルセプト（遺伝子組換え）及びゴリムマブ（遺伝子組換え））が、欧州連合及びその他の多くの国又は地域で nr-axSpA の治療薬として承認されたが、米国では承認されていない。欧州連合では、TNF 阻害薬による治療を検討する場合、nr-axSpA 患者に客観的な炎症の徴候が認められていることが必須である（これは、axSpA の治療に関する ASAS/EULAR recommendations の最新版にも含まれている）が、世界のすべての地域で必須とされているわけではない。AS 患者では、投与前に CRP 又は MRI が陽性であった場合に、TNF 阻害薬を投与した際により良好な反応が示される可能性があるが、現在のところ必須ではない。欧州連合の添付文書によると、4 種類の TNF 阻害薬の治療有効性は、AS 患者と nr-axSpA 患者でほとんど同じである。

＜日本における教科書等＞

1） Evidence Based Medicine を活かす　膠原病・リウマチ診療　第 4 版 [23)]

nr-axSpA に対する生物製剤を用いた治療について、現在欧州ではインフリキシマブ（遺伝子組換え）以外の TNF 阻害薬に、nr-axSpA への適用がある。

（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） ASAS-EULAR recommendations for the management of axial spondyloarthritis: 2022 update[2)]

TNF 阻害薬による axSpA の治療について、以下の推奨事項が記載されている。

- 推奨 9　従来の治療を実施したにもかかわらず疾患活動性が高い状態が持続する患者に対して TNF 阻害薬、IL-17 阻害薬又は JAK 阻害薬による治療を検討すべきである。現行の治療では TNF 阻害薬又は IL-17 阻害薬から開始する。
- 推奨 10　再発性のぶどう膜炎の既往歴や活動性の炎症性腸疾患がある場合は、TNF 阻害薬を優先すべきである。顕著な乾癬を認める患者では、IL-17 阻害薬が好ましい。
- 推奨 12　1 剤目の生物製剤又は分子標的型合成抗リウマチ薬（tsDMARDs）で効果不十分な場合、他の生物製剤（TNF 阻害薬若しくは IL-17 阻害薬）又は JAK 阻害薬への切替えを考慮すべきである。

2） 2019 Update of the American College of Rheumatology/Spondylitis Association of America/Spondyloarthritis Research and Treatment Network Recommendations for the Treatment of Ankylosing Spondylitis and Nonradiographic Axial Spondyloarthritis[3),4)]

TNF 阻害薬による nr-axSpA の治療について、以下の推奨事項が記載されている。

- 推奨 56　NSAIDs による治療後も活動性の成人 nr-axSpA 患者において、TNF 阻害薬による治療を、同剤による治療を行わないことに比べて強く推奨する。
- 推奨 58　NSAIDs による治療後も活動性の成人 nr-axSpA 患者において、TNF 阻害薬による治療を、トファシチニブによる治療に比べて条件付きで推奨する。
- 推奨 60　NSAIDs による治療後も活動性の成人 nr-axSpA 患者において、TNF 阻害薬による治療を、セクキヌマブ（遺伝子組換え）又はイキセキズマブ（遺伝子組換え）による治療に比べて条件付きで推奨する。

3） 2018 APLAR axial spondyloarthritis treatment recommendations[5)]

TNF 阻害薬による axSpA の治療について、以下の推奨事項が記載されている。

- 推奨 6　2 種類の NSAIDs による治療で効果不十分であった活動性の axSpA 患者に生物製剤の使用を強く推奨する。
- 推奨 8　初めの生物製剤による治療として TNF 阻害薬の使用を強く推奨する。

＜日本におけるガイドライン等＞

1） 脊椎関節炎診療の手引き 2020[24)]

TNF 阻害薬による AS の治療及び nr-axSpA の治療について、以下の内容が記載されている。

- TNF 阻害薬は NSAIDs でコントロール不良の AS に対して用いられる。通常 2 種類以上の NSAIDs 投与によっても BASDAI が 4 以上又は ASDAS が 2.1 以上である場合に TNF 阻害薬の投与を検討する。
- 生物製剤の優先順位としては、臨床試験によるエビデンスが多い TNF 阻害薬から開始する。
- nr-axSpA の治療については、確立された治療のガイドラインは存在しておらず、現時点では AS に準じた治療が行われているのが実際である。

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

国内開発なし

（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

「５．要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について」の項に記載したとおり、本邦での臨床試験の報告はないが、以下のとおり、ax-SpA 患者を対象とした全国疫学調査及び症例報告において、nr-axSpA 患者に対する本薬の臨床使用実態が報告されている。

1） 強直性脊椎炎に代表される脊椎関節炎の疫学調査・診断基準作成と診断ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究において実施された体軸性脊椎関節炎の全国疫学調査（第 1 回）[6),7),8)]

axSpA 患者を対象とした全国疫学調査（第 1 回）の 2 次調査の回答回収率は 49.8%（117/235 施設）であり、2 次調査の解析対象とされた AS 患者は 230 例、nr-axSpA 患者は 84 例であった。2 次調査で回収された nr-axSpA 患者 84 例のうち、39 例（46.4%）に生物製剤が使用され、そのうち TNF 阻害薬は本薬 29 例、インフリキシマブ（遺伝子組換え）6 例であった。本薬使用 29 例中有効例は 26 例（89.7%）であった。

2） nr-axSpA に対する 3 剤併用療法（ADA+MTX+CyA）：症例報告[15)]

3） （第 2 報）ADA 40 mg／週で軽快した nr-axSpA の 1 例[16)]

上記 2 報は同一症例に係るものであり、52 歳男性の nr-axSpA 患者に対して、本薬の治療を開始し、その後、投与量増加及び投与間隔短縮にて軽快した症例報告である。

当該患者は、単純 X 線で全脊椎に錐体の骨棘を認め、MRI 所見陽性、CRP が 10.94 mg/dL、BASDAI 9 の活動性 nr-axSpA 患者であり、HLA-B27 陽性で、炎症性腰痛（幼少期より）、乾癬及び繰り返す前部ぶどう膜炎を合併していた。nr-axSpA に対して本薬 40 mg 隔週投与

による治療を開始し、その後関節所見の改善を認めたものの、投与 4 回目（投与 6 週時点）及び投与 5 回目（投与 8 週時点）の直前に増悪が確認され、投与 5 回目（投与 8 週時点）よりメトトレキサートを漸増併用した。皮膚症状も増悪したため、投与 9 回目（投与開始 16 週時点）よりシクロスポリンの併用を開始した。その後、一時的に各症状は改善したが、肝障害のためメトトレキサートを休薬し、同時に投与 14 回目（投与 28 週時点）より本薬 80 mg 隔週投与へ増量した。しかし症状増悪のため、投与 16 回目（投与 32 週時点）より本薬 40 mg 毎週投与に変更し、症状の改善がみられた。

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

海外では、ABILITY-1 試験において主要評価項目とされた ASAS40 反応率でプラセボに対する本薬の優越性が示され（「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」の項参照）、欧州では、当該試験成績を踏まえて本薬が nr-axSpA に対して承認されている。また、海外の診療ガイドラインでは、本薬を含めた TNF 阻害薬の臨床試験成績に基づいて、nr-axSpA を含む NSAIDs で効果不十分な axSpA に対して、TNF 阻害薬の使用が推奨されている。

国内において、本薬の nr-axSpA 患者を対象とした臨床試験の報告はないものの、「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」の項に示したとおり、全国疫学調査において、日本人 nr-axSpA 患者に対する本薬の使用実態及び有効例が認められた旨の報告がなされている。また、本薬は nr-axSpA と同一の疾患スペクトラムと考えられている AS に対して本邦で承認されており、AS と nr-axSpA は X 線基準を満たす所見※5 の有無を除き、症状は共通していることから、nr-axSpA の臨床症状に対する本薬の有効性は期待できると考えられる。

※5 1984年改訂ニューヨーク基準（Arthritis Rheum 1984; 27: 361-8）に基づき、単純X線画像所見で両側Grade 2以上又は片側Grade 3以上の仙腸関節炎が認められる。

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、国内外の公表文献、診療ガイドライン等における記載状況、国内における使用実態の報告から、日本人 nr-axSpA 患者に対する本薬投与による有効性は医学薬学上公知であると判断した。

（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

海外で実施された ABILITY-1 試験における有害事象の発現状況は「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」の項に記載のとおりであり、nr-axSpA 患者における安全性プロファイルは、AS 及びその他の適応疾患で報告されているものと一致

していた。また、ABILITY-1 試験の非盲検継続投与期において 3 年間の安全性情報が収集され、安全性上の懸念は認められなかった。加えて、「５．要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について（２）Peer-reviewed journal の総説、メタ・アナリシス等の報告状況」の項に記載のとおり、本薬の 77 の臨床試験から収集した安全性情報を解析した結果、nr-axSpA において新たな安全性上の懸念は認められていない。

国内では、本薬は関節リウマチを含む複数の適応で承認されており、日本人に対する安全性情報は集積されている。また、AS に係る効能・効果の承認後に実施され、既に完了している AS 患者対象の特定使用成績調査（全例調査）において、実臨床下での日本人 AS 患者への本薬投与に当たり新たな安全性上の懸念は認められていない。nr-axSpA は AS と同一の疾患スペクトラムであると考えられていること及び海外の nr-axSpA 患者に対する本薬の安全性情報を踏まえると、日本人 nr-axSpA 患者における本薬の安全性は、AS 及びその他の適応疾患で報告されているものと同様であると考えられる。

以上より、検討会議は以下のように考える。

日本人 nr-axSpA 患者に対する本薬投与時の安全性を検討した臨床試験等の報告はないものの、海外臨床試験等において nr-axSpA 患者特有の有害事象は認められておらず、また、要望用法・用量は本邦で承認されている AS の基本用法・用量と同じであることも踏まえると、日本人 nr-axSpA 患者における本薬投与時の安全性は、添付文書での注意喚起を含めた安全対策を AS と同様に行うことで管理可能と考える。

（３）要望内容に係る公知申請の妥当性について

検討会議は、海外の承認状況、国内外の診療ガイドラインにおける記載内容、公表文献、国内における使用実態等に加え、それらを踏まえた上記（１）及び（２）の検討から、日本人 nr-axSpA 患者における本薬 40 mg 隔週皮下投与の有効性及び安全性は、医学薬学上公知であると判断可能と考える。

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

効能・効果については、効能・効果に関連する注意とともに、以下の設定とすることが適当と検討会議は考える。その妥当性について以下に記す。

【効能・効果】（下線部追記）（今回の要望に関連する部分のみ抜粋）

既存治療で効果不十分な下記疾患

<u>○X 線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎</u>

【効能・効果に関連する注意】（下線部追記）（今回の要望に関連する部分のみ抜粋）

<u>＜X 線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎＞</u>

過去の治療において、既存治療薬（非ステロイド性抗炎症薬等）による適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状及び炎症の客観的兆候が認められる場合に投与すること。

【設定の妥当性について】

欧州では、X 線検査で AS の所見は認められないが、CRP 上昇及び／又は MRI による炎症の客観的徴候が認められる重度の成人 axSpA 患者のうち、NSAIDs で効果不十分、又は NSAIDs に不耐容である nr-axSpA に対して本薬が承認されている。また、海外の診療ガイドラインでは、NSAIDs 治療後も活動性の nr-axSpA 患者に対して TNF 阻害薬による治療を推奨する旨が記載されている。国内においては、「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」の項に示したとおり、nr-axSpA に対する本薬の投与実態が確認されている。

検討会議は、以上を踏まえ、海外での承認内容等を参考に、効能・効果を「既存治療で効果不十分な X 線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎」と設定した上で、添付文書の効能・効果に関連する注意の項において、「過去の治療において、既存治療薬（非ステロイド性抗炎症薬等）による適切な治療を行っても、疾患に起因する明らかな臨床症状及び炎症の客観的兆候が認められる場合に投与する」旨を注意喚起することが適切と考える。また、nr-axSpA に対する本薬の投与に際しては、本薬についての十分な知識と適応疾患の治療の知識・経験をもつ医師によって使用されること、及び本薬の治療を行う前には、適応疾患の既存治療を十分勘案することが重要であり、その旨を添付文書の警告の項において注意喚起することが適切と考える。

（２）用法・用量について

用法・用量については、用法・用量に関連する注意とともに以下の記載とすることが適当と検討会議は考える。その妥当性について以下に記す。

【用法・用量】（下線部追記）（今回の要望に関連する部分のみ抜粋）

＜X 線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎＞

通常、成人にはアダリムマブ（遺伝子組換え）として 40 mg を 2 週に 1 回、皮下注射する。

【用法・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）

＜X 線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎＞

本剤による治療反応は、通常投与開始から 12 週以内に得られる。12 週以内に治療反応が得られない場合は、現在の治療計画の継続を慎重に再考すること。

【設定の妥当性について】

欧州では、nr-axSpA に対して本薬 40 mg の隔週皮下投与が承認されている。また、国内における axSpA 患者を対象とした全国疫学調査（第 1 回）では本薬の使用用法・用量の情報は収集されていないものの、nr-axSpA は AS と同一の疾患スペクトラムと考えられており、国内の診療ガイドラインでは nr-axSpA に対して AS に準じた治療が行われている旨が記載され、国内における AS の基本用法・用量は本薬 40 mg 隔週投与である。

検討会議は、以上を踏まえ、nr-axSpA に対する用法・用量は、要望用法・用量のとおり、「通常、成人にはアダリムマブ（遺伝子組換え）として 40 mg を 2 週に 1 回、皮下注射する。」と設定することが適切と考える。

また、海外の添付文書では、海外臨床試験成績を根拠として、nr-axSpA 患者に対する本薬の臨床的効果は通常 12 週間以内に得られる旨、及び当該期間に反応が得られなかった患者においては、治療の継続を注意深く再検討すべきである旨が注意喚起されている。本邦の添付文書では AS に対し本薬の効果判定時期に係る内容が注意喚起されていることも踏まえ、nr-axSpA に対する用法・用量に関連する注意として、「本剤による治療反応は、通常投与開始から 12 週以内に得られる。12 週以内に治療反応が得られない場合は、現在の治療計画の継続を慎重に再考する」旨を注意喚起することが適切と考える。

なお、要望された医薬品は、ヒュミラ皮下注 40 mg シリンジ 0.4 mL、同皮下注 80 mg シリンジ 0.8 mL、同皮下注 40 mg ペン 0.4 mL、同皮下注 80 mg ペン 0.8 mL であるものの、1 回で全量を使用する製剤であり、再使用しない旨が注意喚起されていることを踏まえると、ヒュミラ皮下注 40 mg シリンジ 0.4 mL 及び同皮下注 40 mg ペン 0.4 mL に対してのみ、nr-axSpA に係る効能・効果及び用法・用量を設定することが適切と考える。

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

「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」及び「５．要望内容に係る国内外の公表文献・成書等について」の項に記載したとおり、今回の要望内容については、国内外において有効性及び安全性に関する一定のエビデンスが得られている。

したがって、現時点で、追加すべき試験又は調査はないと考える。

（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) Sieper J et al. Efficacy and safety of adalimumab in patients with non-radiographic axial spondyloarthritis: results of a randomised placebo-controlled trial (ABILITY-1). Ann Rheum Dis 2013; 72: 815-22
2) Ramiro S et al. ASAS-EULAR recommendations for the management of axial spondyloarthritis: 2022 update. Ann Rheum Dis 2023; 82: 19-34
3) Ward MM et al. 2019 Update of the American College of Rheumatology/Spondylitis Association of America/Spondyloarthritis Research and Treatment Network Recommendations for the Treatment of Ankylosing Spondylitis and Nonradiographic Axial Spondyloarthritis. Arthritis Rheum 2019; 71: 1599-613
4) Ward MM et al. 2019 Update of the American College of Rheumatology/Spondylitis Association of America/Spondyloarthritis Research and Treatment Network Recommendations for the Treatment of Ankylosing Spondylitis and Nonradiographic Axial Spondyloarthritis. Arthritis Care Res 2019; 71: 1285-99
5) Tam LS et al. 2018 APLAR axial spondyloarthritis treatment recommendations. Int J Rheum Dis 2019; 22: 340-56
6) 冨田哲也ら、厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）　強直性脊椎炎に代表される脊椎関節炎の疫学調査・診断基準作成と診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究　令和 2 年度 総合研究報告書（2021 年）
7) Matsubara Y et al. A nationwide questionnaire survey on the prevalence of ankylosing spondylitis and non-radiographic axial spondyloarthritis in Japan. Mod Rheumatol 2022; 32: 960-7
8) 冨田哲也ら、X 線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎に対する抗 TNF 製剤の治療成績、第 30 回日本脊椎関節炎学会学術集会プログラム・抄録集（2020 年）p.S-32
9) 米国添付文書（HUMIRA®）
10) 欧州添付文書（Humira 40 mg solution for injection in pre-filled syringe、Humira 40 mg solution for injection in pre-filled pen）
11) 加国添付文書（HUMIRA®）
12) 豪州添付文書（HUMIRA®）
13) van der Heijde D et al. Clinical and MRI remission in patients with nonradiographic axial spondyloarthritis who received long-term open-label adalimumab treatment: 3-year results of the ABILITY-1 trial. Arthritis Res Ther 2018; 20: 61
14) Landewé R et al. Efficacy and safety of continuing versus withdrawing adalimumab therapy in maintaining remission in patients with non-radiographic axial spondyloarthritis (ABILITY-3):

a multicentre, randomised, double-blind study. Lancet 2018; 392: 134-44
15) 小橋川剛ら、nr-axSpA に対する 3 剤併用療法（ADA+MTX+CyA）：症例報告、第 61 回日本リウマチ学会総会・学術集会プログラム・抄録集（2017 年）p.811
16) 小橋川剛ら、（第 2 報）ADA 40 mg／週で軽快した nr-axSpA の 1 例、第 27 回日本脊椎関節炎学会学術集会プログラム・抄録集（2017 年）p.37
17) Burmester GR et al. Long-Term Safety of Adalimumab in 29,967 Adult Patients From Global Clinical Trials Across Multiple Indications: An Updated Analysis. Adv Ther 2020; 37: 364-80
18) Huang Y et al. Impact of tumor necrosis factor α inhibitors on MRI inflammation in axial spondyloarthritis assessed by Spondyloarthritis Research Consortium Canada score: A meta-analysis. PLoS One 2020; 15: e0244788
19) Wang S et al. Risk of serious infections in biological treatment of patients with ankylosing spondylitis and non-radiographic axial spondyloarthritis: a meta-analysis. Clin Rheumatol 2018; 37: 439-50
20) Corbett M et al. Tumour necrosis factor-α inhibitors for ankylosing spondylitis and non-radiographic axial spondyloarthritis: a systematic review and economic evaluation. Health Technol Assess 2016; 20: 1-334
21) Callhoff J et al. Efficacy of TNFα blockers in patients with ankylosing spondylitis and non-radiographic axial spondyloarthritis: a meta-analysis. Ann Rheum Dis 2015; 74: 1241-8
22) Rheumatology, 7th Edition, 2018, Marc C et al.
23) Evidence Based Medicine を活かす　膠原病・リウマチ診療　第 4 版、2020 年、東京女子医科大学病院膠原病リウマチ痛風センター編
24) 脊椎関節炎診療の手引き 2020、2020 年、日本脊椎関節炎学会／厚生労働科学研究費補助金（難治性疾患政策研究事業）「強直性脊椎炎に代表される脊椎関節炎の疫学調査・診断基準作成と診療ガイドライン策定を目指した大規模多施設研究」班編

資料５－１

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、2024 年 5 月 31 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 47 件及び第Ⅳ回要望分開発要請 87 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５－３「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５－４「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５－５「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５－６「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）

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）

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５－２

企業から提出された開発工程表における進捗について

（令和６年５月 31 日時点）

資料５－３から５－６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は以下のとおり。

要望回数	件数の変化（件）	備考
第Ⅳ回	８４→８７	2024 年４月 IV-117 インドシアニングリーン IV-118 インドシアニングリーン IV-168, IV-169 リツキシマブ（遺伝子組換え） に係る開発要請を行った。

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
前回資料からの変更なし。

⑷　第Ⅳ回開発要請
承認済み品目が、２件増え、５５件
承認申請済み品目が、５件増え、６件
公知申請予定品目が、３件増え、１９件

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	進捗内容
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	承認申請済み →承認済み（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	承認申請済み →承認済み（2024 年３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）	公知申請予定 →承認申請済み（2024 年５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 調製用セルセプト懸濁用散 31.8%	【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。	公知申請予定 →承認申請済み（2024 年５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	公知申請予定 →承認申請済み（2024 年５月）
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	公知申請予定 →承認申請済み（2024 年２月）
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 感染症の予防	公知申請予定 →承認申請済み（2024 年２月）
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	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
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	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
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	広義の自己免疫性溶血性貧血（温式、冷式を含む）	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加

			リツキサン点滴静注 500mg		

資料　５－３

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅰ回要望)（令和6年5月31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	103	72	5	1	181
承認申請済み	1	0	0	1	2
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

（単位：件）

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

	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	103	72	5	1	181
承認申請済み	1	0	0	1	2
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

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

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（181件）

＜第1回開発要請分（103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	○

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
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	○

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
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	○

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
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。なお、症状に応じて180μg/kgまで増量できる。 （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	

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
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	

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
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	○

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
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。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。 （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	○

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
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	

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
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	

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
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	

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
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	

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
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	

＜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	○

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
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	○

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
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	○

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
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	

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
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	

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
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	

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
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	

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
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	○

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
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（1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	

a-1. 承認申請済みのもの （2件）

＜第1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	特記事項
173	サノフィ	チフス菌Vi多糖体抗原ワクチン	Typhim Vi	腸チフスの感染予防	

＜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（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	特記事項
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	Lambert-Eaton筋無力症候群による筋力低下の改善	

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　５－４

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅱ回要望)（令和6年5月31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	0	0
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	1	8
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

（単位：件）

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

	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	0	0
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. 開発要請半年後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	1	8

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	○

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-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	○

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-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	

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-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	

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-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	

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-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	○

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-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	○

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

＜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	○

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-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（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）＞

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（8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	2024年9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)	2024年9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	2024年9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	2024年9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（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
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	未定	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

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　５－５

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅲ回要望)（令和6年5月31日時点）

（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）	計
承認済み	38	3	1	0	0	0	42
承認申請済み	0	0	0	0	0	0	0
治験計画届提出済み	0	0	0	0	0	0	0
公知申請予定	1	0	0	0	0	1	2
治験計画届提出予定	0	0	0	0	0	0	0
その他	0	0	0	1	2	0	3
合計	39	3	1	1	2	1	47

開発要請取り下げ	8	0	0	0	0	0	8

（単位：件）

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

	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）	計
承認済み	38	3	1	0	0	0	42
承認申請済み	0	0	0	0	0	0	0
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1～11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）	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1～11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）	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1～11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）	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1～11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）	計
1	0	0	0	0	1	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）	計
0	0	0	0	0	0	0

g. その他

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）	計
0	0	0	1	2	0	3

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）	計
8	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	○

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-①-18	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	○

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-①-76.1 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	○

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-③-25	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

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	○

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-④-20	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）＞

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

＜第15回開発要請分（0件）＞

＜第16回開発要請分（0件）＞

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）＞

＜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）＞

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）＞

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）＞

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）＞

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）＞

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	2024年8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（0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）	2025年1月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

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）＞

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（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	未定	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（2件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
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	使用実態調査中
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 m	肝移植後の急性拒絶反応の抑制	使用実態調査中

＜第16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）＞

資料　５－６

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅳ回要望)（令和6年5月31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1～8回開発要請分（2016～2018年度分）	第9～14回開発要請分（2019～2020年度分）	第15～22回開発要請分（2021年度分）	第23，24回開発要請分（2022年度分）	第25回開発要請分（2023年1月）	第26回開発要請分（2023年6月）	第27回開発要請分（2023年9月）	第28回開発要請分（2024年4月）	計
承認済み	15	15	24	1	0	0	0	0	55
承認申請済み	0	3	0	1	1	0	1	0	6
治験計画届提出済み	1	1	5	0	0	0	0	0	7
公知申請予定	3	2	1	1	5	1	3	3	19
その他	0	0	0	0	0	0	0	0	0
合計	19	21	30	3	6	1	4	3	87

開発要請取り下げ	0	2	1	0	0	0	0	0	3

a-0. 承認済みのもの（55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（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-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	○

＜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（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	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（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）＞

a-1. 承認申請済みのもの（6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（3件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
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。	○
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）	○
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	○

＜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（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	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	○

＜第24回開発要請分（0件）＞

＜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	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	○

＜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
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感染症の予防	○

＜第28回開発要請分（0件）＞

a-2. 治験計画届提出済みのもの（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	個別事情
Ⅳ-27	藤本製薬	ケノデオキシコール酸	未定	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（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（1件）＞

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	個別事情
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	個別事情
Ⅳ-80	Swedish Orphan Biovitrum Japan	アナキンラ	未定	成人スチル病	
Ⅳ-81	Swedish Orphan Biovitrum Japan	アナキンラ	未定	全身型若年性特発性関節炎	

＜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
ⅣS-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）＞

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）＞

＜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）＞

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの（19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	2025年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
Ⅳ-26	MSD	テモゾロミド	テモダールカプセル	膵神経内分泌腫瘍	2025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	2025年12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（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-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	2025年4月	学会で本剤の適正使用に関する調査を実施中	―
Ⅳ-71	富士製薬工業	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	2024年9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）＞

＜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	2025年9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8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	2025年9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	2025年9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	2025年9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	2024年9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	2024年9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）	未定	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（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）	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
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	2024年12月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
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8月	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（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）	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	未定		
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	未定		
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）	2025年1月		

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）＞

＜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）＞

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）＞

資料　6

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（令和6年5月31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	安息香酸ナトリウム・フェニル酢酸ナトリウム配合剤	尿素サイクル異常症患者における急性発作時の血中アンモニア濃度の低下	武田薬品工業（株）	未公表
16	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
17	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 13	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
		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	あり（企業名未公表）	未公表
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	あり（企業名未公表）	未公表
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）	治験準備中
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

※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）	治験準備中
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	イソトレチノイン	高リスク神経芽腫の維持療法	武田テバファーマ（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	サンドファーマ（株）	検討中
12	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・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

2023年6月9日　医薬品の迅速・安定供給実現に向けた
総合対策に関する有識者検討会 報告書 参考資料

- 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

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

※厚生労働科学特別研究事業において、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予定

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

国内未承認薬（ドラッグロス品目）の詳細について

- 2023年3月時点のドラッグロス品目（国内開発情報無し）※に関する薬効分類（ATC分類）と適応症
- 各品目の詳細情報は次頁以降参照

ATC分類	適応症
全身性抗感染症薬（18品目）	尿路感染症, CABP, ABSSSI, 腹腔内感染症, 多剤耐性結核, 尋常性ざ瘡 ザイールエボラウイルス, HCV, 代償性肝硬変 天然痘, HIV-1, 炭疽
消化管及び代謝用剤（11品目）	糖尿病(1型, 2型), POMCによる肥満症 α-マンノシドーシス, 慢性特発性便秘, IBS 原発性高シュウ酸尿症1型 長鎖脂肪酸酸化障害 旅行者下痢, カルチノイド症候群下痢
神経系用剤（10品目）	統合失調症, 片頭痛, 急性疼痛 悪心・嘔吐, 産後うつ病 (PPD) 閉塞性睡眠時無呼吸症候群 (OSA) レノックス・ガトー症候群, Dravet症候群 オピオイド離脱症状緩和薬, パーキンソン病 ハンチントン病、遅発性ジスキネジア
抗悪性腫瘍剤（8品目）	乳がん(HER2+, TN), ALL, GIST 前立腺がん, 有毛細胞白血病 神経芽細胞腫
抗寄生虫薬、殺虫剤及び防虫剤（8品目）	シャーガス病, マラリア, オンコセルカ症 トリコモナス膣炎, アタマジラミ, 肝蛭症

ATC分類	適応症
血液及び造血器官用剤（5品目）	鎌状赤血球症, 血管閉塞軽減,鉄欠乏症 非経口栄養関連胆汁うっ滞, 静脈血栓塞栓症
筋骨格筋用剤（3品目）	デュシェンヌ型筋ジストロフィー, 高尿酸血症,
皮膚科用剤（2品目）	尋常性ざ瘡
呼吸器官用剤（3品目）	嚢胞性線維症, COPD
免疫調節剤（2品目）	多発性硬化症, 腎臓移植に伴う脱感作
循環器官用剤（2品目）	家族性高カイロミクロン血症症候群(FCS) 敗血症患者への血管収縮剤
全身性ホルモン剤；性ホルモン剤除く (2品目)	子宮内膜症性疼痛, デュシェンヌ型筋ジストロフィー
感覚器官用剤（1品目）	ドライアイ

※　2023年3月時点の国内開発情報無し86品目のうち、診断薬等11品目を除く75品目

出所：医薬産業政策研究所調査を元に製薬協にて作成

全身性抗感染症薬(18品目：1/2)

米国製品名	米国FDA又はEMA申請企業	ベンチャー	米国承認年	米国又は欧州での適応疾患	米国の薬事特例指定*	欧州承認年	欧州の薬事特例指定*	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無**	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無***	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
EBANGA	RIDGEBACK BIOTHERAPEUTICS	○	2020	ザイールエボラウイルスによる感染	BT、OR	情報無し	—	ザイールエボラウイルス糖蛋白抗体	無	無	○	○	WHOは、エボラ治療に本剤の強力に推奨
INMAZEB	REGENERON PHARMACEUTICALS		2020	ザイールエボラウイルスによる感染	BT、OR	情報無し	—	ザイールエボラウイルス糖蛋白抗体	無	無	○	○	WHOは、エボラ治療に本剤の強力に推奨
HEPCLUDEX	MYR GmbH	○	申請中	慢性D型肝炎ウイルス（HDV）感染	—	2021	AA、PR、OR	ウイルスタンパク質阻害剤	無	無		○	
RUKOBIA	VIIV HLTHCARE	○	2020	HIV-1 感染症	FT、BT	2021	—	T細胞表面抗原CD4阻害剤	有（但し核酸系逆転写酵素阻害剤、非核酸系逆転写酵素阻害剤、プロテアーゼ阻害剤等を組み合わせた治療が標準）	無			海外GLでは新薬であり、現時点では初期治療に推奨されていない
XENLETA	NABRIVA	○	2019	細菌性肺炎	FT	2020	—	タンパク合成阻害作用	無	無			国内GLでは市中肺炎に対して他薬剤有
PRETOMANID	MYLAN IRELAND		2019	多剤耐性結核	FT	2020	—	ミコール酸合成阻害作用	有	無		○	米国CDC、WHOのGLでは推奨
NUZYRA	PARATEK PHARMS	○	2018	急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症(ABSSSI)	FT	Phase Ⅲ	—	細菌30Sリボソーム蛋白阻害剤	無	無			国内GLでは市中肺炎に対して他薬剤有
SEYSARA	ALLERGAN		2018	尋常性ざ瘡	—	情報無し	—	細菌70Sリボソーム阻害剤	有	有	○		米国GLでは第一選択薬の１つ
DELSTRIGO	MERCK SHARP AND DOHME		2018	HIV-1 感染症	—	2018	—	非ヌクレオシド系HIV逆転写酵素阻害作用/ヌクレオシド系HIV逆転写酵素阻害作用(2剤)	有	有	○		

注記(各資料共通)　*　BT：Breakthrough Therapy、FT：Fast Track、PR：PRIME、AA：Accelerated Assessment、OR：オーファン
**　類似薬選定のための薬剤分類(改訂第13版)に基づき、薬剤分類や承認済適応症を考慮し判断(日薬連薬価研、製薬協調べ)
***　Evaluateの薬理分類に基づく

全身性抗感染症薬(18品目：2/2)

米国製品名	米国FDA又はEMA申請企業	ベンチャー	米国承認年	米国又は欧州での適応疾患	米国の薬事特例指定*	欧州承認年	欧州の薬事特例指定*	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無**	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無***	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
XERAVA	TETRAPHASE PHARMS	○	2018	複雑性腹腔内感染症	FT	2018	—	細菌30Sリボソーム蛋白阻害剤	有	無			
TPOXX	SIGA TECHNOLOGIES	○	2018	天然痘	FT、OR	2022	—	ワクシニアウイルスp37タンパク質阻害剤	無	無	○	○	米国GLでは第一選択
ZEMDRI	ACHAOGEN	○	2018	複雑性尿路感染症	—	情報無し	—	アミノグリコシド系	有	有			
TROGARZO	TAIMED BIOLOGICS USA	○	2018	HIV-1 感染症	FT、BT、OR	2019	—	T細胞表面抗原CD4抗体	有（但し、核酸系逆転写酵素阻害剤、非核酸系逆転写酵素阻害剤、プロテアーゼ阻害剤等を組み合わせた治療が標準）	無		○	
VABOMERE	REMPEX PHARMS MEDCNS	○	2017	尿路感染症	FT	2018	—	細菌性ペニシリン結合蛋白阻害薬;βラクタマーゼ阻害剤（配合剤）	有	有			カルバペネム耐性菌はWHOから新規抗菌薬が緊急とされており、代替薬は1剤のみ
VOSEVI	GILEAD SCIENCES		2017	HCV, 代償性肝硬変	FT、BT	2017	AA	C型肝炎NS3プロテアーゼ阻害剤;C型肝炎NS5A阻害剤;C型肝炎NS5Bポリメラーゼ阻害剤（配合剤）	無	無	○		海外GLでは他剤治療無効例に推奨
BAXDELA	MELINTA	○	2017	急性細菌性皮膚感染症(ABSSSI)	FT	2019	—	フルオロキノロン系抗菌剤	有	無			
ANTHIM	ELUSYS THERAPEUTICS	○	2016	抗炭疽菌症	FT	2020	OR	炭疽菌防御抗原抗体	無	無	○	○	
ZEPATIER	MERCK SHARP DOHME		2016	HCV	BT	2016	—	C型肝炎NS5A阻害剤;C型肝炎プロテアーゼ阻害剤	有	有	○		ゲノタイプ1型・4型のHCVに使用（海外GL）

消化管及び代謝用剤(11品目)

米国製品名	米国FDA又はEMA申請企業	ベンチャー	米国承認年	米国又は欧州での適応疾患	米国の薬事特例指定*	欧州承認年	欧州の薬事特例指定*	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無**	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無***	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
IMCIVREE	RHYTHM	○	2020	POMCによる肥満症	BT、OR	2021	PR、OR	メラノコルチン-4受容体アゴニスト	無	無	○	○	小児慢性特定疾病（49）
OXLUMO	ALNYLAM PHARMS	○	2020	原発性高シュウ酸尿症1型	BT、OR	2020	PR、AA、OR	グリコール酸オキシダーゼ阻害剤	無	無	○	○	指定難病（234）、小児慢性特定疾病（35 原発性高シュウ酸尿症）
DOJOLVI	ULTRAGENYX PHARM	○	2020	長鎖脂肪酸酸化障害	FT、OR	情報無し	—	トリグリセリド調節剤	無	無	○	○	指定難病（番号無し）、小児慢性特定疾病（49）
QTERNMET XR	ASTRAZENECA AB		2019	2型糖尿病	—	2019	—	DPP4阻害薬、SGLT2阻害薬、ビグアナイド剤（配合剤）	有	有			
ZYNQUISTA	sanofi-aventis groupe		申請	1型糖尿病	—	2019	—	SGLT1阻害薬	有	無			
AEMCOLO	COSMO TECHNOLOGIES	○	2018	旅行者下痢	FT	申請	—	細菌DNA標的RNAポリメラーゼ阻害剤	無	無			
LAMZEDE	Chiesi Farmaceutic		申請	α-マンノシドーシス	OR	2018	OR	α-マンノシダーゼ刺激薬	無	無	○	○	指定難病（ライソゾーム病として）
SEGLUROMET	MERCK SHARP DOHME		2017	２型糖尿病	—	2018	—	ビグアナイド剤、SGLT2阻害薬（配合剤）	有	無			
STEGLUJAN	MERCK SHARP DOHME		2017	２型糖尿病	—	2018	—	DPP4阻害薬、SGLT2阻害薬（配合剤）	有	有			
XERMELO	LEXICON PHARMS	○	2017	カルチノイド症候群下痢	FT、OR	2017	OR	トリプトファン水酸化酵素阻害剤	無	無		○	
TRULANCE	SYNERGY PHARMS	○	2017	慢性特発性便秘、IBS	—	情報無し	—	グアニル酸シクラーゼC型受容体アゴニスト	有	有			海外GLでリンゼス、アミティーザと同レベルで推奨

神経系用剤(10品目)

米国製品名	米国FDA又はEMA申請企業	ベンチャー	米国承認年	米国又は欧州での適応疾患	米国の薬事特例指定*	欧州承認年	欧州の薬事特例指定*	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無**	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無***	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
OLINVYK	TREVENA	○	2020	急性疼痛	FT	情報無し	—	μオピオイド受容体作動薬	有	有			
BARHEMSYS	ACACIA PHARMA	○	2020	術後の悪心・嘔吐	—	申請	—	ドパミンD2受容体拮抗薬;ドパミンD3受容体拮抗薬	有（但し、術後悪心嘔吐に対する適応有の薬剤は無）	無			
UBRELVY	ALLERGAN		2019	片頭痛	—	情報無し	—	CGRPアンタゴニスト	無（既存薬は注射剤（抗体）、本剤は経口剤（低分子））	無			
CAPLYTA	INTRA-CELLULAR	○	2019	統合失調症	FT	Phase Ⅲ	—	セロトニン受容体拮抗薬;ドパミンD2受容体拮抗薬	有	無			
SUNOSI	JAZZ PHARMA IRELAND		2019	閉塞性睡眠時無呼吸症候群	OR	2020	—	抗ドパミン作用／抗セロトニン作用	無	無		○	
ZULRESSO	SAGE THERAPEUTICS	○	2019	産後うつ病（PPD）	BT	情報無し	—	GABA A受容体調節薬	無	無			
EPIDIOLEX	GW RESEARCH	○	2018	レノックス・ガトー症候群、Dravet症候群	FT、OR	2019	OR	カンナビノイド（CB）受容体作動薬	無	無	○	○	日本てんかん協会等よりエピディオレックス（カンナビジオール医薬品）承認の要望書有
LUCEMYRA	US WORLDMEDS	○	2018	オピオイド離脱症状緩和薬	FT	申請	—	α2アドレナリン受容体作動薬	無	無			
AUSTEDO	TEVA BRANDED PHARM		2017	ハンチントン病、遅発性ジスキネジア	OR	情報無し	—	小胞モノアミントランスポーター2阻害剤	有	有		○	
NUPLAZID	ACADIA PHARMS	○	2016	パーキンソン病に伴う幻覚及び妄想	BT	Phase Ⅲ	—	5-HT2A受容体インバースアゴニスト	無	無			

抗悪性腫瘍剤(8品目)

米国製品名	米国FDA又はEMA申請企業	ベンチャー	米国承認年	米国又は欧州での適応疾患	米国の薬事特例指定*	欧州承認年	欧州の薬事特例指定*	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無**	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無***	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
MARGENZA	MACROGENICS	○	2020	HER2乳がん	FT	Phase Ⅲ	—	抗体依存性細胞障害作用（抗HER2ヒト型モノクローナル抗体）	有	有			今後日本での開発・承認が期待される（乳癌診療ガイドライン2022年版）
DANYELZA	Y-MABS THERAPEUTICS	○	2020	神経芽細胞腫	BT、OR	Phase Ⅱ	—	GD2結合モノクローナル抗体	有	有	○	○	小児慢性特定疾病（27）
QINLOCK	DECIPHERA PHARMACEUTICALS	○	2020	進行性消化管間質腫瘍（切除不能または転移性GISTに対する二次療法）	FT、BT、OR	2021	OR	抗腫瘍作用チロシンキナーゼ阻害作用	有（海外では先行治療の無効例に対する適応）	無		○	希少がんに対する新薬開発について要望書（21年5月GISTERS、日本希少がん患者会ネットワーク）
AYVAKIT	IMMUNOMED		2020	胃腸間質腫瘍	FT、BT、OR	2021	OR	抗腫瘍作用チロシンキナーゼ阻害作用	無（本剤は標準治療が反応しないPDGFAエクソン18に変異を持つ進行GIST患者が対象）	無		○	
TRODELVY	BLUEPRINT MEDICINES	○	2020	トリプルネガティブ乳がん	FT、BT	2021	AA	抗Trop-2 ADC	無	無			早期承認に向けた要望書（21年3月、ふくろうの会）、未承認薬検討会議（要望番号Ⅳ-105）
ASPARLAS	SERVIER PHARMA		2018	急性リンパ性白血病(ALL)	OR	情報無	—	アスパラギナーゼ受容体刺激作用	有	有	○	○	
LUMOXITI	ASTRAZENECA AB		2018	有毛細胞白血病(HCL)	FT、OR	2021	OR	核酸合成阻害作用/二本鎖DNA切断作用/抗体薬物複合体	無	無		○	
TOOKAD	STEBA Biotech S.A	○	—	前立腺がん	—	2017	—	細胞内呼吸障害作用・活性酸素生成作用	無	無			

抗寄生虫薬、殺虫剤及び防虫剤(8品目)

米国製品名	米国FDA又はEMA申請企業	ベンチャー	米国承認年	米国又は欧州での適応疾患	米国の薬事特例指定*	欧州承認年	欧州の薬事特例指定*	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無**	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無***	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
LAMPIT	BAYER HEALTHCARE		2020	シャーガス病	OR	情報無し	—	ニトロフラン抗原虫薬	無	無	○	○	シャーガス病の診療GLにて、治療薬の1つとして位置づけられ、WHOから入手する必要性が提示
XEGLYZE	DR REDDYS LABS SA		2020	アタマジラミの局所治療	—	情報無し	—	マトリックスメタロプロテイナーゼ（MMP）阻害剤	有（但し、同一効能薬は無し）	無	○		
ARTESUNATE	AMIVAS	○	2020	マラリア	FT、BT、OR	2021	OR	抗マラリア薬	無（本剤は注射剤だが、錠剤の別成分既存薬は有）	無	○	○	
EGATEN	NOVARTIS PHARMS		2019	肝蛭症	FT、OR	情報無し	—	駆虫薬	無	無		○	
KRINTAFEL	GLAXOSMITH KLINE 60 DEGREES PHARMS		2018	マラリア	BT、OR	情報無し	—	ミトコンドリアチトクロムc還元酵素阻害剤	有	無		○	
MOXIDECTIN	MDGH	○	2018	オンコセルカ症の駆虫薬	OR	情報無し	—	駆虫薬	無	無	○	○	
SOLOSEC	LUPIN		2017	細菌性膣炎	FT	情報無し	—	ニトロイミダゾール系抗菌薬	無	無	○		
BENZNIDAZOLE	CHEMO RESEARCH SL		2017	シャーガス病	OR	情報無し	—	ニトロイミダゾール系抗菌薬	無	無	○	○	シャーガス病の診療GLにて、治療薬の1つとして位置づけられ、WHOから入手する必要性が提示

血液及び造血器官用剤(5品目)

米国製品名	米国FDA又はEMA申請企業	ベンチャー	米国承認年	米国又は欧州での適応疾患	米国の薬事特例指定*	欧州承認年	欧州の薬事特例指定*	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無**	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無***	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
OXBRYTA	GLOBAL BLOOD THERAPS	○	2019	鎌状赤血球症	FT、BT、OR	2022	PR、OR	鎌状赤血球ヘモグロビン（HbS）重合阻害剤	無	無	○	○	小児慢性特性疾病（13）
ADAKVEO	NOVARTIS PHARMS		2019	鎌状赤血球症による血管閉塞軽減	BT、OR	2020	OR	P-セレクチン抗体	無	無		○	
OMEGAVEN	FRESENIUS KABI USA		2018	非経口栄養関連胆汁うっ滞	FT、OR	情報無し	—	不明	無	無	○	○	「小児静脈栄養関連胆汁うっ滞における栄養補給」について未承認薬検討会議に開発要望が提出有（要望番号Ⅳ-72）
BEVYXXA	PORTOLA PHARMS	○	2017	静脈血栓塞栓症	FT	情報無し	—	凝固第Xa因子阻害薬	有	有			
ACCRUFER	SHIELD TX	○	2019	鉄欠乏症	—	2016	—	ヘモグロビン調節薬	有	有			

筋骨格筋用剤(3品目)、全身性ホルモン剤(2品目)、皮膚科用剤(2品目)

米国製品名	米国FDA又はEMA申請企業	ベンチャー	米国承認年	米国又は欧州での適応疾患	米国の薬事特例指定*	欧州承認年	欧州の薬事特例指定*	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無***	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無**	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
VYONDYS 53	SAREPTA THERAPEUTICS		2019	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	FT、OR	Phase Ⅲ	—	エクソン53スキッピング作用	有	有	○	○	指定難病（113）、小児慢性特性疾病（45） 疾患全体としての開発要望（日本筋ジストロフィー協会、2023年6月）
EXONDYS 51	SAREPTA THERAPEUTICS		2016	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	FT、OR	Phase Ⅲ	—	エクソン51スキッピング作用	無	無	○	○	
DUZALLO	Ardea Biosciences		2017	高尿酸血症	—	2018	—	URAT1阻害薬、キサンチンオキシダーゼ阻害薬（配合剤）	有	無			
ORILISSA	ABBVIE		2018	子宮内膜症への痛み	—	情報無し	—	GnRH受容体拮抗薬	有	有			
EMFLAZA	MARATHON PHARMACEUTICALS	○	2017	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	FT、OR	開発情報なし	—	抗炎症作用／免疫抑制作用・糖質副腎皮質ホルモン作用・ステロイドレセプター結合、特異的タンパク合成促進作用	有（同一作用機序の既存薬はあるが当該適応症無）	無	○	○	指定難病（113）、小児慢性特性疾病（45） 疾患全体としての開発要望（日本筋ジストロフィー協会、2023年6月）
WINLEVI	CASSIOPEA SPA	○	2019	尋常性ざ瘡	—	Phase Ⅲ	—	アンドロゲン受容体調節薬	無	無	○		米国の尋常性ざ瘡GLにおいて、第一選択肢の１つ
AKLIEF	GALDERMA		2018	尋常性ざ瘡	—	申請	—	レチノイド酸受容体γアゴニスト	有	有	○		米国の尋常性ざ瘡GLにおいて、第一選択肢の１つ

呼吸器官用剤(3品目)、免疫調整剤(2品目)、循環器官用剤(2品目)、感覚器官用剤(1品目)

米国製品名	米国FDA又はEMA申請企業	ベンチャー	米国承認年	米国又は欧州での適応疾患	米国の薬事特例指定*	欧州承認年	欧州の薬事特例指定*	薬理作用	当該適応症を有する既存薬の有無***	国内で当該適応症での当該作用機序薬の有無**	小児	希少疾病	開発要望、学会ガイドライン等
TRIKAFTA	VERTEX PHARMS		2019	嚢胞性線維症	FT、BT、OR	2020	OR	嚢胞性線維症膜コンダクタンス制御因子（CFTR）増強薬;嚢胞性線維症膜コンダクタンス制御因子（CFTR）	無	無	○	○	指定難病（299）、小児慢性特定疾病（8）
SYMDEKO	VERTEX PHARMS		2018	嚢胞性線維症	FT、BT、OR	2018	OR		無	無	○	○	
YUPELRI	MYLAN IRELAND		2018	閉塞性肺疾患（COPD）	—	情報無し	—	長時間作用性抗コリン薬（LAMA）	有	有			
IDEFIRIX	Hansa Biopharma AB	○	情報無し	腎臓移植に伴う脱感作	—	2020	PR,OR	免疫グロブリン阻害薬	有	無		○	
ZIMBRYTA	BIOGEN		2016	多発性硬化症	—	2016	—	インターロイキン2（IL-2）受容体サブユニットα抗体	有	無			
WAYLIVRA	Akcea Therapeutics Ireland	○	情報無し	家族性高カイロミクロン血症症候群（FCS）	OR	2019	—	アポリポ蛋白C（ApoC）3アンチセンス	無	無		○	
GIAPREZA	LA JOLLA PHARM CO	○	2017	敗血症患者への血管収縮剤	—	2019	—	アンジオテンシンII受容体1（AT1）アゴニスト	無	無			
XIIDRA	SHIRE DEV		2016	ドライアイ	—	Phase Ⅲ	—	リンパ球機能関連抗原1（LFA1）拮抗薬	有	無			ノバルティス社が本資産を現在承継

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

新	博次	日本医科大学　名誉教授
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	国立がん研究センター中央病院　副院長（教育担当）・呼吸器内科長
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　血液腫瘍科　科長兼小児がんセンター長
崔	吉道	金沢大学附属病院　教授・薬剤部長
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 59 回検討会議　参考人

宮崎	義継	国立感染症研究所　ハンセン病研究センター　センター長　兼　真菌部　部長
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

参考資料 3-1

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　医療統計学　教授
	鈴木 亮	東京医科大学病院　糖尿病・代謝・内分泌内科　主任教授
	軒原　浩	国際医療研究センター　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／特命教授
	大門　貴志	兵庫医科大学　医療統計学　教授
	橋詰　淳	国立大学法人名古屋大学　臨床研究教育学　講師
	星出　聡	自治医科大学内科学講座循環器内科学部門　教授
	又吉　哲太郎	沖縄大学健康栄養学部管理栄養学科　学科長　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 副院長
	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　医療統計学　教授
	吉冨　健志	福岡国際医療福祉大学 視能訓練学科 学科長
抗菌・抗炎症WG	宮崎　義継	国立感染症研究所　ハンセン病研究センター　センター長　真菌部　部長
	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　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・臨床研究支援センター　教授
	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感染制御科　准教授
	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　講師
	大庭　幸治	東京大学大学院 情報学環 准教授 兼医学系研究科公共健康医学専攻生物統計学分野 准教授
	柴田　大朗	国立がん研究センター　研究支援センター　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	群馬大学　理事・副学長
小児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
	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 高崎総合医療センター副薬剤部長
	庄司　健介	国立成育医療研究センター病院　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	群馬大学　理事・副学長
	森川　和彦	都立小児総合医療センター　臨床試験支援センター長

※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6年7月5日現在

氏　名	学　会
新　博次	なし
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	日本肺癌学会
北風　政史	なし
康　勝好	なし
崔　吉道	日本医療薬学会、日本緩和医療薬学会、日本病院薬剤師会、薬剤師認定制度認証機構
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、日本先天異常学会
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	日本神経精神薬理学会、日本うつ病学会、日本不安症学会、日本社会精神医学会、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