

第 61 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 7 年 1 月 30 日(木)
オンライン会議
(厚生労働省)

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. 個別品目の特定用途医薬品の指定への該当性について
6. 企業から提出された開発工程表等について
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 3-1 小児 WG

資料 3-2 循環器 WG

公知申請への該当性に係る報告書（案）

資料 4 小児 WG

「特定用途医薬品に係る基準」への該当性に関する専門作業班（WG）の評価

資料 5 小児 WG

開発要請・開発企業の募集を行った品目の進捗状況

資料 6-1 企業から提出された開発工程表について

資料 6-2 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 6-3 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 6-4 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 6-5 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 6-6 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 7 開発企業の募集を行った医薬品のリスト

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

- ・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

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)

【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

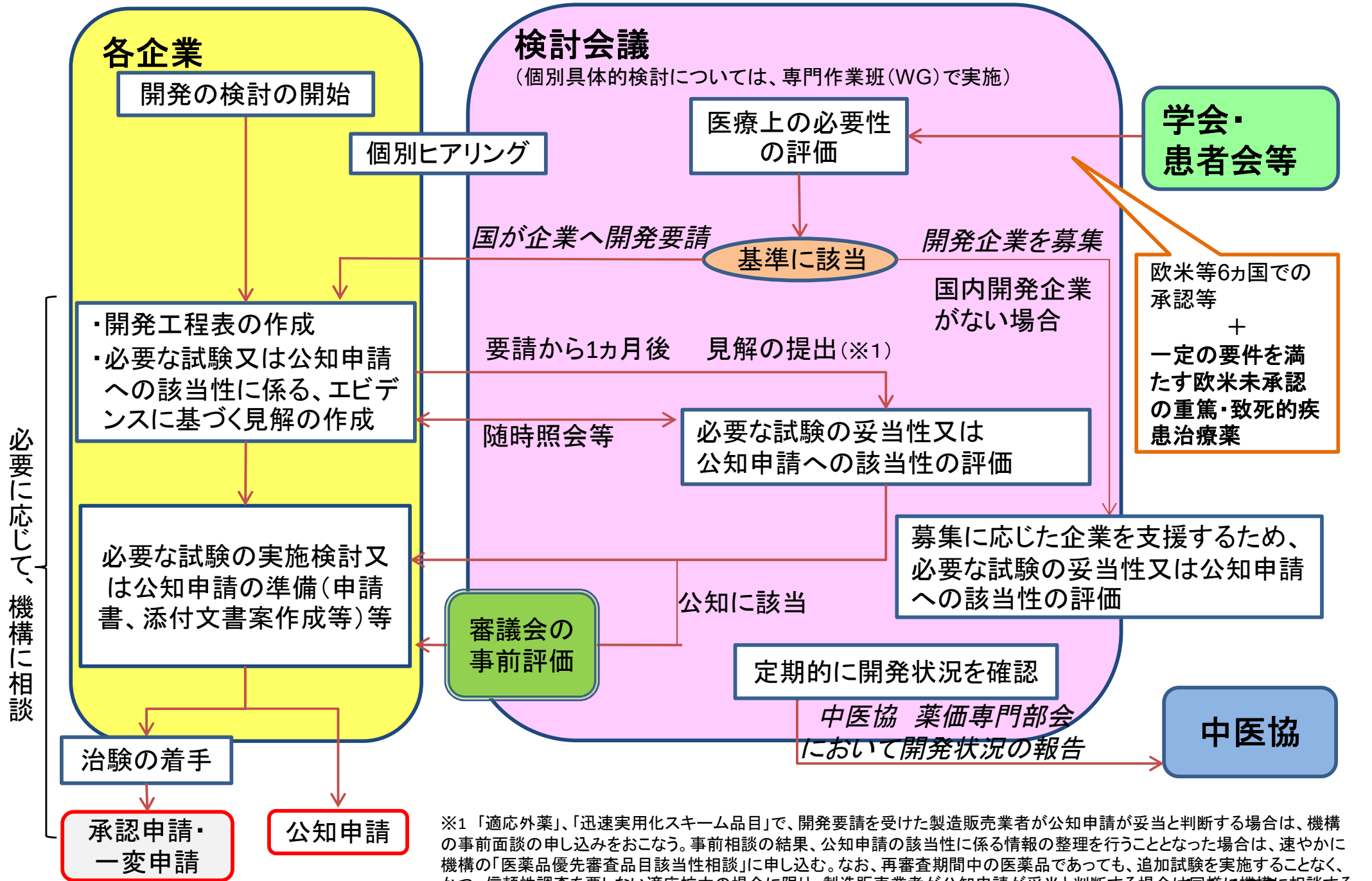
【製薬企業】

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7年1月30日 第61回会議) ※ 要望等の件数は会議1.5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	231件 (+6)	1063件	新規要望を受理 (+6件) ※2	
 専門WG	検討中	4件 (-3)	45件 (+4)	49件	新規要望を受理 (+6件)、専門WGで検討終了 (-2件)、取り下げ(-3件)	
	検討済	必要性高い	348件	109件 (+2)	457件	小児WGで評価 (+1件)、循環器WGで評価 (+1件) →本日の会議で審議
		必要性高くない	187件	16件	203件	
 本会議	検討済	必要性高い	348件 (+1)	107件 (+13)	前回会議で評価済み (+14件)	
		必要性高くない	187件	16件 (+2)	203件	前回会議で評価済み (+2件)
対象外	既に開発中	21件	8件	29件		
	取り下げ等	272件 (+3)	53件	325件	取り下げ (+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 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
<抗茵・抗炎症WG>									
1	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
2	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。 <u>30kg未満はRPZ5mg、30kg以上はRPZ10mgで成人量と同様である。</u> 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
3	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。 <u>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。</u> 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
4	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。 <u>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。</u> 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

未承認薬	0
適応外薬	4
合計	4

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-194	ヒドロキシコバラミン	ビタミンB12反応性メチルマロン酸血症、 cobIⅢ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>									
2	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
3	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
4	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
5	IV-103	リバーロキサバン	深部静脈血栓症及び肺血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
6	IV-104	アピキサバン	静脈血栓症(深部静脈血栓症及び肺血栓症)の治療及び再発抑制	通常、成人にはアピキサバンとして1回10mgを1日2回、7日間経口投与した後、1回5mgを1日2回経口投与する。6ヶ月間の維持療法後は再発と出血のリスクを勘案して5mgまたは2.5mgを1日2回経口投与する。6ヶ月以降の延長治療期には、2.5mgを1日2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istol・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
7	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。 ドキシルピシンあるいはエピルピシン投与前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。ドキシルピシンあるいはエピルピ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シルピシンあるいはエピルピシンに対する推奨用法用量比率は10:1である(例えば、500mg/m ² デクスラゾキサン:50mg/m ² ドキシルピシン、600mg/m ² デクスラゾキサン:60mg/m ² エピルピシン)。デクスラゾキサン注入終了後、30分以内にドキシルピシンあるいはエピルピシンを投与する。 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シルピシンあるいはエピルピシン等治療を継続する小児がん・肉腫において、ドキシルピシンあるいはエピルピ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
8	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/m ² デクスラゾキサン:50mg/m ² ドキソルビシン、600mg/m ² デクスラゾキサン:60mg/m ² 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/m ² あるいは累積エピルビシン量540 mg/m ² 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
9	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
10	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、 <u>小児・未成年者(青年)</u> 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
11	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/m ² 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		企業見解確認中
12	IV-198	tenecteplase	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)	体重kg当たりtenecteplase 0.25mgを静脈内ボラス投与する。	日本脳卒中学会	Boehringer Ingelheim(欧州、豪州、アジア)	未承認薬		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
<精神・神経WG>									
13	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か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
14	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
15	IV-199	Cisatracurium besylate (成人)	気管挿管時の筋弛緩、麻酔時の筋弛緩、ならびに集中治療室における呼吸管理時の筋弛緩	静脈内投与 気管挿管時:0.10~0.15 mg/kg 維持:0.02~0.03 mg/kg(10~25分毎) 持続投与:3 mcg/kg/min(開始時) 1~2 mcg/kg/min(安定時)	公益社団法人 日本麻酔科学会	Abbvie Aspen Kalceks Omega	未承認薬		要望書を確認中
16	IV-200	Cisatracurium besylate (小児)	気管挿管時の筋弛緩、麻酔時の筋弛緩、ならびに集中治療室における呼吸管理時の筋弛緩	静脈内投与 気管挿管時: 【成人】0.10~0.15 mg/kg 【2~12歳】0.10~0.15 mg/kg 【1~23ヶ月】0.15 mg/kg 維持: 【成人】0.02~0.03 mg/kg (10~25分毎) 【2~12歳】0.02 mg/kg 持続投与: 【成人】 3 mcg/kg/min (開始時)、1~2 mcg/kg/min (安定時) 【2~12歳】 3 mcg/kg/min (開始時)、1~2 mcg/kg/min (安定時)	公益社団法人 日本麻酔科学会	Abbvie Aspen Kalceks Omega	未承認薬	○	要望書を確認中
17	IVS-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

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
18	IVS-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

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															
<抗菌・抗炎症WG>																								
19	IV-3	クラリスロマイシン	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	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	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	大正製薬株式会社 アボット ジャパン株式会社	適応外薬		今後の方針を検討中															
20	IV-4	アモキシシリン	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	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	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	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	適応外薬		今後の方針を検討中															
21	IV-42	エソメプラゾール	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	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 border="1" data-bbox="824 726 1301 853"> <tr> <td></td> <td>15-30kg未満</td> <td>30-40kg未満</td> </tr> <tr> <td>エソメプラゾール</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。		15-30kg未満	30-40kg未満	エソメプラゾール	10mg/日	20mg/日	AMPC	50mg/kg/日	1500mg/日	CAM	15mg/kg/日	15mg/kg/日	MNZ	500mg/日 (25kg以上)	500mg/日	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
	15-30kg未満	30-40kg未満																						
エソメプラゾール	10mg/日	20mg/日																						
AMPC	50mg/kg/日	1500mg/日																						
CAM	15mg/kg/日	15mg/kg/日																						
MNZ	500mg/日 (25kg以上)	500mg/日																						
22	IV-90	トシリズマブ	多関節に活動性を有する若年性特発性関節炎	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。	日本小児リウマチ学会	中外製薬	適応外薬	○	更新情報を要望者に確認中															
23	IV-91	トシリズマブ	全身型若年性特発性関節炎	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。	日本小児リウマチ学会	中外製薬	適応外薬	○	更新情報を要望者に確認中															

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
24	IV-107	トシリズムブ	全身性強皮症に伴う間質性肺疾患の増悪抑制、改善	通常、成人にはトシリズムブとして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
25	IV-182	ヒドロキシクロキシン硫酸塩(成人)	関節リウマチ	通常、ヒドロキシクロキシン硫酸塩として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
26	IV-184	ヒドロキシクロキシン硫酸塩(小児)	若年性特発性関節炎	通常、ヒドロキシクロキシン硫酸塩として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
27	IV-187	トシリズムブ(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。さらに効果不十分な場合、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
28	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		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
29	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		要望書を確認中
30	IV-195	ニトロフラントイン	ニトロフラントインに感受性がある、もしくは感受性が強く疑われる原因菌によって引き起こされる急性単純性膀胱炎の治療に適応される。	成人において100mgを1日2回、投与期間は5から7日とする。食事と一緒に服用。	日本感染症学会、日本化学療法学会	Procter and Gamble Pharmaceuticals, Inc.	未承認薬		要望書を確認中
	IV-196	エルタペネムナトリウム	1.1 複雑性腹腔内感染症 エルタペネム(一般名:エルタペネムナトリウム、商品名:INVANZ)は、Escherichia coli, Clostridium clostridioforme, Eubacterium lentum, Peptostreptococcus species, Bacteroides fragilis, Bacteroides distasonis, Bacteroides ovatus, Bacteroides thetaiotaomicron, または Bacteroides uniformisに起因する複雑性腹腔内感染症の成人患者および小児患者(生後3か月以上)の治療に適応される。 1.2 骨髄炎を伴わない糖尿病性足感染症を含む複雑性皮膚・皮膚構造感染症 エルタペネムは、骨髄炎を伴わない糖尿病性足感染症を含む、Staphylococcus aureus(メチシリン感受性分離菌のみ), Streptococcus agalactiae, Streptococcus pyogenes, Escherichia coli, Klebsiella pneumoniae, Proteus mirabilis, Bacteroides fragilis, Peptostreptococcus species, Porphyromonas asaccharolytica, または Prevotella biviaによる複雑性皮膚・皮膚構造感染症の成人患者および小児患者(生後3か月以上)の治療に適応される。	2.1 すべての患者への使用説明 静脈内または筋肉内投与の場合 エルタペネムを他の薬剤と混合または混注しないこと。デキストロース(α-D-グルコース)を含む希釈液を使用しないこと。 エルタペネムは、点滴静脈内注射で最長14日間または筋肉内注射で最長7日間で投与することができる。静脈内投与の場合、エルタペネムは30分かけて注入する。 筋肉内投与が適切な感染症の治療では、エルタペネムの静脈内投与の代わりとして筋肉内投与が使用できる。 2.2 治療レジメン 13歳以上 13歳以上の患者におけるエルタペネムの用量は、1日1回1グラム(g)である[臨床薬理(12.3)を参照]。 生後3か月～12歳 生後3か月から12歳までの患者におけるエルタペネムの用量は、15mg/kgを1日2回(1g/日を超えない)である。 表1にエルタペネムの治療指針を示す。(表1は要望書参照) 2.3 成人における予防レジメン 表2に成人における予防指針を示す(表2は要望書参照) 2.4 腎機能障害のある患者 エルタペネムは、腎機能障害のある成人患者における感染症の治療に使用することができる。クレアチニンクリアランスが30mL/分/1.73m2以上の患者では、投与量の調整は必要ない。クレアチニンクリアランス≤30mL/分/1.73m2および末期腎疾患(クレアチニンクリアランス≤10mL/分/1.73m2)の成人患者には、1日500mgを投与する。血液透析前6時間以内にエルタペネムを投与する場合は、150mgの追加投与が推奨される。腎機能障害のある小児患者におけるデータはない。	日本感染症学会、日本化学療法学会	Merck & Co., Inc.	未承認薬		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
31			<p>エルタペネムは、骨髄炎を合併した糖尿病性足感染症では研究されていない[臨床試験(14)を参照]。</p> <p>1.3 市中肺炎 エルタペネムは、菌血症、インフルエンザ菌(β-ラクタマーゼ非産生菌のみ)、モラクセラ・カタラーリスが同時に存在する場合を含む、肺炎球菌(Streptococcus pneumoniae)(ペニシリン感受性菌のみ)による市中肺炎の成人患者および小児患者(生後3か月以上)の治療に適応される。</p> <p>1.4 腎盂腎炎を含む複雑性尿路感染症 エルタペネムは、大腸菌(菌血症を合併している場合を含む)または肺炎桿菌による腎盂腎炎を含む複雑性尿路感染症の成人患者および小児患者(生後3か月以上)の治療に適応される。</p> <p>1.5 分娩後子宮内膜筋層炎、敗血症性流産、婦人科手術後感染症を含む急性骨盤内感染症 エルタペネムは、Streptococcus agalactiae, Escherichia coli, Bacteroides fragilis, Porphyromonas asaccharolytica, Peptostreptococcus species, Prevotella biviaに起因する分娩後子宮内膜筋層炎、敗血症性流産、婦人科手術後感染症を含む急性骨盤内感染症の成人患者および小児患者(生後3か月以上)の治療に適応される。</p> <p>1.6 待機的大腸手術後の手術部位感染の予防 エルタペネムは、成人において、待機的大腸手術後の手術部位感染の予防に適応される。</p> <p>1.7 使用法 薬剤耐性菌の発生を抑え、エルタペネムや他の抗菌薬の効果を維持するため、エルタペネムは、感受性菌が原因であることが証明されているか、強く疑われ</p>	<p>2.5 血液透析中の患者 血液透析を受けている成人患者に対して、エルタペネムを1日推奨用量である500mgを血液透析前6時間以内に投与する場合、血液透析後に150mgを追加投与することが推奨される。エルタペネムを血液透析の6時間以上前に投与する場合は、追加投与は必要ない。腹膜透析または血液濾過を受けている患者におけるデータはない。血液透析を受けている小児患者におけるデータはない。 血清クレアチニンデータのみが入手可能な場合、クレアチニンクリアランスの推定には以下の式が使用できる。血清クレアチニンは腎機能の定常状態を表すはずである。 男性: (体重(kg) × (140-年齢(歳)) / (72) × 血清クレアチニン(mg/100mL) 女性: (0.85) × (男性について計算した値)</p> <p>2.6 肝機能障害のある患者 肝機能障害のある患者では、用量調節の推奨はできない[特定の人口における使用(8.7)および臨床薬理学(12.3)を参照]。</p> <p>2.7 投与のための調製及び溶解 バイアル 成人および13歳以上の小児患者 静脈内投与の調整: エルタペネムを他の薬剤と混合または混注しないこと。 デキストロース(α-D-グルコース)を含む希釈剤を使用しないこと。 エルタペネムは、必ず投与前に溶解し、更に希釈して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを10mLの注射用水、0.9%塩化ナトリウム注射液、または注射用静菌水のいずれかで溶解する。注射器には21ゲージ以下の注射針を用いる。注: 針のない静注システムの使用は推奨されない。 推奨されない。 2. よく振って溶解したバイアル内容物を直ちに0.9%塩化ナトリウム注射液50mLに移す。 3. 点滴は、溶解後6時間以内に完了すること。 筋肉内投与の調整 エルタペネムは、必ず投与前に溶解して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを3.2mLの1.0%塩酸リドカイン注射液(エピネフリンを含まない)に溶解する。バイアルをよく振って溶液にする。 2. 直ちにバイアルから内容物を抜き取り、大型の筋肉(腎筋や大腿外側など)に深部筋肉内注射する。 3. 溶解した筋肉注射液は、調製後1時間以内に使用すること。注: 溶液は静脈内に投与しないこと。 生後3か月から12歳までの小児患者</p>					

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
			<p>る感染症の治療や予防にのみ使用されるべきである。培養や感受性の情報が入手できる場合は、抗菌薬療法の選択や変更に際して考慮すべきである。そのようなデータがない場合、地域の疫学と感受性パターンを経験的治療選択の参考にしてもよい。</p>	<p>静脈内投与の調整： エルタペネムを他の薬剤と混合または混注しないこと。 デキストロース(α-D-グルコース)を含む希釈剤を使用しないこと。 エルタペネムは、必ず投与前に溶解し、更に希釈して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを10mLの注射用水、0.9%塩化ナトリウム注射液、または注射用静菌水のいずれかで溶解する。注射器には21ゲージ以下の注射針を用いる。注：針のない静注システムの使用は推奨されない。 2. よく振って溶解し、直ちに15mg/kg体重相当量(1g/日を超えないこと)を抜き取り、0.9%塩化ナトリウム注射液で最終濃度が20mg/mL以下になるように希釈する。使用しなかったエルタペネム溶解液の入ったバイアルは廃棄する。 3. 点滴は、溶解後6時間以内に完了すること。</p> <p>筋肉内投与の調整 エルタペネムは、必ず投与前に溶解して使用すること。 1. エルタペネムの1gバイアルを3.2mLの1.0%塩酸リドカイン注射液2(エピネフリンを含まない)に溶解する。バイアルをよく振って溶液にする。 2. 直ちに15mg/kg体重相当量(1g/日を超えないこと)を抜き取り、大型の筋肉(臀筋や大腿外側など)に深部筋肉内注射する。使用しなかったエルタペネム溶解液の入ったバイアルは廃棄する。 3. 溶解した筋肉注射液は、調製後1時間以内に使用すること。注：溶解液は静脈内に投与しないこと。</p> <p>保存方法 希釈液で調製した場合、エルタペネム(注射用エルタペネム)は室温(25°C)で6時間、冷蔵(5°C)で24時間とその後冷蔵から取り出してから4時間以内の使用においては、十分な効力を維持する。エルタペネムの溶液は凍結させないこと。 投与前に、エルタペネム(注射用エルタペネム)の添付文書を参照のこと。 非経口用医薬品は、溶液や容器が許す限り、使用前に粒子状物質や変色がないか目視で検査すること。エルタペネムの溶液は無色から淡黄色までの範囲である。 この範囲内の色の変化は、製品の効力には影響しない。</p>					
32	IVS-31	ジクロフェナクナトリウム	カペシタビン誘発性手足症候群の予防	適量を1日2回手足に塗布する。	一般社団法人 日本癌治療学会	祐徳薬品工業株式会社、日本臓器製薬株式会社、帝國製薬株式会社	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
<抗がんWG>									
33	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/m ² とビンブラスチン硫酸塩6mg/m ² 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
34	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/m ² とビンブラスチン硫酸塩6mg/m ² 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
35	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
36	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/m ² を点滴静注し、3日間投与、もしくは1日400mg/m ² 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
37	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/m ² (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/m ² 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
38	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/m ² (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		企業見解を確認中
39	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/m ² (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	○	企業見解を確認中
40	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/m ² を3日間投与(メルファラン3日間総量180mg/m ²)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/m ² を2日間投与(メルファラン2日間総量200mg/m ²)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		企業見解を確認中
41	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/m ² を3日間投与(メルファラン3日間総量210mg/m ²)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
42	IV-197	イリノテカン塩酸 塩水和物	再発・難治性神経芽腫	テモゾロミドとの併用にて50 mg/m ² を day 1-5 に点滴静注、21 日毎	日本小児血液・がん学 会	1. 株式会社ヤクルト本社 2. アルフレッサ ファーマ 株式会社	適応外薬	○	企業見解依頼中
43	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	○	要望書の内容につ いて要望者に確認 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>									
44	IV-188	Meningococcal group B vaccine	血清群B髄膜炎菌の予防	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	Pfizer Inc.	未承認薬		要望者の対応待ち (小児の要望書提出待ち)
45	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		9
							適応外薬		32
							迅速実用化		4
							合計		45

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7年1月30日 第61回会議) ※ 要望等の件数は会議1.5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		302件 (+1)	91件 (+13)	393件	前回会議で評価後に開発要請 (+14件)	
 専門WG	検討中	11件 (+1)	33件 (+11)	44件※3	前回会議で評価後に開発要請 (+14件)、専門WGで検討終了 (-1件)、治験実施 (-1件)	
	検討済	公知申請が妥当	126件	45件 (+1)	171件	小児WGで評価 (+1件) →本日の会議で審議
		その他 (治験実施等)	165件	13件 (+1)	178件	治験実施 (+1件)
 本会議	検討済	126件	44件	170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7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	○		ブ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	エタンプトール塩酸塩	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
8	Ⅲ-④-12	メロニダゾール	嫌気性菌感染症、感染性腸炎、アメーバ赤痢(小児の用量の追加)	日本小児感染症学会	ファイザー株式会社	適応外薬	○	公知申請を希望する。	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>									
9	Ⅱ-5	3-ヨードベンジルグアニジン (¹³¹ I)	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
10	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
11	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	10
合計	11

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	要望内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要望に対する企業見解 (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。	WG準備中
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。	WG準備中
<循環器WG>									
5	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、 <u>子宮体がん</u>	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
6	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、 <u>子宮頸がん</u>	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
7	IVS-21	インドシアニングリーン	<u>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)</u>	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	要望内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要望に対する企業見解 (概略) ^注	検討状況等
<精神・神経WG>									
8	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。	使用実態調査実施予定
9	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
<抗がんWG>									
10	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	チェブ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
11	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
12	IV-39	チオテバ	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
13	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
14	IV-75	イマチニブメシル酸塩	隆起性皮膚線維肉腫	日本臨床腫瘍学会	ノバルティスファーマ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
15	IV-83	アレムツズマブ(遺伝子組換え)	T細胞性前リンパ球性白血病	日本リンパ網内系学会	サノフィ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
16	IV-92	オキサリプラチン	再発・難治性非ホジキンリンパ腫	日本リンパ網内系学会	株式会社ヤクルト本社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
17	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
18	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

No.	要望番号	成分名	要望内容	要望者	会社名	未承認薬 適応外薬 の分類	小児WG	開発要望に対する企業見解 (概略) ^注	検討状況等
19	IV-122	ゲムシタビン	非小細胞肺癌、肺癌、胆道癌、尿路上皮癌、手術不能又は再発乳癌、がん化学療法後に増悪した卵巣癌、再発又は難治性の悪性リンパ腫、上咽頭癌	日本頭頸部癌学会	日本イーライリリー	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
20	IV-137	テモゾロミド	再発・難治性神経芽腫	日本小児血液・がん学会	大原薬品工業株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
21	IV-158	テモゾロミド	悪性下垂体腺腫(下垂体癌と難治性下垂体腺腫*) *標準治療(外科手術, 薬物治療, 放射線治療)に抵抗性で再発を繰り返す下垂体腺腫	日本間脳下垂体腫瘍学会	大原薬品工業株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
22	IV-159	ドセタキセル水和物	乳癌 (用量の追加)	一般社団法人 日本乳癌学会	サノフィ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
23	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
24	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
25	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
26	IV-171	オキサリプラチン	肺癌	日本肺癌学会	株式会社ヤクルト本社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
27	IV-172	イリノテカン塩酸塩水和物	肺癌	日本肺癌学会	株式会社ヤクルト本社 アルフレッサファーマ株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
28	IV-173	フルオロウラシル	肺癌	日本肺癌学会	協和キリン株式会社	適応外薬		公知申請を希望する。	企業見解確認中
29	IV-174	レボホリナートカルシウム水和物	肺癌	日本肺癌学会	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
30	IV-179	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	再発した低異型度漿液性卵巣癌または腹膜癌	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		公知申請を希望する。	企業見解確認中(公知申請の該当性に係る情報の整理中)
31	IV-183	Naxitamab-gqgk[Naxitamab, ナキシタマブ]	再発又は難治性病変に対する治療後に疾患進行を認めないものの骨及び/又は骨髄に病変の残存した高リスク神経芽腫	神経芽腫の会	ノーベルファーマ株式会社	未承認薬		治験の実施を検討する。	-

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
32	IV-190	ベムプロリズマブ(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	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		申請方法について検討中。	企業見解確認中
33	IVS-25	メルファラン	網膜芽細胞腫	小児血液・がん学会	サンドファーマ株式会社	迅速実用化	○	公知申請を検討中。	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	29
迅速実用化	3
合計	33

「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

＜小児 WG＞

目 次

＜小児分野＞

【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

エポエチン ベータ ペゴル（遺伝子組換え）

（要望番号；IV-185）…………… 1

要望番号	IV-185	要望者名	一般社団法人日本小児腎臓病学会																										
要望された医薬品	一般名	エポエチン ベータ ペゴル (遺伝子組換え)																											
	会社名	中外製薬株式会社																											
要望内容	効能・効果	生後3か月以上の小児における腎性貧血																											
	用法・用量	<p>用法：4週間に1回投与する。投与経路は静脈内注射又は皮下注射で、切替え前の赤血球造血刺激因子製剤 (ESA) と同様の経路とする。</p> <p>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。</p> <table border="1"> <thead> <tr> <th>切替え前のダルベポエチンアルファの用量 (µg/週)</th> <th>切替え前のエポエチンの用量 (IU/週)</th> <th>4週ごとの本剤の用量 (µg)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>9以上12未満</td> <td>2,000以上2,700未満</td> <td>25</td> </tr> <tr> <td>12以上15未満</td> <td>2,700以上3,500未満</td> <td>50</td> </tr> <tr> <td>15以上24未満</td> <td>3,500以上5,500未満</td> <td>75</td> </tr> <tr> <td>24以上35未満</td> <td>5,500以上8,000未満</td> <td>100</td> </tr> <tr> <td>35以上47未満</td> <td>8,000以上10,000未満</td> <td>150</td> </tr> <tr> <td>47以上60未満</td> <td>10,000以上13,000未満</td> <td>200</td> </tr> <tr> <td>60以上</td> <td>13,000以上</td> <td>250</td> </tr> </tbody> </table> <p>維持用量：目標ヘモグロビン (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%調節することができる。</p> <p>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。</p>				切替え前のダルベポエチンアルファの用量 (µg/週)	切替え前のエポエチンの用量 (IU/週)	4週ごとの本剤の用量 (µg)	9以上12未満	2,000以上2,700未満	25	12以上15未満	2,700以上3,500未満	50	15以上24未満	3,500以上5,500未満	75	24以上35未満	5,500以上8,000未満	100	35以上47未満	8,000以上10,000未満	150	47以上60未満	10,000以上13,000未満	200	60以上	13,000以上	250
		切替え前のダルベポエチンアルファの用量 (µg/週)	切替え前のエポエチンの用量 (IU/週)	4週ごとの本剤の用量 (µg)																									
9以上12未満	2,000以上2,700未満	25																											
12以上15未満	2,700以上3,500未満	50																											
15以上24未満	3,500以上5,500未満	75																											
24以上35未満	5,500以上8,000未満	100																											
35以上47未満	8,000以上10,000未満	150																											
47以上60未満	10,000以上13,000未満	200																											
60以上	13,000以上	250																											
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> [ウ]</p> <p>[特記事項]</p> <p>腎性貧血は慢性腎臓病の主要な合併症であり、腎機能障害によるエリスロポエチン産生能低下に起因する。貧血に伴い、息切れ、動悸、易疲労感、食欲不振等が生じ、赤血球輸血が必要となる場合もある。小児の腎性貧血患者では、Hb値が11g/dL未満の場合に、11g/dL以上の場合と比較して、死亡のリスクや透析導入後1年以内の入院率が高くなること (Pediatr Nephrol 2003; 18: 1055-62)、左室肥大の合併が有意に高くなること (J Pediatr 2006; 149: 671-5) 等が報告されている。</p> <p>以上より、「ウ：その他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。</p>																												

	<p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/>ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>エポエチン ベータ ペゴル（遺伝子組換え）（以下、「本剤」）は、持続型の赤血球造血刺激因子（以下、「ESA」）製剤であり、米国、英国、独国及び仏国で、小児の腎性貧血患者において、他の ESA 製剤から本剤に切り替える場合の用法・用量が承認されている。国内外の診療ガイドラインでは、本剤を含む ESA 製剤は成人の腎性貧血に対する標準的治療法に位置づけられており、小児に対しても成人に準じた治療が推奨されていることから、「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。</p>
備 考	<p>要望者が実施予定の国内使用実態調査の結果を踏まえ、今後の開発方針を検討する必要があると考える。</p>

「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

＜循環器 WG＞

目 次

＜診断用薬分野＞

【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

フルデオキシグルコース（¹⁸F）

（要望番号；IV-177）…………… 1

要望番号	IV-177	要望者名	日本核医学会、日本感染症学会、日本リウマチ学会、日本臨床検査医学会
要望された医薬品	一般名	フルデオキシグルコース (¹⁸ F)	
	会社名	日本メジフィジックス株式会社 PDR ファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	不明熱の原因部位の可視化 (38°C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)	
	用法・用量	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。	
「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	<p>(1) 適応疾病の重篤性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> イ</p> <p>[特記事項]</p> <p>不明熱は、38.3°C以上^{注1)}の発熱が3週間以上持続し、3回の外来又は3日間の入院精査でも原因不明のものと定義される発熱性疾患であり、その原因は主に感染症、膠原病、悪性腫瘍等とされる(臨床検査のガイドライン JSLM2021 一般社団法人日本臨床検査医学会; 2021. p121-126、以下、「本邦ガイドライン」)。不明熱の原因の中には進行が不可逆的な疾患も含まれること、治療がなされない状況で不明熱が継続した場合には、日常生活に著しい影響を及ぼすと考えられることから、「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」に該当すると判断する。</p> <p>注1) 舌下温。なお、舌下温の 38.3°Cは、今日の一般的な体温測定法である腋窩温では 38.0°Cに相当する。</p> <p>(2) 医療上の有用性についての該当性 <input checked="" type="checkbox"/> ウ</p> <p>[特記事項]</p> <p>本薬は、英国、独国及び仏国において、不明熱の原因の鑑別における異常な病巣の局在診断に係る効能・効果で承認されている。本邦ガイドラインにおいても、本薬を用いた PET が不明熱の主な検査法の一つとして記載されており、国内の公表文献等から、当該目的における本邦での使用実態が確認されている。以上より、「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。</p>		
備考			

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）

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

1. 要望内容の概略について

要望された医薬品	一般名：ミコフェノール酸 モフェチル	
	販売名：セルセプトカプセル 250、同懸濁用散 31.8%	
	会社名：中外製薬株式会社	
要望者名	一般社団法人 日本小児腎臓病学会	
要望内容	効能・効果	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
	用法・用量	ミコフェノール酸モフェチル（MMF）を 1,000～1,200 mg/m ² /日（最大投与量 2 g/日）分 2 を経口投与する。
	効能・効果及び用法・用量以外の要望内容（剤形追加等）	なし
備考		

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

小児の特発性ネフローゼ症候群に対しては、第一選択薬としてステロイドが使用される。本要望の適応疾患である「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）」では、既存の免疫抑制薬を用いてもステロイドの投与を中止できず、特に小児では、成長障害、骨粗鬆症、眼合併症等のステロイドの副作用が問題となっている。また、思春期、成人期までネフローゼ症候群を持ち越した患者では、ステロイドによる低身長から脱することは難しい。以上より、重篤性は「ウ：その他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

要望された適応について、ミコフェノール酸 モフェチル（以下、「本薬」）に欧米等 6 カ国における承認はないものの、以下の理由等から、有用性は「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」に該当すると判断した。

- ① 本邦では「難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型、ステロイド依存性あるいはステロイド抵抗性を示す場合）」を効能・効果としてリツキシマブ（遺伝子組換え）（以下、「リツキシマブ」）が承認されており¹⁾、頻回再発型ネフローゼ症候群（以下、「FRNS」）及びステロイド依存性ネフローゼ症候群（以下、「SDNS」）を含む難治性のネフローゼ症候群患者の寛解維持のために使用されているが、リツキシマブを投与しても末梢血 B 細胞の回復とともに再発する場合があります、リツキシマブ治療後の寛解を維持するための新たな治療が必要とされていること。
- ② 先進医療 B として実施された、小児期発症の難治性 FRNS 及び SDNS 患者を対象としたリツキシマブ治療後の本薬の寛解維持効果を検討する多施設共同二重盲検プラセボ対照無作為化比較試験（jRCTs051180081）において、主要評価項目である「治療期間及び追跡期間を通じての treatment failure 発生までの期間」では、プラセボ群と本薬群の群間に統計学的な有意差は認められなかったものの、treatment failure 発生リスクが約 40%低下する傾向が認められ、追加解析結果や副次評価項目の解析結果から、本薬の有効性が示唆されたこと¹⁾。
- ③ 上記試験（jRCTs051180081）の結果を踏まえ、小児特発性ネフローゼ症候群診療ガイドライン 2020 補遺²⁾において「小児期発症難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマブ療法の後療法として、寛解維持のためにミコフェノール酸モフェチルを投与することを提案する」とされていること。

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	
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）	要望内容に係る承認はない（2025 年 1 月現在）
備考	
2) 英国	
効能・効果	—
用法・用量	—
承認年月（または英国における開発の有無）	要望内容に係る承認はない（2025 年 1 月現在）

¹⁾ リツキシマブの「難治性のステロイド抵抗性ネフローゼ症候群」に係る効能・効果は、本要望提出後の 2024 年 9 月に承認された。

無)	
備考	
3) 独国	
効能・効果	—
用法・用量	—
承認年月（または独 国における開発の有 無）	要望内容に係る承認はない（2025年1月現在）
備考	
4) 仏国	
効能・効果	—
用法・用量	—
承認年月（または仏 国における開発の有 無）	要望内容に係る承認はない（2025年1月現在）
備考	
5) 加国	
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）	要望内容に係る承認はない（2025年1月現在）
備考	
6) 豪州	
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）	要望内容に係る承認はない（2025年1月現在）
備考	

(2) 欧米等6カ国での標準的使用状況について

1) 米国	
ガイドライン名	KDIGO 2021 clinical practice guideline for the management of glomerular diseases. ³⁾
効能・効果	ステロイドで寛解後、8～12週間ステロイドを継続しても再発を繰

(または効能・効果に関連のある記載箇所)	り返す場合又はステロイド依存性を示す場合に、本薬が glucocorticoid-sparing agent の選択肢の 1 つとなる旨の記載がある。
用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	本薬の用法・用量について、以下の記載がある。 1,200 mg/m ² /日 (1 日 2 回) から投与を開始する。 目標 AUC は 50 µg·h/mL 超である。本薬の投与を中止すると、ほとんどの小児患者で再発するため、少なくとも 12 カ月投与を継続する。
ガイドラインの根拠論文	Gellermann J, et al. J Am Soc Nephrol 2013; 24: 1689-97. ⁴⁾
備考	
2) 英国	
ガイドライン名	不明
効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠論文	
備考	
3) 独国	
ガイドライン名	不明
効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠論文	
備考	
4) 仏国	
ガイドライン名	不明
効能・効果 (または効能・効果に関連のある記載箇所)	

連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関 連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠 論文	
備考	
5) 加国	
ガイドライン名	不明
効能・効果 (または効能・効果に関 連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関 連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠 論文	
備考	
6) 豪州	
ガイドライン名	不明
効能・効果 (または効能・効果に関 連のある記載箇所)	
用法・用量 (または用法・用量に関 連のある記載箇所)	
ガイドラインの根拠 論文	
備考	

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はない。

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

代表的な公表論文の概略について、以下に示す。

<海外における報告>

- 1) Assadi F, et al. Randomized controlled trial to compare safety and efficacy of mycophenolate vs. cyclosporine after rituximab in children with steroid-resistant nephrotic syndrome. *Pharmacotherapy* 2022; 42: 690-6.⁵⁾

2～6歳のス��ロイド抵抗性ネフローゼ症候群患者 66例（本薬群 32例、シクロスポリン（以下、「CsA」）群 34例）を対象に、無作為化比較試験が実施された。

リツキシマブ 375 mg/m²による導入療法後に、本薬 1,000 mg/m²/日又は CsA 5 mg/kg/日が 12カ月間投与された。

有効性について、主要評価項目とされた 12カ月時点で完全寛解が認められた被験者の割合は、本薬群で 81.3% (26/32例)、CsA 群で 61.7% (21/34例)であった (p = 0.02、マン-ホイットニー検定、有意水準両側 5%)。また、寛解までの期間（中央値）は本薬群で 2.64カ月、CsA 群で 3.4カ月（ハザード比 [95%信頼区間（以下、「CI」）] : 0.61 [0.74, 0.90]）、初回再発までの期間（中央値）は本薬群で 10.8カ月、CsA 群で 8.0カ月（ハザード比 [95%CI] : 1.12 [1.31, 1.54]）であり、B細胞数が回復するまでの期間（中央値）は本薬群 8.6カ月、CsA 群 5.2カ月であった。

安全性について、有害事象の発現割合は本薬群で 59.3% (19/32例)、CsA 群 76.4% (26/34例)であった。また、Grade 3の有害事象は本薬群で 12.5% (4/32例)、CsA 群 20.5% (7/34例)に、Grade 4の有害事象は本薬群で 9.3% (3/32例)、CsA 群 14.7% (5/34例)に認められた。

<日本における報告>

- 2) Kamei K, et al. Single dose of rituximab for refractory steroid-dependent nephrotic syndrome in children. *Pediatr Nephrol* 2009; 24: 1321-8.⁶⁾

20歳未満の難治性 SDNS 患者 12例を対象に、リツキシマブの有効性及び安全性を検討する単群試験が実施された。

12例全例でリツキシマブ 375 mg/m²（最大 500 mg）が単回投与され、そのうち 3例でリツキシマブ投与後に本薬が投与された。

本薬が投与された 3例における有効性について、全例でステロイド投与を中止することができ、ステロイド投与中止までの期間（個別値）はそれぞれ 120、123 及び 172 日であった。また、3例中 2例では観察期間（1年）中寛解を維持し、残りの 1例では 353 日目に再発が認められた。ステロイドフリー期間（個別値）は、リツキシマブ投与前 6カ月間でそれぞれ 0、0 及び 7 日であったが、リツキシマブ投与後 6カ月間ではそれぞれ 9、60 及び 64 日であった。

安全性について、試験中止に至る重篤な有害事象は認められなかった。

- 3) Ito S, et al. Maintenance therapy with mycophenolate mofetil after rituximab in pediatric patients

with steroid-dependent nephrotic syndrome. *Pediatr Nephrol* 2011; 26: 1823-8.⁷⁾

20歳未満のSDNS患者9例を対象に、ヒストリカルコントロールを用いた前向きコホート研究が実施された。

リツキシマブ 375 mg/m² (最大 500 mg) 単回投与後に、本薬 1,000~1,200 mg/m²/日が投与された (A 群)。ヒストリカルコントロール (B 群) として、リツキシマブ投与後 3 カ月以内にステロイド及び免疫抑制薬を投与中止した 7 例のデータが用いられた。

有効性について、リツキシマブ投与後 1 年間で再発が認められなかった患者は A 群で 9 例中 6 例、B 群で 7 例中 1 例であった。また、リツキシマブ投与後 1 年間での再発回数は A 群で 0.4 回、B 群で 2.3 回、ステロイドの 1 日平均投与量は A 群で 0.11 mg/kg/日、B 群で 0.29 mg/kg/日であり、再発により 1 年以内に追加のリツキシマブ投与が必要となった患者は A 群で 9 例中 3 例、B 群で 7 例中 5 例であった。

安全性について、A 群の 2 例で一過性の下痢が認められたが、いずれの群においても重度の有害事象は認められなかった。

4) Iijima K, et al. Mycophenolate mofetil after rituximab for childhood-onset complicated frequently-relapsing or steroid-dependent nephrotic syndrome. *J Am Soc Nephrol* 2022; 33: 401-19.¹⁾

小児期発症の難治性 FRNS 及び SDNS 患者 86 例 (各群 43 例) を対象に、無作為化比較試験が先進医療 B として実施された。

リツキシマブ 375 mg/m² (最大 500 mg) が週 1 回、4 週間投与され、その後、プラセボ又は本薬 1,000~1,200 mg/m²/日 (最大 2 g/日) が 1 日 2 回に分けて朝食後及び夕食後に 17 カ月間投与された。無作為化された 86 例のうち、試験薬投与前に中止した 8 例を除いた 78 例 (各群 39 例) が有効性及び安全性の解析対象とされた。

有効性について、主要評価項目である治療期間及び追跡期間を通じての **treatment failure**²⁾ 発生までの期間 (中央値) は、プラセボ群で 472.5 日、本薬群で 784.0 日、ハザード比 [95% CI] は 0.59 [0.34, 1.05] であり、プラセボ群と本薬群との間に統計学的に有意な差は認められなかった ($p = 0.07$ 、ログランク検定)。一方で、治療期間中の **treatment failure** 発生までの期間 (中央値) は、プラセボ群で 493.0 日、本薬群では未到達、ハザード比 [95%CI] は 0.202 [0.08, 0.50] であり、プラセボ群と比較して本薬群で長い傾向が認められた。また、副次評価項目である治療期間中の再発率 (平均値±標準偏差) は、プラセボ群で 1.99±2.37 回/人・年、本薬群で 0.43±0.90 回/人・年、ハザード比 [95%CI] は 0.257 [0.08, 0.48]、治療期間中のステロイド投与量 (平均値±標準偏差) は、プラセボ群で 10.45±12.49 mg/m²/日、本薬群で 4.45±3.52 mg/m²/日であり、プラセボ群と比較して本薬群の再発率が低く、ステロイド投与量が少ない傾向が認められた。

安全性について、有害事象はプラセボ群で 76.9% (30/39 例)、本薬群で 79.5% (31/39 例) に認められた。死亡は認められず、重篤な有害事象はプラセボ群で 10 例 (13 件)、本薬群

²⁾ 頻回再発の発生、ステロイド依存性若しくは抵抗性の発現、又は免疫抑制薬若しくはリツキシマブの使用

で7例(8件)に認められた。各群6件は重篤な副作用と判断されたが、いずれも転帰は回復又は軽快であった。多くの事象は軽度又は中等度であり、Grade 3以上の主な有害事象は好中球減少症 (Grade 3 : プラセボ群 2例、本薬群 3例、Grade 4 : プラセボ群 0例、本薬群 2例) であった。

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

代表的な公表論文の概略について、以下に示す。

- 1) Xiang X, et al. Mycophenolate mofetil in the treatment of steroid-dependent or frequently relapsing nephrotic syndrome in children: a meta-analysis. *Front Pediatr* 2021; 9: 671434.⁸⁾

小児 SDNS 及び FRNS 患者における本薬の有効性及び安全性を検討するため、メタ・アナリシスが実施され、5つの無作為化比較試験及び1つの前向きコホート研究の合計447例が解析対象となった。

解析対象となった試験における本薬の投与量は750~1,000 mg/m²/日、1,200 mg/m²/日、20~30 mg/kg/日、又は血漿中本薬トラフ濃度が1.5~2.5 mg/mLとなるよう用量調節であった。

有効性について、本薬群の1年間の無再発率はlevamisole群を上回っていた(リスク差 [95%CI] : 0.13 [0.02, 0.24]) が、カルシニューリン阻害薬(以下、「CNI」)群を上回らなかった(リスク差 [95%CI] : -0.27 [-0.40, -0.14])。また、本薬群の1年以内の再発回数は対照(levamisole及びCNI)群より少なく(平均値の差 [95%CI] : -0.26 [-0.45, -0.08])、本薬群のプレドニゾンの累積投与量は対照群(Levamisole、CsA及びタクロリムス)より少なかった(平均値の差 [95%CI] : -0.32 [-0.53, -0.11])。

安全性について、本薬群と対照群の有害事象の発現割合に明確な差は認められなかった(リスク差 [95%CI] : 0.02 [-0.04, 0.09])。

- 2) Larkins NG, et al. Non-corticosteroid immunosuppressive medications for steroid-sensitive nephrotic syndrome in children. *Cochrane Database Syst Rev* 2020; 4: CD002290.⁹⁾

再発及び初発の小児のステロイド感受性ネフローゼ症候群(以下、「SSNS患者」)を対象にステロイド以外の免疫抑制薬のベネフィットと有害性を評価するため、2020年3月10日までのCochrane Kidney and Transplant Register of Studies (CENTRAL、MEDLINE、EMBASE、会議議事録、International Clinical Trials Register Search Portal 及びClinicalTrials.gov)を検索した。小児SSNS患者を対象とし、ステロイド以外の免疫抑制薬と、プラセボ、ステロイド(プレドニゾン又はプレドニゾロン)又は無治療との比較を行った無作為化比較試験又は準無作為化比較試験を抽出し、2,428例の小児患者のデータを含む43試験(91報)を特定した。

有効性について、本薬とlevamisoleは、12カ月後までの再発患者数について同程度の効果を示す可能性がある(1試験、149例: リスク比 [95%CI] : 0.90 [0.70, 1.16])。また、本薬とCsAは、再発患者数について同程度の効果を示す可能性がある(2試験、82例: リス

ク比 [95%CI] : 1.90 [0.66, 5.46]) (確実性の低いエビデンス)。

安全性について、本薬は CsA と比較して多毛症 (3 試験、140 例 : リスク比 [95%CI] : 0.23 [0.10, 0.50]) 及び歯肉肥厚 (3 試験、144 例 : リスク比 [95%CI] : 0.09 [0.07, 0.42]) を引き起こす可能性が低いと考えられる (確実性の低いエビデンス)。

3) Zotta F, et al. Update on the treatment of steroid-sensitive nephrotic syndrome. *Pediatr Nephrol* 2022; 37: 303-14.¹⁰⁾

SSNS の治療に関する総説において、本薬について以下の記載がある。

現在のところ、小児の SSNS 患者における初期治療に関する本薬の有効性を検証した試験は完了していない。

本薬は、FRNS 及び SDNS 患者に対するステロイドの減量療法として広く認められている。本薬がプレドニゾロンを用いずに寛解に誘導できるかどうかは依然として不明である。より多くのデータが利用可能になるまでは、再発の治療にプレドニゾロンを処方すべきである。本薬の有効性は、2000 年代初期に実施された本薬の単独投与又は低用量のプレドニゾロンとの併用投与による多数の非対照試験から示唆されている。2008 年に、小規模試験により本薬に対する CsA の優越性が示唆された。この点については、Gesellschaft für Pädiatrische Nephrologie により更なる検討がされており、多施設共同非盲検無作為化クロスオーバー試験において、小児 FRNS 患者 60 例に対して本薬又は CsA の 1 年間投与の有効性及び安全性が比較されている。CsA と本薬の目標トラフ濃度をそれぞれ 80~100 ng/mL 及び 1.5~2.5 mg/mL としたとき、CsA は本薬よりも優れていた。しかしながら、事後解析では、本薬の AUC が 50 µg·h/mL 超の場合、その効果は CsA と同等であることが示され、本薬の高用量を必要とする患者がいることが示唆された。また、この点は、後方視的解析によっても確認されており、SSNS に対して本薬を投与する際は腎移植で一般的に使用される用量よりも高用量で処方されるべきであり、45 µg·h/mL 超の AUC を目標とすることを指針とすべきであることが示唆されている。全ての医療施設で本薬の AUC を測定できるわけではないため、標準用量である 1,200 mg/m²/日で治療を開始できる。また、副作用が発現していない再発性の小児患者では慎重に最大 1,800 mg/m²/日まで増量することができる。これらの高用量は、小児 SSNS 患者を対象とした臨床試験で正式に評価されたことはないが、青年期及び成人のループス腎炎患者を対象とした寛解導入試験で使用されている。

小児 SSNS 患者における本薬の安全性は満足できるものであり、主な副作用は患者の 3~11%で報告されている消化器系の副作用である。これらの副作用は時間の経過とともに改善する傾向があり、改善しない場合は、ミコフェノール酸ナトリウムの腸溶性製剤を試みてもよく、しばしば忍容性が改善される。全体として、本薬は CNI より副作用が少ないようである。このため、本総説の著者を含む多くの医師は、CNI とは対照的に、ステロイドの減量療法が長期間必要な場合、本薬を処方することを好む。

(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) DynaMed Plus. EBSCO Information Services; 2023.¹⁾

小児ネフローゼ症候群に対する本薬の使用について、以下のように記載されている。

SDNS の治療中にステロイドに関連する副作用が認められた場合、corticosteroid-sparing agent を使用すべきである (強い推奨)。

- 選択肢として、シクロホスファミド、chlorambucil、levamisole、CsA 及びタクロリムスがある (強い推奨)。
- 本薬も考慮される (弱い推奨)。

(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) Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO) Glomerular Diseases Work Group. KDIGO 2021 clinical practice guideline for the management of glomerular diseases. *Kidney Int* 2021; 100: S1-276.³⁾

「第4章：小児ネフローゼ症候群」に以下のように記載されている。

治療の概略は下図のとおりである。

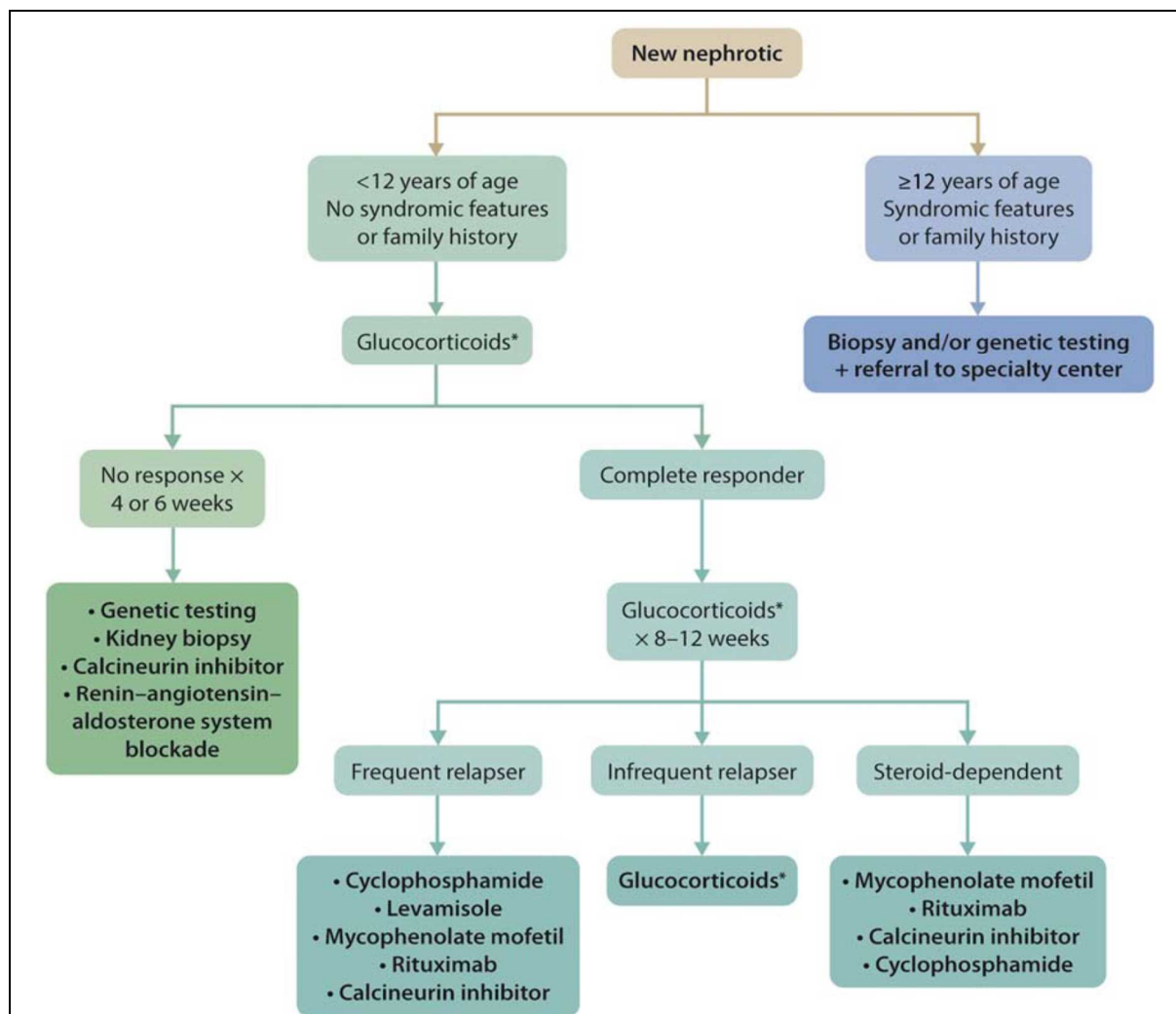


図 新規発症の小児のネフローゼ症候群患者における治療アルゴリズム

Recommendation 4.3.2.2: ステロイドに関連する重篤な副作用が認められた FRNS 及び SDNS の小児患者に対しては、無治療又はステロイド治療のみを継続するよりも、glucocorticoid-sparing agent を処方することが推奨される (1B)。

Practice Point 4.3.2.5 : 経口シクロホスファミド、levamisole、本薬、リツキシマブ、CNI 等の glucocorticoid-sparing agent の投与を開始する前に、ステロイドにより寛解となっていることが理想的である。ステロイド減量の開始後 2 週間以上はステロイドの併用投与が推奨される。

Practice Point 4.3.2.6 ; 経口シクロホスファミド、levamisole、本薬、リツキシマブ及び CNI の中から最も適切な glucocorticoid-sparing agent の選択には、リソース、アドヒアランス、副作用、患者の希望等の特定の患者に関連する問題を慎重に考慮する必要がある。FRNS には、経口シクロホスファミド及び levamisole が glucocorticoid-sparing agent として望ましい。SDNS の小児患者には、ステロイドの減量よりも本薬、リツキシマブ及び CNI のほか、より少ないケースでは、経口シクロホスファミドが望ましい場合がある (下表)。

表 SSNS の小児患者に対する glucocorticoid-sparing agent
(本薬に関連する部分のみ抜粋)

薬剤	投与量・投与期間	Clinical tips
代替薬		
本薬	1,200 mg/m ² /日 (1 日 2 回) から投与を開始する。	目標 AUC は 50 µg·h/mL 超である。本薬の投与を中止すると、ほとんどの小児患者で再発するため、少なくとも 12 カ月投与を継続する。本薬による著しい腹痛が認められた小児患者では、他のミコフェノール酸類似体 (ミコフェノール酸ナトリウム等) を等価の用量で投与してもよい (ミコフェノール酸ナトリウム 360 mg は本薬 500 mg に相当する)。

MMF

本薬を投与された FRNS 又は SDNS の小児において、ステロイドなしでの寛解維持に関する様々な結果が報告されているが、そのほとんどはレトロスペクティブな観察データに限られている。小児 FRNS 患者 60 例を対象とした最近のクロスオーバー RCT では、本薬と CsA の有効性が直接比較された。再発は、本薬投与患者の 36% に認められたのに対し、CsA 投与患者では 15% であった (P = 0.06)。無再発期間は、1 年目は本薬と比較して CsA の方が有意に長かったが (P < 0.05)、2 年目は有意ではなかった (P = 0.36)。有害事象は CsA 群で eGFR 低下と貧血が多く、より強い腎毒性が示唆されたことを除き、両群間で類似していた。

本薬と CsA を比較した Gellermann らの研究の post hoc 解析 (J Am Soc Nephrol 2013; 24: 1689-97) から、より高い AUC レベルを目標にすることで、治療中の再発が減少する可能性があるというデータが得られた。ミコフェノール酸の曝露量が少ない小児患者 (AUC < 50 mg·h/ml) では再発が 1.4 回/年認められたのに対し、曝露量が多い小児患者 (AUC > 50 mg·h/ml) では 0.27 回/年であった。この研究からは、CNI による治療と比較して腎毒性が少ないことも示唆された。

<日本におけるガイドライン等>

- 2) 小児特発性ネフローゼ症候群診療ガイドライン 2020 補遺. 日本小児腎臓病学会. 2022 年 8 月.²⁾

小児期発症難治性 FRNS 及び SDNS に対する本薬の使用について、以下のように記載されている。

CQ3'

小児期発症難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマ

ブ療法の後療法としてミコフェノール酸 モフェチル投与は推奨されるか

ステートメント

小児期発症難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマブ療法の後療法として、寛解維持のためにミコフェノール酸 モフェチルを投与することを提案する。(適応外使用)

推奨グレード 2B (一致率 88%)

治療例

リツキシマブ投与後から、ミコフェノール酸 モフェチルを 1,000~1,200 mg/m²/日 (最大投与量 2 g/日) 分2 で投与する

エビデンスの要約

小児期に特発性ネフローゼ症候群を発症しステロイド感受性を示すものの、既存治療(ステロイド、免疫抑制薬など)では寛解が維持できず頻回再発型あるいはステロイド依存性を呈する難治性のネフローゼ症候群に対するリツキシマブ療法の後療法としてミコフェノール酸 モフェチルを使用することが寛解維持に臨床的に有効であることが、わが国のランダム化比較試験で示唆された。リツキシマブ療法とともに十分な知識・経験を持つ医師のもとで使用する。

解説

前項 CQ3 でも示されているように、小児期発症難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対して、わが国をはじめとする複数のランダム化比較試験の結果、リツキシマブの有効性が示されている。一方で、わが国で行われたランダム化比較試験の長期予後調査では、リツキシマブを1週間間隔で計4回投与した難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群患者51人の観察期間中央値59カ月の結果として、48人(94%)が再発し、50%無再発期間は261日であったと報告され、リツキシマブ治療後に長期寛解を維持する治療法の確立が望まれていた。

リツキシマブ治療の後療法としては、2009年に Kamei らによって行われた小児期発症難治性ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマブ単回投与の観察研究(n=12人)の結果で、後療法としてミコフェノール酸 モフェチルを用いていた3人のうち2人が長期寛解を維持したと報告され、リツキシマブの後療法としてのミコフェノール酸 モフェチルの可能性が示唆された。この結果をふまえ、Ito らはリツキシマブの後療法としてミコフェノール酸 モフェチルを投与し、リツキシマブの総投与回数の減少と無再発期間の延長を目指したパイロット研究を日本人患者16人を対象として行い、リツキシマブ投与後の平均再発回数(回/年)は、リツキシマブ1回投与+ミコフェノール酸 モフェチル1年間併用群9例のほうがリツキシマブ1回投与群7例よりも有意に少ないことを示した(0.4

回/年 vs. 2.3 回/年、 $p < 0.005$)。重篤な有害事象も認められず、ミコフェノール酸 モフェチルはリツキシマブの後療法として有用であると考えられ、わが国で小児難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマブ治療後の寛解維持療法としてのミコフェノール酸 モフェチルの有効性と安全性を評価するための多施設共同二重盲検プラセボ対照ランダム化比較試験 (JSKDC07 試験、UMIN 試験 ID : UMIN000014347、jRCT 臨床研究実施計画番号 : jRCTs051180081) が行われるにいたった。

本臨床試験は、小児期発症難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群患者を対象として、寛解維持療法としてリツキシマブを $375 \text{ mg/m}^2/\text{回}$ (最大投与量 $500 \text{ mg}/\text{回}$) を 1 週間間隔で計 4 回静注投与した後に、ミコフェノール酸 モフェチルもしくはプラセボを $1,000 \sim 1,200 \text{ mg/m}^2/\text{日}$ (最大投与量 $2 \text{ g}/\text{日}$) 分 2 で 17 か月間経口投与し、その有効性と安全性を評価している (各群 43 名ずつ、計 86 名が参加)。主要評価項目の試験治療期間及び追跡期間を通じて (ミコフェノール酸 モフェチル投与終了後の経過を含む) の **treatment failure***発生までの期間の中央値は、ミコフェノール酸モフェチル群は 784.0 日、プラセボ群では 472.5 日と、ミコフェノール酸モフェチル群の方が長かったものの、統計学的な有意差は認められなかった ($p = 0.0694$)。しかし、事後解析ではあるが、試験治療期間中 (ミコフェノール酸 モフェチルならびにプラセボ内服中) の **treatment failure** 発生までの期間の中央値は、ミコフェノール酸 モフェチル群は未到達、プラセボ群では 493.0 日であり、ミコフェノール酸 モフェチル群のプラセボ群に対するハザード比は 0.202 ($p = 0.0001$) と **treatment failure** 発生を 80%抑制した。さらに副次評価項目である試験治療期間中の再発回数は、ミコフェノール酸 モフェチル群ではプラセボ群に比して有意に少なく (平均±標準偏差 : 0.43 ± 0.90 vs. 1.99 ± 2.37 回/人・年、ハザード比 : 0.257、95%信頼区間 : 0.084-0.480)、試験治療期間中のステロイド投与量も有意に減少した (平均±標準偏差 : 4.45 ± 3.52 vs. $10.45 \pm 12.49 \text{ mg/m}^2/\text{日}$ 、 $p = 0.0004$)。また有害事象に関しては、治療を要した感染症がミコフェノール酸 モフェチル群に多かった (1.59 回 vs 0.82 回、平均比 : 1.94 (95%信頼区間 1.07-3.52)) が、**infusion reaction** ならびに遅発性好中球数減少の頻度に差はなく、死亡例もなく、安全性は許容範囲であった。以上の結果から、著者らは、統計的には証明されなかったが、リツキシマブ治療後のミコフェノール酸 モフェチル維持療法は、小児期発症難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群の寛解を維持するための選択肢となり得ると結論している。したがって、小児期発症難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマブ療法の後療法としてミコフェノール酸 モフェチル投与を提案するとし、推奨グレード 2B とした。

他の免疫抑制薬 (シクロホスファミド、シクロスポリン、タクロリムスなど) では小児期発症難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群へのリツキシマブ治療の後療法としてのプラセボ対照ランダム化比較試験は行われていない。また、リツキシマブ治療の後療法としてのミコフェノール酸 モフェチルと他の免疫抑制薬の優劣を比較した試験は、シクロスポリンとミコフェノール酸 モフェチルを比較した少数例の前向き非ランダム化試験があるが、今のところその優劣を論じるだけの根拠に乏しい。

リツキシマブ治療後に長期寛解を維持する他の手段として、リツキシマブの反復投与がある。小児において、リツキシマブを反復投与することによる長期にわたる B 細胞枯渇の安全性は現時点では不明であり、治療としては議論の余地がある。

*treatment failure

JSKDC07 試験では、観察期間中に発生した①頻回再発、②ステロイド依存性、③ステロイド抵抗性と定義している。

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. 要望内容に係る国外の公表文献・成書等について」に記載したとおり、小児期発症の FRNS 及び SDNS 患者を対象とした本薬の臨床試験の成績が報告されている。

また、小児の難治性ネフローゼ症候群患者に本薬が使用されていた後方視的研究や症例報告のうち、代表的な公表文献の概要を以下に示す。

- 1) 灘大志ら. 単回リツキシマブ療法後にミコフェノール酸モフェチルによる維持療法を行った小児難治性ネフローゼ症候群患者の長期予後と安全性. 日本小児腎臓病学会雑誌. 2023; 36(SI): 111.¹²⁾

国立成育医療研究センター、東京都立小児総合医療センター及び横浜市立大学附属市民総合医療センターの3施設で、2007年1月から2021年7月に、小児の難治性 FRNS 又は SDNS 患者に対して、リツキシマブの単回投与及び本薬による維持療法を行い、リツキシマブ投与後2年以上フォローした患者を対象とし、長期予後及び安全性について後方視的に検討した。

対象患者は111例で、観察期間（中央値）は7.4年、本薬投与下での無再発症例は42例（38%）、観察期間中の無再発症例は28例（25%）であった。Kaplan-Meier法による本薬投与下での50%無再発生存期間は2.7年であった。リツキシマブ投与時にCNIを経口投与していた78例中65例（83%）でリツキシマブ後1年以内にCNIを中止可能であった。一方で、約8割の症例で1つ以上の免疫抑制薬の投与を5～10年の長期にわたり要し、半数以上の症例でリツキシマブの追加投与が行われた。初回再発のリスク因子について、Cox比例ハザードモデルによる多変量解析を行ったところ、本薬1,000 mg/m²未満が独立したリスク因子であった。観察期間中、リツキシマブが合計570回投与され、致死的な有害事象はなく、発熱性好中球減少症は19件認められた。12カ月以上持続する低IgG血症が25例（23%）に認められた。6例において、有害事象（消化器症状又は低IgG血症の遷延）によ

り本薬の減量や中止が必要であった。

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

先進医療 B として実施されたリツキシマブ治療併用下での多施設共同二重盲検プラセボ対照無作為化比較試験において、主要評価項目である「治療期間及び追跡期間を通じての treatment failure 発生までの期間」では、プラセボ群と本薬群との間に統計学的な有意差は認められなかったものの、treatment failure 発生リスクが約 40%低下する傾向が認められた。さらに、追加解析として実施された「治療期間中の treatment failure 発生までの期間」ではプラセボ群と比較して本薬群で延長する傾向が認められ、副次評価項目である「治療期間中の再発率」及び「治療期間中のステロイド投与量」でもプラセボ群と比較して本薬群でより良好な傾向が認められた。以上の結果を総合的に評価すると、本試験成績から、本薬の有効性が示唆されていると考える。なお、本試験成績については、第 123 回先進医療技術審査部会（令和 3 年 10 月 14 日開催）においても「主要評価項目で統計学的有意差がみられていないものの、疾患活動性が一定の患者に対しては有用であることが推察されることから、本適応の薬事承認申請に資すると考えられる」と評価されている。さらに、本試験成績を踏まえ、小児特発性ネフローゼ症候群診療ガイドライン 2020 補遺において「小児期発症難治性頻回再発型・ステロイド依存性ネフローゼ症候群に対するリツキシマブ療法の後療法として、寛解維持のためにミコフェノール酸モフェチルを投与することを提案する」とされている。また、海外の教科書や診療ガイドラインにおいても FRNS や SDNS に対する寛解維持を目的として本薬の使用が推奨されており、国内外の公表文献においても本薬の有効性が示唆されている。

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、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における本薬の寛解維持に係る有効性は期待できると考える。

(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

国内外の公表文献等において、FRNS 及び SDNS に対して本薬を投与した際に認められた主な有害事象は、好中球減少症、下痢等であった。これらの事象は本薬の既承認の効能・効果において既知の事象であり、現行の添付文書で注意喚起がなされている。

また、本薬は本邦で 1999 年に承認されて以降、腎移植後の難治性拒絶反応の治療、臓器移植における拒絶反応の抑制、ループス腎炎及び造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制に対して承認されており、日本人における安全性情報が蓄積されている。

以上より、検討会議は、ネフローゼ症候群の治療に十分精通している医師のもとで、現行の添付文書に準じて使用されるのであれば、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）に対する本薬の安全性は管理可能と考える。

（3）要望内容に係る公知申請の妥当性について

国内外の教科書、診療ガイドライン、公表文献等から、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）に対する本薬の有効性が認められている（「7.（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」の項参照）。

安全性について、ネフローゼ症候群の治療に十分精通している医師のもとで、本薬の現行の添付文書に準じて使用されるのであれば、安全性は管理可能と考える（「7.（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」の項参照）。

以上より、検討会議は、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）に対する本薬の有用性は、医学薬学上公知であると判断する。

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、以下のように設定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】（要望内容に関連する部分のみ抜粋）

○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）

【効能・効果に関連する注意】（要望内容に関連する部分のみ抜粋）

〈難治性のネフローゼ症候群〉

- ・リツキシマブ（遺伝子組換え）による治療後に本剤を投与すること。また、診療ガイドライン等の最新の情報を参考に、本剤の投与が適切と判断される患者に使用すること。なお、成人期に発症したネフローゼ症候群の患者に対する有効性及び安全性は確立していない。

【設定の妥当性について】

国内外の教科書、診療ガイドライン、公表文献の記載内容等を踏まえて、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）に対する本薬の有用性は医学薬学上公知であると考える（「7.（3）要望内容に係る公知申請の妥当性について」の

項参照)。

先進医療 B として実施された国内臨床試験では、小児期発症難治性 FRNS 及び SDNS 患者に対してリツキシマブ投与後に本薬を投与し、有効性が認められている。また、国内診療ガイドラインにおいても小児期発症難治性 FRNS 及び SDNS 患者に対するリツキシマブ療法の後治療として本薬の使用が提案されている。以上を踏まえ、「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）」を効能・効果として設定し、効能・効果に関連する注意において、リツキシマブによる治療後に本剤を投与する旨、診療ガイドライン等の最新の情報を参考に、本剤の投与が適切と判断される患者に使用する旨、成人期に発症したネフローゼ症候群患者に対する有効性及び安全性は確立していない旨を記載することが妥当と判断した。

(2) 用法・用量について

用法・用量については、以下のように設定することが妥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】(要望内容に関連する部分のみ抜粋)

〈難治性のネフローゼ症候群〉

通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして 1 回 500～600 mg/m² を 1 日 2 回 12 時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1 日 2,000 mg を上限とする。

【設定の妥当性について】

開始用量について、国内臨床試験における本薬の開始用量は 1,000～1,200 mg/m²/日であり、国内診療ガイドラインでも 1,000～1,200 mg/m²/日とされている。また、国内で実施された前向きコホート研究における本薬の投与量も 1,000～1,200 mg/m²/日であった。海外で実施された臨床試験における本薬の投与量は、750～1,000 mg/m²/日や 20～30 mg/kg/日、目標血漿中本薬トラフ濃度が規定されている場合もあったが、1,000～1,200 mg/m²/日とされた試験が多かった。海外の診療ガイドラインにおいては、本薬の開始用量は 1,200 mg/m²/日とされている。

最大用量について、国内臨床試験では 2,000 mg/m²/日であり、国内診療ガイドラインでも 2,000 mg/m²/日とされている。その他の臨床試験や診療ガイドラインでは、最大用量に関する記載はなかった。

用法について、国内臨床試験における本薬の用法は朝食後及び夕食後投与であり、国内診療ガイドラインでも分 2 とされている。その他の臨床試験や診療ガイドラインでは、用法に関する記載はなかった。

なお、本薬の既承認効能・効果における小児での開始用量は 1 回 150～600 mg/m² を 1 日 2 回 (300～1,200 mg/m²/日) 又は 1 回 300～600 mg/m² を 1 日 2 回 (600～1,200 mg/m²/日)、

最大用量は2,000 mg/m²/日、用法は1日2回12時間毎に食後経口投与とされている。

以上より、本薬の臨床試験成績やガイドライン等の記載及び既承認の小児における用法・用量の設定を踏まえ、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）に対する本薬の用法・用量は、「通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回500～600 mg/m²を1日2回12時間毎に食後経口投与する。なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日2,000 mgを上限とする。」と設定することが妥当と判断した。

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

検討会議は、要望内容に関して不足しているエビデンスはないと判断した。

(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) Iijima K, et al. Mycophenolate mofetil after rituximab for childhood-onset complicated frequently-relapsing or steroid-dependent nephrotic syndrome. J Am Soc Nephrol 2022; 33: 401-19.
- 2) 小児特発性ネフローゼ症候群診療ガイドライン 2020 補遺. 日本小児腎臓病学会. 2022年8月.
- 3) Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO) Glomerular Diseases Work Group. KDIGO 2021 clinical practice guideline for the management of glomerular diseases. Kidney Int 2021; 100: S1-276.
- 4) Gellermann J, et al. Mycophenolate mofetil versus cyclosporin A in children with frequently relapsing nephrotic syndrome. J Am Soc Nephrol 2013; 24: 1689-97.

- 5) Assadi F, et al. Randomized controlled trial to compare safety and efficacy of mycophenolate vs. cyclosporine after rituximab in children with steroid-resistant nephrotic syndrome. *Pharmacotherapy* 2022; 42: 690-6.
- 6) Kamei K, et al. Single dose of rituximab for refractory steroid-dependent nephrotic syndrome in children. *Pediatr Nephrol* 2009; 24: 1321-8.
- 7) Ito S, et al. Maintenance therapy with mycophenolate mofetil after rituximab in pediatric patients with steroid-dependent nephrotic syndrome. *Pediatr Nephrol* 2011; 26: 1823-8.
- 8) Xiang X, et al. Mycophenolate mofetil in the treatment of steroid-dependent or frequently relapsing nephrotic syndrome in children: a meta-analysis. *Front Pediatr* 2021; 9: 671434.
- 9) Larkins NG, et al. Non-corticosteroid immunosuppressive medications for steroid-sensitive nephrotic syndrome in children. *Cochrane Database Syst Rev* 2020; 4: CD002290.
- 10) Zotta F, et al. Update on the treatment of steroid-sensitive nephrotic syndrome. *Pediatr Nephrol* 2022; 37: 303-14.
- 11) DynaMed Plus. EBSCO Information Services; 2023.
- 12) 灘大志ら. 単回リツキシマブ療法後にミコフェノール酸モフェチルによる維持療法を行った小児難治性ネフローゼ症候群患者の長期予後と安全性. *日本小児腎臓病学会雑誌*. 2023; 36(SI): 111.

「特定用途医薬品に係る基準」への該当性に関する
専門作業班（WG）の評価

＜小児 WG＞

目 次

＜小児分野＞

【特定用途医薬品の基準に該当すると考えられた品目】

マシテンタン（要望番号；2023-T002） 1

要望番号	2023-T002	要望・提案者名	ヤンセンファーマ株式会社
要望・提案された 医薬品	一般名	マシテンタン	
	会社名	ヤンセンファーマ株式会社	
要望内容	効能・効果	肺動脈性肺高血圧症	
	用法・用量	<p>2歳以上の小児</p> <p>体重15kg未満の場合：通常、マシテンタンとして3.5mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>体重15kg以上25kg未満の場合：通常、マシテンタンとして5.0mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>体重25kg以上50kg未満の場合：通常、マシテンタンとして7.5mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>体重50kg以上の場合：通常、マシテンタンとして10mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>生後6か月以上2歳未満の小児</p> <p>通常、マシテンタンとして2.5mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p> <p>生後3か月以上6か月未満の小児</p> <p>通常、マシテンタンとして1mgを1日1回、用時水に分散させ経口投与する。</p>	
「特定用途医薬品」への該当性に関するWGの評価	<p>(1) 対象とする用途に用いるために必要な開発の該当性 ア①及び②</p> <p>[特記事項]</p> <p>今般の開発提案は、マシテンタン（以下、「本薬」）について、小児の肺動脈性肺高血圧（以下、「PAH」）患者に対する用法・用量の追加に伴い、小児が服用しやすい剤形として分散錠の開発を行うものであるため、指定要件ア①及び②に該当すると考える。</p> <p>(2) 対象とする用途の需要が著しく充足していないことの該当性 イ②</p>		

[特記事項]

本邦では、PAH 治療薬としてエンドセリン受容体拮抗薬（以下、「ERA」）、ホスホジエステラーゼ（以下、「PDE」）5 阻害薬、可溶性グアニル酸シクラーゼ刺激薬及びプロスタサイクリン製剤が使用可能であり、急性肺血管反応試験が陰性の PAH 患者に対しては、異なる作用機序の PAH 治療薬の組合せによる併用療法が推奨されている（特発性／遺伝性肺動脈性肺高血圧症（IPAH/HPAH）診療ガイドライン）。

小児の PAH 患者に対しても、上記のとおり異なる作用機序の薬剤の組合せによる併用療法が推奨されているものの、既承認の PAH 治療薬のうち、小児に対する用法・用量が承認されている薬剤は限られている。ERA では、ボセンタン水和物（以下、「ボセンタン」）及びアンブリセンタンについて小児の用法・用量が承認されているが、ボセンタンは複数の併用薬と薬物相互作用を示すこと及び肝毒性を引き起こす可能性があり（Heart 2016; 102: ii67-85）、肝毒性や薬物相互作用の懸念がボセンタンより小さいアンブリセンタンは投与対象が 8 歳以上の小児患者とされていること等の制限がある。以上より、上記の ERA の投与が困難な小児患者に対しても投与可能な薬剤が必要とされていると考えられることから、指定要件（イ）②に該当すると考える。

(3) 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の該当性 ウ①及び②

[特記事項]

指定要件ウ①について

PAH は、末梢肺小動脈の血管攣縮、リモデリング、二次的な血栓形成等により肺動脈の狭小化及び肺血管抵抗の増加をきたし肺動脈圧が上昇し、治療介入がない場合、失神、喀血、右心不全、さらには死に至る極めて生命予後の悪い疾患であるため、指定要件ウ①に該当すると考える。

指定要件ウ②について

本薬は、海外においても小児の PAH に対する用法・用量は承認されていないため、国内外の診療ガイドラインに小児に対する治療薬として記載されていない。しかしながら、以下の点を考慮すれば、実施中の本薬の国内外の臨床試験において、小児に対

	<p>する有効性及び安全性が期待できると判断可能な結果が得られた場合、本薬は成人と同様、小児の PAH に対しても標準的な治療薬と位置付けられることが想定される。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 国内外の診療ガイドラインにおいて、小児の PAH に対する治療アルゴリズムは、成人の治療指針に準拠していること（肺高血圧症治療ガイドライン（2017年改訂版）、ESC/ERS ガイドライン（Eur Heart J 2022; 43:3618-731）等） ・ 成人の PAH 患者に対しては、ESC/ERS ガイドラインにおいて本薬を含む ERA と PDE5 阻害薬との併用療法が推奨され、肺高血圧症治療ガイドライン（2017年改訂版）では WHO 機能分類クラスⅡ及びⅢの患者に本薬の投与が推奨される等、本薬が既に標準的な治療薬として記載されていること <p>以上より、指定要件ウ②に該当すると考える。</p>
備 考	

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12月20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 48 件及び第Ⅳ回要望分開発要請 102 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6-3「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6-4「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6-5「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6-6「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、2024年10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、2024年7月、2024年10、11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。

企業から提出された開発工程表における進捗について

(2024 年 12 月 20 日時点)

資料 6 - 3 から 6 - 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Ⅲ回	47→48	2024 年 10 月 Ⅲ-④-12 メトロニダゾール に係る開発要請を行った。
第Ⅳ回	89→102	2024 年 10、11 月 Ⅳ-83 アレムツズマブ (遺伝子組換え) Ⅳ-92 オキサリプラチン Ⅳ-137 テモゾロミド Ⅳ-158 テモゾロミド Ⅳ-159 ドセタキセル水和物 Ⅳ-171 オキサリプラチン Ⅳ-172 イリノテカン塩酸塩水和物 Ⅳ-173 フルオロウラシル Ⅳ-174 レボホリナートカルシウム水和物 Ⅳ-179 トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物 Ⅳ-183 Naxitamab-gqgk [Naxitamab、ナキシタマブ] Ⅳ-190 ペムブロリズマブ (遺伝子組換え) ⅣS-25 メルファラン 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。

(1) 第I回開発要請

承認済み品目が、1件増え、183件

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	進捗内容
1	ダイドーフ アーマ	アミファンプリジ ンリン酸塩	ファダプス錠 10mg	ランバート・イートン筋無力症 候群による筋力低下の改善	承認申請済み →承認済み（2024年9月）

(2) 第II回開発要請

前回資料からの変更なし。

(3) 第III回開発要請

公知申請予定品目が、1件増え、3件

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	進捗内容
Ⅲ-④-12	ファイザー	メトロニダゾール	アネメトロ点滴静注液 500mg	嫌気性菌感染症、感染性腸炎、 アメーバ赤痢（小児の用量の追加）	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加

(4) 第IV回開発要請

承認済み品目が、3件増え、61件

治験計画届提出済み品目が、1件増え、8件

公知申請予定品目が、10件増え、30件

その他品目が、2件増え、2件

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	進捗内容
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）	承認申請済み →承認済み（2024年11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 250 μ g 調製用	慢性特発性血小板減少性紫斑病 (小児に関する要望)	承認申請済み →承認済み (2024年11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	承認申請済み →承認済み (2024年11月)
IV-183	ノーベルファーマ	Naxitamab-gqgk [Naxitamab、ナキシタマブ]	DANYELZA	再発/難治性高リスク神経芽腫	開発要請発出に伴い、治験計画届提出済みとして追加
IV-83	サノフィ	アレムツズマブ (遺伝子組換え)	マブキャンパス点滴静注 30mg	T細胞性前リンパ球性白血病	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
IV-92	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	再発・難治性非ホジキンリンパ腫	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
IV-137	大原薬品工業	テモゾロミド	テモダールカプセル 20 mg テモダールカプセル 100 mg テモダール点滴静注用 100mg	再発・難治性神経芽腫	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
IV-158	大原薬品工業	テモゾロミド	テモダールカプセル 20 mg テモダールカプセル 100 mg テモダール点滴静注用 100mg	悪性下垂体腺腫 (下垂体癌と難治性下垂体腺腫*) *標準治療 (外科手術、薬物治療、放射線治療) に抵抗性で再発を繰り返す下垂体腺腫	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
IV-159	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	乳癌	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
IV-171	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	膀胱癌	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
IV-172	アルフレックス	イリノテカン塩酸	トポテシン点滴静注 40 mg、同	膀胱癌	開発要請発出に伴い、公知申請

	サファーマ ヤクルト本 社	塩水和物	100 mg		請予定として追加
IV-173	協和キリン	フルオロウラシル	5-FU 注 250mg、5-FU 注 1000mg	膵癌	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
IV-174	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	膵癌	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
IV-179	ノバルティスファーマ	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	メキニスト錠 0.5mg, 同錠 2mg	再発した低異型度漿液性卵巣癌 または腹膜癌	開発要請発出に伴い、公知申請予定として追加
IV-190	MSD	ペムブロリズマブ (遺伝子組換え)	キイトルーダ®点滴静注 100mg	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 GIN を含む	開発要請発出に伴い、その他として追加
IVS-25	サンドファーマ	メルファラン	-	網膜芽細胞腫	開発要請発出に伴い、その他として追加

企業から提出された開発工程表の概要等(第 I 回要望)(2024年12月20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	104	72	5	2	183
承認申請済み	0	0	0	0	0
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

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

(単位:件)

	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	104	72	5	2	183
承認申請済み	0	0	0	0	0
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

(単位:件)

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

(単位:件)

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(183件)

<第1回開発要請分(104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	ガラントアミン臭化水素酸塩	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	メモリー錠	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	ゲムシタピン塩酸塩	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	○

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カ月未満: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	ビンプラスチン硫酸塩	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	○
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	○
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30 μ g/kgを皮下に投与する。 <u>なお、症状に応じて180 μg/kgまで増量できる。</u> (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「ニチャク」	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ト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	
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	ホスフェイ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	ポリノスタット	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	ペバシズマブ	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	カナキスマブ	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	
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、経腔剤	フラジール内服錠 フラジール腔錠	〈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〉細菌性膣症	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2.5mg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	○
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	○
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	<p>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、<u>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。</u>なお、年齢、症状により適宜増減する。 (下線部追加)</p>	2012年6月	○
331	塩野義製薬	リシノプリル	ロンゲス錠	<p>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、<u>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。</u>なお、年齢、症状により適宜増減する。 (下線部追加)</p>	2012年6月	○
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	<p>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、<u>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。</u> 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)</p>	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	<p>高血圧症 通常、6歳以上の小児には、バルサルタンとして、<u>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。</u>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、<u>体重35kg未満の場合、40mgとする。</u> (下線部追加)</p>	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	<p>2. 嫌気性菌感染症 <u><適応菌種></u> 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 <u><適応症></u> 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</p> <p>3. 感染性腸炎 <u><適応菌種></u> 本剤に感性のクロストリジウム・ディフィシル <u><適応症></u> 感染性腸炎（偽膜性大腸炎を含む）</p> <p>6. アメーバ赤痢 7. ランブル鞭毛虫感染症 (下線部追加)</p>	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	
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	トービー吸入液	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、痙攣性斜頸、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	デスマ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	経ロリン酸塩製剤	ホスリボン配合顆粒	ファンconi症候群	2012年12月	
348	c	ゼリア新薬工業	経ロリン酸塩製剤	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	アミノレプリン酸塩酸塩	アラベル内用剤	悪性神経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	
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・経口服液	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	トレブロスチニル	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	
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	ポリコナゾール	ブイフェンド静注用、ブイフェンド錠	<p><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) ポリコナゾール注射剤による治療を行った後、通常、ポ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) ポリコナゾール注射剤による治療を行った後、通常、ポ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</p>	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	腭・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	マンツル細胞リンパ腫	2015年6月	
50	バイエル薬品	イロprost	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	
51	マリノックロットジャパン(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300 μ g	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	
173	サノフィ	精製Vi多糖体腸チフスワクチ ン	タイフィム ブイアイ注シリンジ	腸チフスの予防	2024年6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	○
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istol・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	セフトキシムナトリウム	クラフォラン注射用	通常小児には、セフトキシムとして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	○
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-PDGFR α 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	ラストテット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istol・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istol・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istol・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istol・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istol・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istol・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頸癌	2012年3月	○
222	ブリistol・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	○
43	Meiji Seikaファルマ	アンピシリンナトリウム	ピクシリン注射用	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	スルファメキサゾール・トリメトプリム配合剤	バクタミン錠、バクタミン配合顆粒	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	
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	アツヴィ	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か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か月齢以下の新生児および乳児 ・過去6か月以内に気管支肺異形成症(BPD)の治療を受けた24か月齢以下の新生児、乳児および幼児 ・24か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か月齢以下の免疫不全を伴う新生児、乳児および幼児 ・24か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	
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 ・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	シナカルセット塩酸塩	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	
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	リスベリドン	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	點頭てんかん	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
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	クリサントスパーゼ	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	○
362	田辺三菱製薬	アルテプラゼ(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	アツヴィ	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(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
※	協和キリン 日本セルヴィエ	ペグアスパラガーゼ	オンキヤスパー点滴静注用 3750 単位	急性リンパ性白血病、悪性リンパ腫	2023年6月	
1	ダイドーファーマ	アミファンプリジニン酸塩	ファダプス錠10mg	ランバート・イートン筋無力症候群による筋力低下 の改善	2024年9月	

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)>

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	ドキシルピシン塩酸塩 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	デシタピン	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6-4

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅱ回要望)(2024年12月20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

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

(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

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 (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	隣神経内分泌腫瘍	2012年8月	
II-10	協和発酵キリン	L-アスパラギナーゼ	ロイナーゼ注射	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istol・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	○
II-116	協和発酵キリン	ダカルバジン	ダカルバジン注射	褐色細胞腫	2013年3月	○

II-176	ブリistol・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istol・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	ピンクリスチン硫酸塩	オンコピン注射用	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	電氣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	アバステン	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	○
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	GSL ベーリング	人血液凝固第Ⅲ因子	フィブロガミンP静注用	後天性血液凝固第Ⅲ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	膀胱癌	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	膀胱癌	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	膀胱癌	2013年12月	
II-194	協和発酵キリン	フルオロウラシル	5-FU注	膀胱癌	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	膀胱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	
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	
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	脾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)	ネスブ注射液	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/m ² 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istol・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	
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istol・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	○
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. <u>骨形成不全症</u> (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	プロプレス錠	小児高血圧症	2019年5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
II-290	MSD	組換え沈降B型肝炎ワクチン (酵母由来)	ヘプタボックス-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。 <u>なお、生後12時間以内が望ましい。</u> 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。 <u>なお、生後12時間以内が望ましい。</u> 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	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。 <u>なお、生後12時間以内が望ましい。</u> 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	2025年3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)	2025年3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	2025年3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	2025年3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相試験に着手したが、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	乾燥濃縮人アンチロ ンビンIII	アンスロビンP	後天性アンチロニン欠乏 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	GSL ベーリング	乾燥濃縮人アンチロ ンビンIII	アンスロビンP	後天性アンチロニン欠乏 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。

企業から提出された開発工程表の概要等(第Ⅲ回要望)(2024年12月20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1～11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)	第17回開発要請分 (2024年10月)	計
承認済み	38	3	1	0	0	0	0	42
承認申請済み	0	0	0	0	0	0	0	0
治験計画届提出済み	0	0	0	0	0	0	0	0
公知申請予定	1	0	0	0	0	1	1	3
治験計画届提出予定	0	0	0	0	0	0	0	0
その他	0	0	0	1	2	0	0	3
合計	39	3	1	1	2	1	1	48

開発要請取り下げ	8	0	0	0	0	0	0	8
----------	---	---	---	---	---	---	---	---

2. 開発工程表の詳細な分類

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

(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)	第17回開発要請分 (2024年10月)	計
承認済み	38	3	1	0	0	0	0	42
承認申請済み	0	0	0	0	0	0	0	0
治験計画届提出済み	0	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)	第17回開発要請分 (2024年10月)	計
0	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)	第17回開発要請分 (2024年10月)	計
0	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

(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)	第17回開発要請分 (2024年10月)	計
0	0	0	0	0	0	1	1

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)	第17回開発要請分 (2024年10月)	計
1	0	0	0	0	1	0	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)	第17回開発要請分 (2024年10月)	計
0	0	0	0	0	0	0	0

g. その他

(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)	第17回開発要請分 (2024年10月)	計
0	0	0	1	2	0	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)	第17回開発要請分 (2024年10月)	計
8	0	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istol・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	○
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	トルパプタン	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	○
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	ニトロプロ持続静注液6mg ニトロプロ持続静注液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	ニトロプロ持続静注液6mg ニトロプロ持続静注液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	○
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2.5mg(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5mg、5歳以上10歳未満には7.5mg、10歳以上18歳未満には10mg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
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	チラーゼンS静注液200 μ g	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	○
Ⅲ-④-20	中外製薬	ベバシズマブ(遺伝子組換え)	アバステン点滴静注用	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 <u>急性骨髄性白血病</u> (下線部が今回追加部分)	2022年6月	○

<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)>

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)>

<第17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)>

<第17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)>

<第17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)>

<第17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(1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(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)
Ⅲ-④-12	ファイザー株式会社	メロニダゾール	アネメトロ点滴静注液500mg	嫌気性菌感染症、感染性腸炎、アメーバ赤痢 (小児の用量の追加)	2025年5月

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	三酸化ニヒ素	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	2025年2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(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-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8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)>

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)>

<第17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 mg	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)>

<第17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	アツヴィ	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	アツヴィ	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)>

<第17回開発要請分(0件)>

企業から提出された開発工程表の概要等(第IV回要望)(2024年12月20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1～10回開発要請分 (2016～2019年度分)	第11～24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)	第29回開発要請分 (2024年7月)	第30回開発要請分 (2024年10、11月)	計
承認済み	21	38	1	0	1	0	0	0	61
承認申請済み	0	0	0	0	1	0	0	0	1
治験計画届提出済み	1	6	0	0	0	0	0	1	8
公知申請予定	3	4	5	1	2	3	2	10	30
その他	0	0	0	0	0	0	0	2	2
合計	25	48	6	1	4	3	2	13	102
開発要請取り下げ	2	1	0	0	0	0	0	0	3

a-0. 承認済みのもの(61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 <u>急性骨髄性白血病</u> (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50 μ g、同注100 μ g、同注250 μ g	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50 μ g、同注100 μ g、同注250 μ g	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50 μg, 同100 μg	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)	ジェントロピンゴークイック注 用12mg, 同5.3mg, ジェントロ 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)	ジェントロピンゴークイック注 用12mg, 同5.3mg, ジェントロ 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(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
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/m ² (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/m ² (体表面積)を静注、さらにフルオロウラシルとして2400~3000 mg/m ² (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	アイソポリン点滴静注用25mg、アイソポリン点滴静注用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	○
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250 μg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。	2024年11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)	2024年11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	2024年11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	フォルリモンP注75 フォルリモン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	フェマール錠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	フェマール錠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(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-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	2024年6月	○

<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(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-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	2024年6月	○

<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	承認年月	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シル マル酸塩300 mg(テノホビル ジソプロキシシルとして245 mg)	ツルバダ配合錠	HIV-1感染症の曝露前予防	2024年8月	○

<第28回開発要請分(0件)>

<第29回開発要請分(0件)>

<第30回開発要請分(0件)>

a-1. 承認申請済みのもの(1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(1件)>

要望番号	企業名	成分名	販売名	開発内容	公知申請
IV-155	アツヴィ合同会社	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	○

<第28回開発要請分(0件)>

<第29回開発要請分(0件)>

<第30回開発要請分(0件)>

a-2. 治験計画届提出済みのもの(8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	脳腫黄色腫症	

<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)>

<第29回開発要請分(0件)>

<第30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-183	ノーベルファーマ	Naxitamab-gqgk [Naxitamab、ナキシタマブ]	DANYELZA	再発/難治性高リスク神経芽腫	

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(12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)>

<第29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)
IV-75	ノバルティスファーマ	イマチニブメシル酸塩	グリベック錠100mg	隆起性皮膚線維肉腫	未定
IV-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200mg ジェムザール注射用1g	局所進行上咽頭癌に対する導入化学療法	未定

<第30回開発要請分(10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)
IV-83	サノフィ	アレムツズマブ(遺伝子組換え)	マブキャンパス点滴静注 30mg	T細胞性前リンパ球性白血病	2025年5月
IV-92	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	再発・難治性非ホジキンリンパ腫	2025年5月
IV-137	大原薬品工業	テモゾロミド	テモダールカプセル20 mg テモダールカプセル100 mg テモダール点滴静注用100 mg	再発・難治性神経芽腫	2025年4月
IV-158	大原薬品工業	テモゾロミド	テモダールカプセル20 mg テモダールカプセル100 mg テモダール点滴静注用100 mg	悪性下垂体腺腫(下垂体癌と難治性下垂体腺腫*) *標準治療(外科手術、薬物治療、放射線治療)に抵抗性で再発を繰り返す下垂体腺腫	2025年4月
IV-159	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	乳癌	2025年5月
IV-171	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	膵癌	2025年5月
IV-172	アルフレッサ ファーマ ヤクルト本社	イリノテカン塩酸塩水和物	トポテシン点滴静注40mg、同100mg	膵癌	未定
IV-173	協和キリン	フルオロウラシル	5-FU注250mg、5-FU注1000mg	膵癌	2025年5月
IV-174	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	膵癌	2025年5月
IV-179	ノバルティスファーマ	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	メキニスト錠0.5mg, 同錠2mg	再発した低異型度漿液性卵巣癌または腹膜癌	未定

e. 開発要請半年後以降に公知申請を予定するもの(18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	チエプラファーム 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	大原薬品工業	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	2027年3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	2025年3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	2026年5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	注射用メトトレキサート5mg / 注射用メトトレキサート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	メトトレキサート点滴静注液 200mg / メトトレキサート点滴 静注液1000mg	中枢神経系原発リンパ腫	2026年5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	2026年5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	2026年5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	2025年3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	2025年3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(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-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	2025年6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	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
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	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中
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8月	WGで検討中	公知申請の該当性を検討中

<第29回開発要請分(0件)>

<第30回開発要請分(0件)>

g. その他(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(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)>

<第29回開発要請分(0件)>

<第30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-190	MSD	ペムブロリズマブ(遺伝子組換え)	キイトルーダ®点滴静注100mg	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 GINを含む	申請方法について検討中
IVS-25	サンドファーマ	メルファラン	-	網膜芽細胞腫	公知申請の検討中

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、要望者より開発要請が取り下げられた
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、要望者より開発要請が取り下げられた

<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)>

<第29回開発要請分(0件)>

<第30回開発要請分(0件)>

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(2024年12月20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	デクスラゾキサソ	アントラサイクリン系薬剤静脈内投与による血管外漏出	キッセイ薬品工業(株)	承認済
3	ベタイン	ホモシスチン尿症	(株)レクメド	承認済
4	メトロニダゾール	静注剤の剤形追加、嫌気性菌感染症、アメーバ赤痢	ファイザー(株)	承認済
5	ホメピゾール	エチレングリコール中毒、及びメタノール中毒の治療	武田薬品工業(株)	承認済
6	ニチシノン	チロシン血症 I 型	アステラス製薬(株)	承認済
7	メチレンブルー	薬剤性のメヘモグロビン血症	第一三共(株)	承認済
8	コリスチンメタンサルホン酸ナトリウム塩	注射剤の剤形追加 <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	経腔剤の剤形追加、体外受精-胚移植(IVF-ET)の際の黄体補充	富士製薬工業(株)	承認済
10	亜セレン酸ナトリウム	セレン欠乏症により生じる重篤な視力障害、神経障害、心筋障害、毛髪変化の改善	藤本製薬(株)	承認済
11	ハイドロモルフォン塩酸塩	癌性疼痛の軽減	第一三共プロファーマ(株)	承認済
12	カルグルミック酸	N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症	(株)ポーラファルマ	承認済
13	プロゲステロン	経口剤の剤形追加、子宮非摘出閉経女性におけるホルモン補充療法(HRT)の補助	富士製薬工業(株)	承認済
14	モルヒネ塩酸塩水和物	中等度から高度の疼痛をともなう各種癌における鎮痛及び難治性慢性疼痛に対する鎮痛における体内植え込み型薬剤投与ポンプを用いた脊髄くも膜下腔内持続投与	武田薬品工業(株) 日本メドトロニック(株)*	承認済
15	コリスチンメタンサルホン酸ナトリウム塩	吸入用製剤の剤形追加、肺嚢胞線維症の気道感染症	あり(企業名未公表)	未公表
16	ナフシリン	ペニシリナーゼ産生ブドウ球菌による感染症	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	ペガデマラーゼ	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	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
13		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。

「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の高い未承認薬・適応外薬について、定期的に関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。

「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	医療法人社団永生会	クリニックO
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

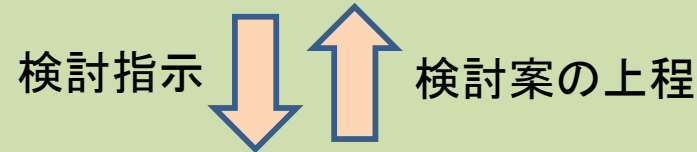
（※他の専門分野は、必要に応じて適宜参考人として出席を要請。）

第61回検討会議 参考人

森川	和彦	都立小児総合医療センター	臨床研究支援センター長
安河内	聡	慈泉会相澤病院	エコーセンター長兼循環器内科顧問

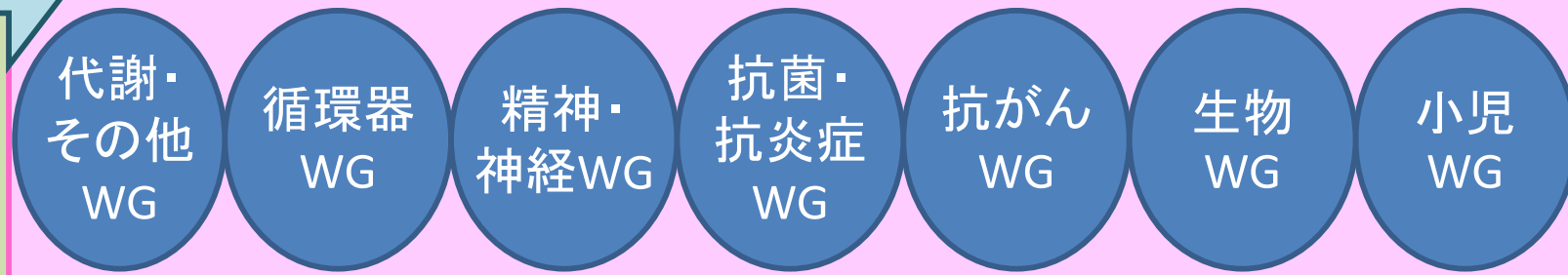
専門作業班(WG)の設置について

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議



専門作業班(WG)

7つの班で、品目毎の個別具体的検討



企業見解
文献報告
海外規制情報
等

※ 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

「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 小早川 雅男 岩部 真人 大門 貴志 鈴木 亮 軒原 浩	千葉大学医学部附属病院 臨床試験部 部長・教授 福島県立医科大学 医療研究推進センター 教授 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 兵庫医科大学 医療統計学 教授 東京医科大学病院 糖尿病・代謝・内分泌内科 主任教授 国際医療研究センター 呼吸器内科 医長
循環器WG	安河内 聡 海野 信也 真田 昌爾 大門 貴志 橋詰 淳 星出 聡 又吉 哲太郎	慈泉会相澤病院 エコーセンター長兼循環器内科顧問 北里大学名誉教授 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 兵庫医科大学 医療統計学 教授 国立大学法人名古屋大学 臨床研究教育学 講師 自治医科大学内科学講座循環器内科学部門 教授 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 稲垣 中 稲田 健 尾方 克久 小杉 志都子 許斐 健二 住谷 昌彦 大門 貴志 吉富 健志	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 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 北里大学医学部精神科学 教授 国立病院機構東埼玉病院 副院長 慶應義塾大学医学部 麻酔学教室 准教授 慶應義塾大学医学部 臨床研究推進センター 教授 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 兵庫医科大学 医療統計学 教授 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 井上 彰 川畑 仁人 小早川 雅男 齋藤 好信 手良向 聡 花岡 英紀 坂東 政司 藤本 学 堀野 哲也 横暮 能行	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 東北大学大学院医学系研究科 緩和医療学分野 教授 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 福島県立医科大学 医療研究推進センター 教授 日本医科大学武蔵小杉病院 呼吸器内科 部長 京都府立医科大学 大学院医学研究科 生物統計学 教授 千葉大学医学部附属病院 臨床試験部 部長・教授 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 大阪大学大学院 医学系研究科 皮膚科学 教授 東京慈恵会医科大学感染制御科 准教授 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 勸 平瀬 主税 大庭 幸治 柴田 大朗 鈴木 賢一 富澤 大輔 長瀬 通隆	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 近畿大学病院 臨床研究センター 講師 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 国立がん研究センター 研究支援センター 生物統計部長 東京薬科大学薬学部 臨床薬理学教室 教授 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 土田 尚 荒戸 照世 石川 洋一 林 邦彦	医療法人啓信会 京都きづ川病院 病院顧問 国立病院機構本部 総合研究センター 治験研究部 部長 北海道大学病院臨床研究開発センター 教授 明治薬科大学 特任教授 群馬大学 理事・副学長
小児WG	森川 和彦 中川 雅生 土田 尚 石川 洋一 小村 誠 庄司 健介 丹沢 彩乃 林 邦彦	都立小児総合医療センター 臨床研究支援センター長 医療法人啓信会 京都きづ川病院 病院顧問 国立病院機構本部 総合研究センター 治験研究部 部長 明治薬科大学 特任教授 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 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 国立成育医療研究センター病院 薬剤部 薬歴管理主任 群馬大学 理事・副学長

※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。

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（致命的な疾患）
 - 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 一定の要件をみたまず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

開発要請先企業の指定の考え方について

＜共通ルール＞

- 既の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かった場合には、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)

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）

<u>重篤・緊急性あり</u>	ア	生命に重大な影響がある疾患（致命的な疾患）
	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）

<u>有用性・必要性あり</u>	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つ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。

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。

執行部に所属している学会について

令和7年1月30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	なし
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	日本うつ病学会、日本臨床神経精神薬理学会、日本社会精神医学会、日本不安症学会、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、東京精神医学会