

薬事・食品衛生審議会
医薬品第一部会
議事次第

1. 開会

2. 審議事項

- 議題1 医薬品ステララ点滴静注130 mg及び同皮下注45 mgシリンジの製造販売承認事項一部変更承認の可否及び再審査期間の指定について
- 議題2 医薬品ロケルマ懸濁用散分包5 g及び同懸濁用散分包10 gの生物由来製品及び特定生物由来製品の指定の要否、製造販売承認の可否及び再審査期間の指定並びに毒薬又は劇薬の指定の要否について
- 議題3 医薬品ルムジェブ注カート、同注ミリオペン、同注ミリオペンHD、及び同注100単位/mLの生物由来製品及び特定生物由来製品の指定の要否、製造販売承認の可否及び再審査期間の指定並びに毒薬又は劇薬の指定の要否について
- 議題4 医薬品ソリクア配合注ソロスターの生物由来製品及び特定生物由来製品の指定の要否、製造販売承認の可否及び再審査期間の指定並びに毒薬又は劇薬の指定の要否について
- 議題5 医薬品メラベル顆粒小児用0.2%の生物由来製品及び特定生物由来製品の指定の要否、製造販売承認の可否及び再審査期間の指定並びに毒薬又は劇薬の指定の要否について
- 議題6 医薬品ラツォダ錠20 mg、同錠40 mg、同錠60 mg及び同錠80 mgの生物由来製品及び特定生物由来製品の指定の要否、製造販売承認の可否及び再審査期間の指定並びに毒薬又は劇薬の指定の要否について
- 議題7 医薬品ビルテプソ点滴静注250 mgの生物由来製品及び特定生物由来製品の指定の要否、製造販売承認の可否及び再審査期間の指定並びに毒薬又は劇薬の指定の要否について
- 議題8 医薬品オキシコンチンTR錠5 mg、同TR錠10 mg、同TR錠20 mg及び同TR錠40 mgの製造販売承認事項一部変更承認の可否及び再審査期間の指定について
- 議題9 医薬品アイラミド配合懸濁性点眼液の生物由来製品及び特定生物由来製品の指定の要否、製造販売承認の可否及び再審査期間の指定並びに毒薬又は劇薬の指定の要否について
- 議題10 医薬品アイリーア硝子体内注射液40 mg/mL及び同硝子体内注射用キット40 mg/mLの製造販売承認事項一部変更承認の可否及び再審査期間の指定について

議題11 医薬品キャブピリン配合錠の生物由来製品及び特定生物由来製品の指定の要否、製造販売承認の可否及び再審査期間の指定並びに毒薬又は劇薬の指定の要否について

資料12 オファツムマブ(遺伝子組換え)を希少疾病用医薬品として指定することの可否について

資料13 Vestronidase alfaを希少疾病用医薬品として指定することの可否について

資料14 イデュルスルファーゼ ベータ(遺伝子組換え)脳室内投与用製剤を希少疾病用医薬品として指定することの可否について

3. 報告事項

議題1 医療用医薬品の再審査結果について
(ヒュミラ皮下注40 mgシリンジ0.8 mL及び同皮下注20 mgシリンジ0.4 mL)
(ノバスタンHI注10 mg/2mL及びスロンノンHI注10 mg/2mL)
(アクトネル錠17.5 mg及びベネット錠17.5 mg)
(サイモグロブリン点滴静注用25 mg)
(サイモグロブリン点滴静注用25 mg)
(レミッチカプセル2.5 µg及び同OD錠2.5 µg)
(シュアポスト錠0.25 mg及び同錠0.5 mg)
(アイノフロー吸入用800 ppm)

4. その他

議題1 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議において公知申請を行うことが適当と判断された適応外薬の事前評価について

5. 閉会

令和2年2月28日医薬品第一部会審議品目・報告品目一覧

No.	審議・報告	販売名 (会社名)	会社名	製造・輸入・製販別	承認・一変別	成分名	効能・効果等	備考	再審査期間	毒・劇薬
1	審議	①ステララ点滴静注130 mg ② 同 皮下注45 mgシリンジ	ヤンセンファーマ㈱	製販 製販	一変 一変	ウステキヌマブ(遺伝子組換え)	①中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法(既存治療で効果不十分な場合に限る)を効能・効果とする新効能医薬品 ②中等症から重症の潰瘍性大腸炎の維持療法(既存治療で効果不十分な場合に限る)を効能・効果とする新効能医薬品	-	4年	原体:劇薬(指定済み) 製剤:劇薬(指定済み)
2	審議	ロケルマ懸濁用散分包5 g 同 懸濁用散分包10 g	アストラゼネカ㈱	製販 製販	承認 承認	ジルコニウムシクロケイ酸ナトリウム水和物	高カリウム血症を効能・効果とする新有効成分含有医薬品	-	8年	原体:非該当 製剤:非該当
3	審議	ルムジェブ注カート 同 注ミリオベン 同 注ミリオベンHD 同 注100単位/mL	日本イーライリリー㈱	製販 製販 製販	承認 承認 承認	インスリン リスプロ(遺伝子組換え)	インスリン療法が適応となる糖尿病を効能・効果とする新剤形医薬品	-	4年	原体:劇薬(指定済み) 製剤:劇薬(指定予定)
4	審議	ソリアク配合注ロスター	サノフィ㈱	製販 製販	承認 承認	インスリン グラルギン(遺伝子組換え)/リキシセナチド	インスリン療法が適応となる2型糖尿病を効能・効果とする新医療用配合剤	-	4年	原体:劇薬(指定済み) 製剤:劇薬(指定予定)
5	審議	メラベル顆粒小児用0.2%	ノーベルファーマ㈱	製販 製販	承認 承認	メラトニン	小児期の神経発達症に伴う入眠困難の改善を効能・効果とする新有効成分含有医薬品	-	8年	原体:非該当 製剤:非該当
6	審議	ラソダ錠20 mg 同 錠40 mg 同 錠60 mg 同 錠80 mg	大日本住友製薬㈱	製販 製販 製販 製販	承認 承認 承認 承認	ルラシドン塩酸塩	統合失調症、双極性障害におけるうつ症状の改善を効能・効果とする新有効成分含有医薬品	-	8年	原体:劇薬(指定予定) 製剤:劇薬(指定予定)
7	審議	ビルテブソ点滴静注250 mg	日本新薬㈱	製販 製販	承認 承認	ビルトラルセン	エクソン53スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィーを効能・効果とする新有効成分含有医薬品	元通り審査指定制度対象品目 条件付き早期承認 希少疾病	10年	原体:非該当 製剤:非該当
a	審議	オキシシドンTR錠5 mg 同 TR錠10 mg 同 TR錠20 mg 同 TR錠40 mg	シオノギファーマ㈱	製販 製販 製販 製販	一変 一変 一変 一変	オキシシドン塩酸塩水和物	非オピオイド鎮痛薬又は他のオピオイド鎮痛薬で治療困難な中等度から高度の慢性疼痛における鎮痛を効能・効果とする新効能・新用量医薬品	-	4年	原体:毒薬(指定済み) 製剤:劇薬(指定済み)
9	審議	アイラミド配合懸濁性点眼液	千寿製薬㈱	製販 製販	承認 承認	プリモニジン酒石酸塩/プリンゾラミド	他の緑内障治療薬が効果不十分な場合の緑内障、高眼圧症を効能・効果とする新医療用配合剤	-	6年	原体:劇薬(指定済み) 製剤:非該当

No.	審議・報告	販売名 (会社名)	会社名	製造・輸入・製販別	承認・一変別	成分名	効能・効果等	備考	再審査期間	毒・劇薬
10	審議	アイリーア硝子体内注射液40 mg/mL 同 硝子体内注射用キット40 mg/mL	バイエル薬品 株	製販 製販	一変 一変	アフリベルセ プト(遺伝子 組換え)	血管新生緑内障を効能・効果 とする新効能・新用量医薬品	希少疾病 用医薬品	10年	原体:劇薬 (指定済み) 製剤:劇薬 (指定済み)
11	審議	キャプビリン配合錠	武田薬品工業 株	製販	承認	アスピリン/ボ ノプラザンフ マル酸塩	下記疾患又は術後における 血栓・塞栓形成の抑制(胃潰 瘍又は十二指腸潰瘍の既往 がある患者に限る)を効能・効 果とする新医療用配合剤 ・狭心症(慢性安定狭心症、 不安定狭心症)、心筋梗塞、 虚血性脳血管障害(一過性脳 虚血発作(TIA)、脳梗塞) ・冠動脈バイパス術(CABG) あるいは経皮経管冠動脈形 成術(PTCA)施行後	-	残余 (令和4 年12月 25日ま で)	原体(アスピリン):非 該当 原体(ボノプラザン): 劇薬 (指定済み) 製剤:非該当

申請者	販売名	新規／一部変更
ヤンセンファーマ(株)	ステラーラ点滴静注 130 mg、同皮下注 45 mg シリンジ	一部変更
一般名	ウステキヌマブ(遺伝子組換え)	
効能・効果	<p>ステラーラ点滴静注 130 mg :</p> <p>中等症から重症の活動期クローン病の導入療法(既存治療で効果不十分な場合に限る)</p> <p><u>中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法(既存治療で効果不十分な場合に限る)</u></p> <p>ステラーラ皮下注 45 mg シリンジ :</p> <p>既存治療で効果不十分な下記疾患</p> <p>尋常性乾癬、関節症性乾癬</p> <p>中等症から重症の活動期クローン病の維持療法(既存治療で効果不十分な場合に限る)</p> <p><u>中等症から重症の潰瘍性大腸炎の維持療法(既存治療で効果不十分な場合に限る)</u></p> <p style="text-align: right;">(下線部追加)</p>	
用法・用量	<p>ステラーラ点滴静注 130 mg :</p> <p>通常、成人にはウステキヌマブ(遺伝子組換え)として、導入療法の初回に、以下に示す用量を単回点滴静注する。</p> <p>患者体重/投与量</p> <p>55 kg 以下/260 mg</p> <p>55 kg を超える 85 kg 以下/390 mg</p> <p>85 kg を超える/520 mg</p> <p>ステラーラ皮下注 45 mg シリンジ :</p> <p>尋常性乾癬及び関節症性乾癬</p> <p>通常、成人にはウステキヌマブ(遺伝子組換え)として1回 45 mg を皮下投与する。初回投与及びその4週後に投与し、以降12週間隔で投与する。ただし、効果不十分な場合には1回 90 mg を投与することができる。</p> <p><u>クローン病/潰瘍性大腸炎</u></p> <p>ウステキヌマブ(遺伝子組換え)の点滴静注製剤を投与8週後に、通常、成人にはウステキヌマブ(遺伝子組換え)として90 mg を皮下投与し、以降は12週間隔で90 mg を皮下投与する。なお、効果が減弱した場合には、投与間隔を8週間に短縮できる。</p> <p style="text-align: right;">(下線部追加)</p>	
申請区分	1- (4) 新効能医薬品	
再審査期間	4年	
審査等経過	・承認申請(平成31年3月28日)	
承認条件	RMP	

概 要

【対象疾患】

- ・潰瘍性大腸炎（以下、「UC」）は、主として粘膜を侵し、びらんや潰瘍を形成する原因不明の大腸の非特異性炎症であり、本邦において指定難病（平成 26 年 10 月 21 日付け 厚生労働省告示第 393 号 告示番号 97）に指定されている。臨床症状として、血便、下痢等を呈する活動期と、それらの症状及び病変が消失又は軽快している寛解期を長期にわたり繰り返す。
- ・UC の薬物治療は、主として重症度と罹患範囲に応じて薬剤が選択されている。活動期には、軽症から中等症にはメサラジン製剤が広く用いられ、効果がみられない場合や重症にはステロイド等が、ステロイド抵抗例ではタクロリムスや抗 TNF α 抗体等が使用される。また、寛解期には主にメサラジン製剤が用いられるが、ステロイド依存例ではアザチオプリン等の免疫調節薬が、抗 TNF α 抗体で活動性が改善した場合には引き続き抗 TNF α 抗体が用いられる（『潰瘍性大腸炎・クローン病 診断基準・治療指針 平成 30 年度改訂版（平成 31 年 3 月 31 日）』厚生労働科学研究費補助金難治性疾患等政策研究事業「難治性炎症性腸管障害に関する調査研究」（鈴木班）平成 30 年度分担研究報告書別冊）。
- ・本邦における UC 患者は 166,060 人程度であり（医療受給者証及び登録者証交付件数（2013 年度末）、本薬の投与対象を踏まえると、本薬が適応となる患者数は更に限定されると考える。

【開発の経緯】

- ・申請者は、本薬は既存治療で効果不十分な中等症から重症の UC に対する治療薬として、既存の UC 治療薬とは異なる作用機序を有しており、新たな治療選択肢になり得るとして開発に至った。

【作用機序・特徴】

- ・本薬は、ヒトインターロイキン（以下、「IL」）-12/23 p40 に対するヒト免疫グロブリン G1k モノクローナル抗体である。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

抗ヒト TNF α モノクローナル抗体（作用機序は異なるが同一の効能・効果を有する製剤）

- ・レミケード（インフリキシマブ（遺伝子組換え））
- ・ヒュミラ（アダリムマブ（遺伝子組換え））
- ・シンボニー（ゴリムマブ（遺伝子組換え））

抗ヒト $\alpha 4\beta 7$ インテグリンモノクローナル抗体（作用機序は異なるが同一の効能・効果を有する製剤）

- ・エンタイビオ（ベドリズマブ（遺伝子組換え））

JAK 阻害剤（作用機序は異なるが同一の効能・効果を有する製剤）

- ・ゼルヤンツ（トファシチニブクエン酸塩）

【海外の開発状況】

- ・本薬は 2019 年 10 月現在、欧米を含む 90 カ国以上で承認されており、UC の適応については、2019 年 9 月に欧州、2019 年 10 月に米国で承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
アストラゼネカ (株)	ロケルマ懸濁用散分包 5g、同懸濁用散分包 10g	新規
一般名	ジルコニウムシクロケイ酸ナトリウム水和物	
効能・効果	高カリウム血症	
用法・用量	<p>通常、成人には、開始用量として1回10gを水で懸濁して1日3回、2日間経口投与する。なお、血清カリウム値や患者の状態に応じて、最長3日間まで経口投与できる。以後は、1回5gを水で懸濁して1日1回経口投与する。なお、血清カリウム値や患者の状態に応じて適宜増減するが、最高用量は1日1回15gまでとする。</p> <p>血液透析施行中の場合には、通常、1回5gを水で懸濁して非透析日に1日1回経口投与する。なお、最大透析間隔後の透析前の血清カリウム値や患者の状態に応じて適宜増減するが、最高用量は1日1回15gまでとする。</p>	
申請区分	医療用医薬品 (1) 新有効成分含有医薬品	
再審査期間	8年	
審査等経過	・承認申請 (令和元年5月31日)	
承認条件	RMP、市販直後調査	

概 要

【対象疾患】

- 高カリウム血症は、尿中カリウム排泄量の低下、カリウムの細胞外への移動、カリウムの過剰摂取等により、血清カリウム値が上昇した状態であり、慢性腎不全患者、心不全患者、糖尿病患者、レニン-アンジオテンシン-アルドステロン系阻害薬等の血清カリウム値を上昇させる薬剤を内服中の患者等で認められることが多い。重度の高カリウム血症では、致命的な不整脈に至ることがある。
- 高カリウム血症に対する薬物治療として、利尿薬やカリウム吸着薬が使用されている。しかしながら、利尿薬は、低マグネシウム血症、高尿酸血症、体液量減少等が生じる場合がある。また、カリウム吸着薬である樹脂製剤は、カリウムイオン以外の電解質にも影響する可能性があり、低マグネシウム血症、低カルシウム血症等の発現が報告されている。

【開発の経緯】

- 本薬は経口投与後、消化管において1価の陽イオン (カリウムイオン、アンモニウムイオン) を選択的に取り込むことから、血清カリウム値を選択的に低下させることが期待できることから、開発に至った。

【作用機序・特徴】

- 本薬は、微細孔構造を有する非ポリマー無機結晶の陽イオン交換化合物である。
- 本薬は経口投与後、消化管のうち主に腸管内でカリウムイオンを捕捉することで体外に排出し、血清カリウム値を低下させる。

【類薬】〔製剤名 (一般名)〕

カリウム吸着薬 (同様の効能・効果を有する)

- カリメート散、同ドライシロップ 92.59%、同経口液 20% (ポリスチレンスルホン酸カルシウム)
- アーガメイト 20%ゼリー25 g、同 89.29%顆粒 5.6 g (ポリスチレンスルホン酸カルシウム)
- ケイキサレート散、同ドライシロップ 76% (ポリスチレンスルホン酸ナトリウム)

【海外の開発状況】

- 欧米を含む 30 カ国以上で承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
日本イーライリリー (株)	①ルムジェブ注カート、②同注ミリオペン、③同注ミリオペンHD、④同注 100 単位/mL	新規
一般名	インスリン リスプロ (遺伝子組換え)	
効能・効果	①～④インスリン療法が適応となる糖尿病	
用法・用量	<p>①②③</p> <p>通常、成人では1回2～20単位を毎食事開始時に皮下注射するが、必要な場合は食事開始後の投与とすることもできる。ときに投与回数を増やしたり、持続型インスリン製剤と併用したりすることがある。</p> <p>投与量は、患者の症状及び検査所見に応じて適宜増減するが、持続型インスリン製剤の投与量を含めた維持量としては通常1日4～100単位である。</p> <p>④</p> <p>通常、成人では1回2～20単位を毎食事開始時に皮下注射するが、必要な場合は食事開始後の投与とすることもできる。ときに投与回数を増やしたり、持続型インスリン製剤と併用したりすることがある。</p> <p>投与量は、患者の症状及び検査所見に応じて適宜増減するが、持続型インスリン製剤の投与量を含めた維持量としては通常1日4～100単位である。</p> <p>必要に応じ持続皮下注入ポンプを用いて投与する。</p>	
申請区分	1- (5) 新剤形医薬品	
再審査期間	4年	
審査等経過	・承認申請 (平成31年3月29日)	
承認条件	RMP、市販直後調査	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・インスリン療法が適応となる糖尿病。 ・糖尿病が強く疑われる者 (糖尿病有病者数) は約 1000 万人 (平成 28 年の国民健康・栄養調査 (2017 年報告))
<p>【開発の経緯】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ルムジェブ注 (以下、「本剤」) は、Bolus インスリン製剤として開発され、超速効型インスリンアナログであるインスリン リスプロ (遺伝子組換え) (以下、「本薬」) を有効成分とし、同一の有効性分を含有するヒューマログと比較して血糖降下作用がより速く発現するように処方の変更された製剤である。 ・インスリン治療中においては、食事量・食欲が定まらない場合や、食事開始前に食事量の予測が困難な場合、食前の血糖値が低めでインスリン投与による低血糖が懸念される場合等では、Bolus インスリンの食後投与が適している状況も存在する。そのため、既承認の Bolus インスリン製剤は食前投与で良好な血糖コントロールが得られるにもかかわらず、敢えて食事を開始してから注射を行うこともある状況であり、医療現場では食事開始後であっても投与可能な Bolus インスリン製剤が求められている。 ・今般、申請者は、試験等により本剤の食事開始前及び食後投与の有効性及び安全性が確認できた

として、製造販売承認申請を行った。

【作用機序・特徴】

- ・本剤は、添加剤としてトレプロスチニルナトリウム及びクエン酸ナトリウムを含むことで投与後初期の本薬の吸収が速くなり、インスリン作用の発現がヒューマログより速くなることで血糖降下作用がより速く発現すると考えられる。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

超速効型インスリンアナログ製剤

- ・フィアスプ注フレックスタッチ、同注ペンフィル、同注 100 単位/mL（インスリン アスパルト（遺伝子組換え））
- ・ヒューマログ注カート、同注ミリオペン、同注ミリオペン HD、同注 100 単位/mL（インスリン リスプロ（遺伝子組換え））
- ・ノボラピッド注フレックスタッチ、同注フレックスペン、同注ペンフィル、同注 100 単位/mL（インスリン アスパルト（遺伝子組換え））
- ・アピドラ注ソロスター、同注カート、同注 100 単位/mL（インスリン グルリジン（遺伝子組換え））

【海外の開発状況】

- ・令和元年 12 月現在、本剤は海外のいずれの国・地域においても承認されていない。

申請者	販売名	新規／一部変更
サノフィ株式会社	ソリクア配合注ソロスター	新規
一般名	インスリン グラルギン（遺伝子組換え）/リキシセナチド	
効能・効果	インスリン療法が適応となる2型糖尿病	
用法・用量	<p>通常、成人には、5～20 ドーズ（インスリン グラルギン/リキシセナチドとして5～20 単位/5～20 μg）を1日1回朝食前に皮下注射する。ただし、1日1回5～10 ドーズから開始し、患者の状態に応じて増減するが、1日20 ドーズを超えないこと。</p> <p>なお、本剤の用量単位である1 ドーズには、インスリン グラルギン1 単位及びリキシセナチド1 μg が含まれる。</p>	
申請区分	1- (2) 新医療用配合剤	
再審査期間	4年	
審査等経過	・承認申請（平成31年4月26日）	
承認条件	RMP、市販直後調査	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・2型糖尿病 ・糖尿病が強く疑われる者（糖尿病有病者数）は約1000万人（平成28年の国民健康・栄養調査（2017年報告））。
<p>【開発の経緯】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ソリクア配合注ソロスター（以下、「本剤」）は、インスリン グラルギン（遺伝子組換え）（以下、「IGlar」）とリキシセナチド（以下、「Lixi」）が配合された注射剤である。 ・IGlar 製剤については、本剤とIGlar 濃度が同じ100 単位/mL を含有する製剤が、2003年10月に「インスリン療法が適応となる糖尿病」の効能・効果にて承認されている（販売名：ランタス注カート等）。Lixi 製剤（販売名：リクスミア皮下注300 μg）については、2013年6月に「2型糖尿病 ただし、下記のいずれかの治療で十分な効果が得られない場合に限る。①食事療法、運動療法に加えてスルホニルウレア剤（ビグアナイド系薬剤との併用を含む）を使用 ②食事療法、運動療法に加えて持効型溶解インスリンまたは中間型インスリン製剤（スルホニルウレア剤との併用を含む）を使用」の効能・効果にて承認され、その後、2016年12月に「2型糖尿病」の効能・効果にて承認されている。 ・今般、申請者は、試験等により本剤の有効性及び安全性が確認されたとして医薬品製造販売承認申請を行った。
<p>【作用機序・特徴】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・本剤は、持効型インスリンアナログであるインスリン グラルギン（遺伝子組換え）とGLP-1 受容体作動薬であるリキシセナチドが固定比率（IGlar 1 単位/Lixi 1 μg）で配合された注射剤であり、IGlar 5～20 単位/Lixi 5～20 μg の範囲で患者の状態に応じた用量調節が可能である。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

- ・ゾルトファイ配合注 フレックスタッチ（インスリン デグルデグ（遺伝子組換え）/リラグルチド（遺伝子組換え））

【海外の開発状況】

- ・本剤は海外では承認されていないが、本剤と IGlar/Lixi の配合比が異なる製剤（米国では IGlar 3 単位/Lixi 1 μ g、欧州では IGlar 3 単位/Lixi 1 μ g 及び IGlar 2 単位/Lixi 1 μ g）は、欧米を含む 60 以上の国・地域で承認されている（令和元年 12 月現在）。

申請者	販売名	新規／一部変更
ノーベルファーマ(株)	メラトベル顆粒小児用 0.2%	新規
一般名	メラトニン	
効能・効果	小児期の神経発達症に伴う入眠困難の改善	
用法・用量	通常、小児にはメラトニンとして1日1回1mgを就寝前に経口投与する。なお、症状により適宜増減するが、1日1回4mgを超えないこと。	
申請区分	1- (1) 新有効成分含有医薬品	
再審査期間	8年	
審査等経過	・承認申請(平成31年4月25日)	
承認条件	RMP、市販直後調査	

概 要

【対象疾患】

- 神経発達症は、注意欠如・多動症や自閉スペクトラム症を含み、小児における発達期早期、とりわけ小中学校入学前に発症又は診断され、発達の障害を特徴とする疾患である。神経発達症には睡眠障害の合併がよく認められるが、神経発達症に伴う睡眠障害は、神経発達症の特性(感覚過敏、多動、感情制御困難等)によるもの、二次障害に関連したもの、神経発達症と睡眠障害の併発、睡眠覚醒調節機構に神経発達症特有の異常が介在するもの、神経発達症の薬物治療によるもの等、様々な原因が考えられている。
- 成人も含めた神経発達症の患者数は、19.5万人(厚生労働省の「患者調査」(2014年10月実施、2015年12月公表)とされている。また、2017年版障害者白書では、在宅の知的障害者62.2万人のうち、18歳未満は15.2万人(2017年版障害者白書)とされている。なお、神経発達症のうち、自閉スペクトラム症で睡眠障害を有する割合は50~80%、注意欠如・多動症で睡眠の問題を有する割合は25~50%と報告されている。

【開発の経緯】

- 今般、臨床試験成績により本剤の有効性及び安全性が確認されたとして製造販売承認申請を行われた。
- なお、日本小児神経学会より厚生労働大臣宛に、神経発達症に伴う睡眠障害に対するメラトニンの早期承認についての要望書が提出されている。

【作用機序・特徴】

- 本剤は、トリプトファンからセロトニンを経て体内で合成され、主として松果体から分泌される生体内ホルモンであるメラトニンを有効成分とする顆粒剤である。
- メラトニンは、メラトニン₁受容体及びメラトニン₂受容体を介して、睡眠・覚醒を含む概日リズムの維持・調整及び直接的な催眠作用に関与すると考えられている。
- 神経発達症では血中メラトニン濃度の低下が報告されており、神経発達症患者でみられる睡眠障害の原因のひとつに、夜間における松果体からのメラトニン分泌の低下が関与していると考えられている。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

メラトニン受容体アゴニスト

ロゼレム（ラメルテオン）

【海外の開発状況】

- 海外では、2019年11月時点で本剤の開発は行われていない。
- 欧州においては2018年にメラトニン含有製剤が「自閉スペクトラム症及びスミス・マグニス症候群に伴う不眠症」を効能・効果として承認されている。
- 米国では小児期の神経発達症に伴う入眠困難の改善に係る効能・効果で承認されている医薬品は存在しないが、欧米ではメラトニンを含有するサプリメントが流通している。

申請者	販売名	新規／一部変更
大日本住友製薬(株)	ラツーダ錠 20 mg、同錠 40 mg、同錠 60 mg、同錠 80 mg	新規
一般名	ルラシドン塩酸塩	
効能・効果	○統合失調症 ○双極性障害におけるうつ症状の改善	
用法・用量	<p><統合失調症> 通常、成人にはルラシドン塩酸塩として 40 mg を 1 日 1 回食後経口投与する。 なお、年齢、症状により適宜増減するが、1 日量は 80 mg を超えないこと。</p> <p><双極性障害におけるうつ症状の改善> 通常、成人にはルラシドン塩酸塩として 20 mg～60mg を 1 日 1 回食後経口投与する。 なお、開始用量は 20 mg、増量幅は 1 日量として 20 mg とし、年齢、症状により適宜増減するが、1 日量は 60 mg を超えないこと。</p>	
申請区分	1- (1) 新有効成分含有医薬品	
再審査期間	8 年	
審査等経過	・承認申請（令和元年 7 月 31 日）	
承認条件	RMP、市販直後調査	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> 統合失調症は、思考・行動・感情などを統合する能力が長期にわたって低下した結果、陽性症状（幻覚、妄想、思考障害等）及び陰性症状（感情的引きこもり、自閉、意欲減退等）に加えて、認知機能障害を中核症状とする精神疾患である。 双極性障害は気分・感情・意欲が過度に変化する気分障害の一つで、異常な高揚感、開放感及び苛立ちを中核症状とする「躁病エピソード」又は「軽躁病エピソード」と、抑うつ気分及び興味・喜びの喪失を中核症状とする「大うつ病エピソード」を繰り返す。双極性障害は 2 つに大別され、躁病及び大うつ病エピソードを反復する双極Ⅰ型障害と、軽躁病及び大うつ病エピソードを反復する双極Ⅱ型障害の 2 つがある。 統合失調症及び双極性障害の患者数：それぞれ 77.3 及び 22 万人（厚生労働省 2014 年患者調査） 統合失調症に対する治療として、国内外の統合失調症の診療ガイドラインにおいて、非定型抗精神病薬が第一選択薬に位置付けられている。統合失調症を効能・効果とする非定型抗精神病薬として、リスペリドン、パリペリドン、パリペリドンパルミチン酸エステル、オランザピン、アリピプラゾール及びその水和物、クエチアピソフマル酸塩、アセナピンマレイン酸塩、ブレクスピプラゾール等が承認されている。 双極性障害のうつ症状に対する治療として、日本うつ病学会の診療ガイドラインでは、非定型抗精神病薬であるクエチアピン及びオランザピン並びに気分安定薬であるリチウム及びラモトリギンが第一推奨薬とされており、「双極性障害におけるうつ症状の改善」を効能・効果とする医薬品として、オランザピン及びクエチアピソフマル酸塩（徐放錠）が承認されている。

【開発の経緯】

- ・本薬は、ドパミン及びセロトニン受容体アンタゴニスト作用等を有する非定型抗精神病薬である。
- ・今般申請者は、本剤の統合失調症及び双極性障害におけるうつ症状に対する有効性及び安全性が確認されたとして製造販売承認申請を行った。

【作用機序・特徴】

- ・本薬は、ドパミン D₂ 受容体アンタゴニスト作用、セロトニン 5-HT_{2A} 受容体及び 5-HT₇ 受容体のアンタゴニスト作用並びにセロトニン 5-HT_{1A} 受容体部分アゴニスト作用を有し、統合失調症の中核症状及び抑うつ・不安症状及び双極性障害うつに対する改善作用を示すと考えられている。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

非定型抗精神病薬

<統合失調症の効能を有するもの>

リスパダール錠 1 mg 他（リスペリドン）、インヴェガ錠 3 mg 他（パリペリドン）、エビリファイ錠 1 mg 他（アリピプラゾール）、セロクエル錠 25 mg 他（クエチアピンプマル酸塩）、シクレスト舌下錠 5 mg 他（アセナピンマレイン酸塩）、レキサルティ錠 1 mg 他（プレクスピプラゾール）、ロナセン錠 2 mg 他（プロナンセリン）、ルーラン錠 4 mg 他（ペロスピロン塩酸塩）等

<統合失調症及び双極性障害におけるうつ症状に関連する効能を有するもの>

ジプレキサ錠 2.5 mg 他（オランザピン）、ビプレッソ徐放錠 50 mg 他（クエチアピンプマル酸塩）

【海外の開発状況】

- ・海外では、2010年10月に米国で成人の統合失調症に係る効能・効果で承認されて以降、2019年10月現在、統合失調症に係る効能・効果では欧米を含む45の国又は地域で承認されている。また、双極I型障害におけるうつ症状に係る効能・効果では米国を含む6つの国又は地域で承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
日本新薬(株)	ビルテプソ点滴静注 250 mg	新規
一般名	ビルトラルセン	
効能・効果	エクソン 53 スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー	
用法・用量	通常、ビルトラルセンとして 80 mg/kg を週 1 回、1 時間かけて静脈内投与する。	
申請区分	1- (1) 新有効成分含有医薬品	
再審査期間	10 年	
審査等経過	・承認申請（令和元年 9 月 26 日）	
承認条件	<ul style="list-style-type: none"> ・RMP、市販直後調査、全例調査 ・エクソン 53 スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されている DMD 患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験成績の提出。 ・レジストリを用いた調査 	
その他	<ul style="list-style-type: none"> ・希少疾病用医薬品（令和元年 8 月 20 日付薬生薬審発 0820 第 3 号） ・先駆け審査指定医薬品（第 1 回指定品目）（指定日：平成 27 年 10 月 27 日） ・条件付き早期承認制度適用医薬品（令和元年 10 月 29 日付け薬生薬審発 1029 第 3 号） 	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下、「DMD」）は、X 染色体上に存在するジストロフィン遺伝子の変異により遺伝子が欠失又は重複することにより、機能的なジストロフィンタンパクが欠損することで発症する X 連鎖性劣性遺伝疾患である。 ・DMD は、指定難病「筋ジストロフィー」のうちの病型の一つであり、呼吸筋及び心筋の障害、さらには重篤な運動機能障害、嚥下障害、痰の詰まり、消化管障害等が併発する難治性かつ進行性の筋疾患であり、10 歳頃に歩行不能となり、平均寿命は約 30 歳とされている。
<p>【開発の経緯】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・本薬は、モルフォリノ骨格を有する合成オリゴヌクレオチドである。
<p>【作用機序・特徴】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・本薬がジストロフィン遺伝子の mRNA 前駆体のエクソン 53 部分に結合することで、エクソン 53 をスキップさせ、正常より短鎖ではあるが、機能するジストロフィンタンパクの発現を増加させる。
<p>【類薬】〔製剤名（一般名）〕</p> <ul style="list-style-type: none"> ・同一の作用機序を有する薬剤は承認されていない。 ・DMD を効能・効果としてプレドニン錠 5 mg（プレドニゾロン）が承認されている。

【海外の開発状況】

- ・本剤が承認されている国又は地域はない。

申請者	販売名	新規／一部変更
シオノギファーマ(株)	オキシコンチン TR 錠 5 mg、同 TR 錠 10 mg、同 TR 錠 20 mg、同 TR 錠 40 mg	一部変更
一般名	オキシコドン塩酸塩水和物	
効能・効果	中等度から高度の疼痛を伴う各種癌における鎮痛 非オピオイド鎮痛薬又は他のオピオイド鎮痛薬で治療困難な中等度から高度の慢性疼痛における鎮痛 (下線部追加)	
用法・用量	<u>(癌性疼痛に用いる場合)</u> 通常、成人にはオキシコドン塩酸塩(無水物)として1日10~80mgを2回に分割経口投与する。なお、症状に応じて適宜増減する。 <u>(慢性疼痛に用いる場合)</u> 通常、成人にはオキシコドン塩酸塩(無水物)として1日10~60mgを2回に分割経口投与する。なお、症状に応じて適宜増減する。 (下線部変更)	
申請区分	1-(4) 新効能医薬品、1-(6) 新用量医薬品	
再審査期間	4年	
審査等経過	・承認申請(令和元年5月16日)	
承認条件	<ul style="list-style-type: none"> ・RMP、市販直後調査 ・慢性疼痛の診断、治療に精通した医師によってのみ処方・使用されるとともに、本剤のリスク等についても十分に管理・説明できる医師・医療機関・管理薬剤師のいる薬局のもとでのみ用いられ、それら薬局においては調剤前に当該医師・医療機関を確認した上で調剤がなされるよう、製造販売にあたって必要な措置を講じること。 	
その他	<ul style="list-style-type: none"> ・未承認薬・適応外薬検討会議開発要請品目 ・麻薬 	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・侵害受容性疼痛である慢性腰痛症や変形性関節炎、及び神経障害性疼痛である糖尿病性神経障害性疼痛や帯状疱疹後神経痛を含む慢性疼痛が対象となる。 ・慢性疼痛の薬物治療としては、非ステロイド性抗炎症薬やアセトアミノフェン等の非オピオイド鎮痛薬、トラマドール塩酸塩等の弱オピオイド鎮痛薬に加え、フェンタニル等の強オピオイド鎮痛薬が用いられている。
<p>【開発の経緯】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「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、2010年12月に厚生労働省より塩野義製薬株式会社に対して、中等度から高度の慢性疼痛における鎮痛に対するオキシコドン塩酸塩水和物(以下、「本薬」)経口剤の開発が要請された。 ・塩野義製薬株式会社は、オキシコンチン錠(以下、「CR錠」)又は本剤を用いた慢性疼痛患者を対象とした臨床試験を開始した。

・2019年4月に塩野義製薬株式会社より本剤を承継した申請者は、今般、「中等度から高度の慢性疼痛における鎮痛」に関する本剤の有効性及び安全性が確認されたとして、本剤の製造販売承認事項一部変更承認申請を行った。

【作用機序・特徴】

・脳及び脊髄の μ オピオイド受容体に作用することで鎮痛効果を示すと考えられる。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

強オピオイド鎮痛薬

ワンデュロパッチ、デュロテップMTパッチ（以上、フェンタニル）、フェントステープ（フェンタニルクエン酸塩）、プレペノン（モルヒネ塩酸塩）

【海外の開発状況】

・2018年12月現在、オキシコドン塩酸塩を有効成分として含有する徐放錠は、中等度から高度の疼痛に関する効能・効果で米国、欧州等60以上の国又は地域で承認されている。また、有効成分の抽出等のための製剤の改変を防止することを目的に開発された徐放錠である本剤は、中等度から高度の疼痛に関する効能・効果で米国等20以上の国又は地域で承認されている。

申請者	販売名	新規/一部変更
千寿製薬(株)	アイラミド配合懸濁性点眼液	新規
一般名	ブリモニジン酒石酸塩/プリンゾラミド	
効能・効果	次の疾患で、他の緑内障治療薬が効果不十分な場合：緑内障、高眼圧症	
用法・用量	1回1滴、1日2回点眼する。	
申請区分	1- (2) 新医療用配合剤	
再審査期間	6年	
審査等経過	・承認申請(令和元年5月24日)	
承認条件	RMP	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 緑内障は、視神経と視野に特徴的変化を有し、通常、眼圧を十分に下降させることにより視神経障害を改善又は抑制しうる眼の機能的構造的異常を特徴とする疾患。高眼圧症は、眼圧等房水動態の点では緑内障と共通する特徴を有しながら、視神経及び視野の特徴的変化を欠く病型。 ・ 原発開放隅角緑内障の治療は薬物治療が第一選択であり、プロスタグランジン関連薬及びβ遮断薬が第一選択薬として、α₂受容体作動薬、炭酸脱水酵素阻害薬等が第二選択薬として使用される。 ・ 単剤療法で有効性が十分でない場合には多剤併用療法が行われ、その際にはアドヒアランスの向上のために配合点眼剤の使用が考慮される。 ・ 2000年から2001年にかけて実施された緑内障疫学調査である多治見スタディにおいて、40歳以上の日本人における緑内障の有病率は5.0%、高眼圧症は0.8%であった。
<p>【開発の経緯】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 本邦において、ブリモニジン酒石酸塩のみを有効成分とする単剤の点眼剤(アイファガン点眼液0.1%)は、2012年1月に「次の疾患で、他の緑内障治療薬が効果不十分又は使用できない場合：緑内障、高眼圧症」を効能・効果として承認されている。また、プリンゾラミドのみを有効成分とする単剤の点眼剤(エイゾプト懸濁性点眼剤1%)も2002年10月に同様の効能・効果で承認されている。 ・ 申請者は、緑内障及び高眼圧症に対する本剤の臨床試験を実施した。
<p>【作用機序・特徴】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ ブリモニジン酒石酸塩：アドレナリンα₂受容体作動薬 ・ プリンゾラミド：炭酸脱水酵素阻害薬 ・ 第二選択薬同士を配合する初めての配合点眼剤
<p>【類薬】〔製剤名(一般名)〕</p> <p>ブリモニジン酒石酸塩及びプリンゾラミドと同様の第二選択薬を含む配合点眼剤</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ アイベータ配合点眼液(ブリモニジン酒石酸塩/チモロールマレイン酸塩) ・ アゾルガ配合懸濁性点眼液(プリンゾラミド/チモロールマレイン酸塩)

- ・ コソプト・コソプトミニ配合点眼液（ドルゾラミド塩酸塩/チモロールマレイン酸塩）

【海外の開発状況】

- ・ 本剤とブリモニジン酒石酸塩の含有量が異なる、ブリモニジン酒石酸塩（ブリモニジン酒石酸塩として 0.2%含有）及びプリンゾラミド（プリンゾラミドとして 1%含有）の配合点眼剤が 2013 年 4 月に米国で、2014 年 7 月に欧州で承認されている。

申請者	販売名	新規/一部変更
バイエル薬品 (株)	アイリーア硝子体内注射液 40 mg/mL、同硝子体内注射用 キット 40 mg/mL	一部変更
一般名	アフリベルセプト (遺伝子組換え)	
効能・効果	<p>中心窩下脈絡膜新生血管を伴う加齢黄斑変性 網膜静脈閉塞症に伴う黄斑浮腫 病的近視における脈絡膜新生血管 糖尿病黄斑浮腫 <u>血管新生緑内障</u></p> <p style="text-align: right;">(下線部追加)</p>	
用法・用量	<p>中心窩下脈絡膜新生血管を伴う加齢黄斑変性 アフリベルセプト (遺伝子組換え) として 2 mg (0.05 mL) を 1 カ月ごとに 1 回、連続 3 回 (導入期) 硝子体内投与する。その後の維持期においては、通常、2 カ月ごとに 1 回、硝子体内投与する。なお、症状により投与間隔を適宜調節するが、1 カ月以上あけること。</p> <p>網膜静脈閉塞症に伴う黄斑浮腫、病的近視における脈絡膜新生血管 アフリベルセプト (遺伝子組換え) として 1 回あたり 2 mg (0.05 mL) を硝子体内投与する。投与間隔は、1 カ月以上あけること。</p> <p>糖尿病黄斑浮腫 アフリベルセプト (遺伝子組換え) として 2 mg (0.05 mL) を 1 カ月ごとに 1 回、連続 5 回硝子体内投与する。その後は、通常、2 カ月ごとに 1 回、硝子体内投与する。なお、症状により投与間隔を適宜調節するが、1 カ月以上あけること。</p> <p><u>血管新生緑内障</u> <u>アフリベルセプト (遺伝子組換え) として 1 回 2 mg (0.05 mL) を硝子体内投与する。なお、必要な場合は再投与できるが、1 カ月以上の間隔をあけること。</u></p> <p style="text-align: right;">(下線部追加)</p>	
申請区分	1- (4) 新効能医薬品、1- (6) 新用量医薬品	
再審査期間	10 年	
審査等経過	・承認申請 (令和元年 7 月 26 日)	
承認条件	・RMP	
その他	・希少疾病用医薬品 (令和元年 6 月 27 日付け薬生薬審発 0627 第 1 号)	

概 要

【対象疾患】

・血管新生緑内障（以下、「NVG」）は、網膜虚血を生じる後眼部疾患（増殖糖尿病網膜症、網膜中心静脈閉塞症、眼虚血症候群等）を主な原因疾患とし、前眼部（虹彩及び隅角）に新生血管が形成され、房水の排出が阻害されることにより眼圧が上昇する続発緑内障であり、高眼圧の状態が持続することにより視神経障害が進行し、失明に至る場合もある。

【開発の経緯】

・今般、NVG に対する有効性及び安全性が確認されたとして、本剤の製造販売承認事項一部変更承認申請が行われた。

【作用機序・特徴】

・アフリベルセプト（遺伝子組換え）（以下、「本薬」）は、ヒト免疫グロブリン G1 の Fc ドメインにヒト血管内皮細胞増殖因子（以下、「VEGF」）受容体の細胞外ドメインを結合した組換え糖タンパク質である。

・NVG における前眼部の新生血管は、主に虚血状態の網膜から産生される VEGF 等により形成されるが、本薬は直接 VEGF に結合し、新生血管の形成を抑制すると考えられており、速やかな新生血管の退縮及びそれに伴う眼圧下降が期待されている。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

全身性の眼圧下降薬

ダイアモックス（アセタゾラミド、アセタゾラミドナトリウム）、マンニトール（D-マンニトール）

なお、本剤と同様の作用機序を有する VEGF 阻害剤（ラニビズマブ）は NVG に対して承認されていない。

【海外の開発状況】

・現在、海外における本剤の NVG 適応に対する開発は行われていない。

申請者	販売名	新規／一部変更
武田薬品工業 (株)	キャブピリン配合錠	新規
一般名	アスピリン/ボノプラザンフマル酸塩	
効能・効果	下記疾患又は術後における血栓・塞栓形成の抑制（胃潰瘍又は十二指腸潰瘍の既往がある患者に限る） <ul style="list-style-type: none"> ・ 狭心症（慢性安定狭心症、不安定狭心症）、心筋梗塞、虚血性脳血管障害（一過性脳虚血発作（TIA）、脳梗塞） ・ 冠動脈バイパス術（CABG）あるいは経皮経管冠動脈形成術（PTCA）施行後 	
用法・用量	通常、成人には1日1回1錠（アスピリン/ボノプラザンとして100mg/10mg）を経口投与する。	
申請区分	1-（2）新医療用配合剤	
再審査期間	ボノプラザンフマル酸塩の「低用量アスピリン投与時における胃潰瘍又は十二指腸潰瘍の再発抑制」の効能・効果に係る再審査期間の残余期間（令和4年12月25日まで）	
審査等経過	・ 承認申請（令和元年6月13日）	
承認条件	なし	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 虚血性心疾患及び虚血性脳血管障害等の既往歴があり、血栓・塞栓形成の抑制を目的とした低用量アスピリンの長期継続投与が必要で、胃潰瘍又は十二指腸潰瘍の既往がある患者を対象とする。
<p>【開発の経緯】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 今般、各単剤との生物学的同等性試験の成績に基づき医薬品製造販売承認申請がなされた。
<p>【作用機序・特徴】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ アスピリンは、COX-1を阻害することにより抗血小板作用を示す。 ・ ボノプラザンフマル酸塩は、胃粘膜壁細胞のプロトンポンプを阻害することにより酸分泌を抑制し、抗潰瘍作用を示す。
<p>【類薬】〔製剤名（一般名）〕</p> <p>低用量アスピリンとPPIの配合剤</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ タケルダ配合錠（アスピリン/ランソプラゾール）
<p>【海外の開発状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 2019年12月現在、本剤はいずれの国又は地域でも承認されていない。

希少疾病用医薬品の概要

名 称	Vestronidase alfa
申 請 者	アミカス・セラピューティクス株式会社
予定される効能・効果	ムコ多糖症Ⅶ型
疾 病 の 概 要	ムコ多糖症Ⅶ型は、デルマタン硫酸、ヘパラン硫酸及びコンドロイチン硫酸の分解に関するライソゾーム酵素であるβ-グルクロニダーゼが欠損することにより引き起こされる、進行性で致死的な遺伝性ライソゾーム蓄積異常疾患である。主な症状として、粗大化顔貌、肺疾患、心血管系疾患、肝脾腫、関節硬直、低身長、知的障害、多発性骨異形成として知られる骨格疾患等を生じる。
<p>○希少疾病用医薬品の指定条件</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 我が国における対象患者数が5万人未満であること。もしくは、対象疾患が指定難病であること。 2. 医療上、特に必要性が高いこと。 3. 開発の可能性が高いこと。 	
対 象 患 者 数	<ul style="list-style-type: none"> ・ ムコ多糖症Ⅶ型は、指定難病の「ライソゾーム病」(指定難病19)に含まれる疾患である。 ・ 医療上の必要性の高い未承認薬・適用外薬検討会議における本剤の医療上の必要性の検討の際に、日本先天代謝異常学会によって調査された情報によると、国内で確認された患者数は4名である。 <p>以上より、5万人未満及び指定難病の要件を満たす。</p>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> ・ ムコ多糖症Ⅶ型に対する治療薬は本邦で承認されていない。 ・ 本剤は、遺伝子組換えヒトβ-グルクロニダーゼであり、本剤の投与(酵素補充療法)によって、罹患組織におけるデルマタン硫酸、ヘパラン硫酸、コンドロイチン硫酸の代謝を促進し、その蓄積を減少させることで、ムコ多糖症Ⅶ型患者の徴候及び症状の改善が期待される。 <p>以上より、医療上の必要性は高いと考えられる。</p>
開 発 の 可 能 性	<ul style="list-style-type: none"> ・ ムコ多糖症Ⅶ型患者を対象とした試験が実施され、当該結果に基づき米国で承認されている。 ・ 本邦においては、日本人ムコ多糖症Ⅶ型患者を対象とした本剤の医師主導試験が実施中である。 <p>以上より、開発の可能性は高いと考えられる。</p>

希少疾病用医薬品の概要

名 称	イデュルスルファーゼ ベータ（遺伝子組換え）脳室内投与用製剤
申 請 者	クリニジェン株式会社
予定される効能・効果	ムコ多糖症Ⅱ型
疾 病 の 概 要	ムコ多糖症Ⅱ型は、イズロン酸-2-スルファターゼの欠損に起因するX連鎖劣性遺伝病である。この酵素が欠損すると、デルマタン硫酸とヘパラン硫酸が細胞内に蓄積し、臨床所見として、精神運動発達の遅滞、神経退行症状、心不全、閉塞性呼吸障害、関節可動域の制限、肝脾腫等の所見が認められ、加齢とともに重症化する。
<p>○希少疾病用医薬品の指定条件</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 我が国における対象患者数が5万人未満であること。もしくは、対象疾患が指定難病であること。 2. 医療上、特に必要性が高いこと。 3. 開発の可能性が高いこと。 	
対 象 患 者 数	<ul style="list-style-type: none"> ・ ムコ多糖症Ⅱ型は、指定難病の「ライソゾーム病」（指定難病19）に含まれる疾患である。 ・ 本邦におけるムコ多糖症Ⅱ型の推定有病率は10.8万人に1人と報告されている。 <p>以上より、5万人未満及び指定難病の要件を満たす。</p>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> ・ ムコ多糖症Ⅱ型の治療薬として、イデュルスルファーゼ（遺伝子組換え）が承認されているものの、当該酵素は血液脳関門を通過しないことから、精神運動発達の遅滞、神経退行症状等の中枢神経障害の改善は認められない。 ・ 本剤は、イデュルスルファーゼ ベータ（遺伝子組換え）の脳室内投与用製剤であり、脳室内におけるヘパラン硫酸濃度を低下させ、ムコ多糖症Ⅱ型患者における中枢神経症状を改善させることが期待される。 <p>以上より、医療上の必要性は高いと考えられる。</p>
開 発 の 可 能 性	<ul style="list-style-type: none"> ・ ムコ多糖症Ⅱ型患者を対象とした医師主導治験が実施され、有効性が期待できる結果が得られている。 <p>以上より、開発の可能性は高いと考えられる。</p>

希少疾病用医薬品の概要

名 称	オファツムマブ（遺伝子組換え）
申 請 者	ノバルティスファーマ株式会社
予定される効能・効果	多発性硬化症の再発予防及び身体的障害の進行抑制
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> • 多発性硬化症（以下、「MS」という。）は、中枢神経系の脱髄疾患で、自己免疫的な機序が病態に関与している。 • MS は臨床経過に基づき再発寛解型 MS、二次性進行型 MS 及び一次性進行型 MS の 3 病型に分類される。 • 病状の進行により、運動機能障害、認知機能障害等が認められる。
<p>○希少疾病用医薬品の指定条件</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 我が国における対象患者数が5万人未満であること。もしくは、対象疾患が指定難病であること。 2. 医療上、特に必要性が高いこと。 3. 開発の可能性が高いこと。 	
対 象 患 者 数	<ul style="list-style-type: none"> • 本邦では、MS は指定難病（告示番号 13）に認定されており、本邦での MS の有病率は、2004 年現在で 9,900 名と推定された。一方、MS の特定疾患医療受給者証所持者数は、2014 年度現在で約 19,400 名であった。 <p>以上より、5 万人未満の要件を満たす。</p>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> • 本邦では、MS の治療薬として、インターフェロンβ、グラチラマー酢酸塩、フィンゴリモド、ナタリズマブ、フマル酸ジメチルが承認されている。 • しかしながら、MS の病態は多様であり、第一選択薬であるインターフェロンβ 及びグラチラマー酢酸塩に比べ効果の高い薬剤を用いても MS の病勢（再発や MRI 病変）を制御しきれない MS 患者のほか、既承認薬に対する忍容性又は長期安全性に対する懸念から投与を継続できない MS 患者が存在する。 • 本剤は、本邦での既承認薬とは異なる作用機序を有することから、既承認薬では制御し切れない MS の病勢についても制御できる可能性がある。 <p>以上より、医療上の必要性は高いと考えられる。</p>
開 発 の 可 能 性	<ul style="list-style-type: none"> • オファツムマブ皮下投与による再発性 MS 患者の再発予防効果及び障害進行抑制効果を検証する試験が実施された。その結果、本剤の有効性が示唆された。また、予測できない安全性上の徴候は認められず、安全性プロファイルも良好であった。 • 本邦では、試験を実施中である。 <p>以上より、開発の可能性は高いと考えられる。</p>

令和2年2月28日医薬品第一部会報告品目（再審査結果）

番号	販売名	申請者名	一般名又は有効成分名	再審査に係る効能・効果	承認年月日	再審査期間	再審査結果	備考
1	① ヒュミラ皮下注40mgシリンジ0.8mL ② ヒュミラ皮下注20mgシリンジ0.4mL	アッヴィ合同会社	アダリムマブ（遺伝子組換え）	1. ① 関節リウマチ（関節の構造的損傷の防止を含む） 2. 既存治療で効果不十分な下記疾患 2a. ① 尋常性乾癬、関節症性乾癬 2b. ① 強直性脊椎炎 2c. ①② 多関節に活動性を有する若年性特発性関節炎 2d. ① 腸管型ベーチェット病 3. ① 中等症又は重症の活動期にあるクローン病の寛解導入及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る） 4. ① 中等症又は重症の潰瘍性大腸炎の治療（既存治療で効果不十分な場合に限る） （下線部）	平成20年4月16日 ① 平成22年1月20日 ①（効能・効果2aの追加） 平成22年10月27日 ①（効能・効果2bの追加） 平成22年10月27日 ①（効能・効果3の追加） 平成23年7月1日 ①②（創形追加、効能・効果2cの追加） 平成24年8月10日 ①（効能・効果1を関節リウマチ「関節の構造的損傷の防止を含む」に変更） 平成25年5月16日 ①（効能・効果2dの追加） 平成25年6月14日 ①（効能・効果4の追加） 平成28年6月20日 ①（効能・効果3の用法・用量を追加） （下線部）	1. 8年 2a～2c、3.1.の残余期間（各承認日～平成28年4月15日まで） 2d 4年 4. 2d.の残余期間（平成25年6月14日～平成29年5月15日まで） （下線部）	カテゴリー1	—
2	① ノバスタンHI 注10 mg/2 mL ② スロンノンHI 注10 mg/2 mL	① 田辺三菱製薬株式会社 ② 第一三共株式会社	アルガトロバン水和物	1. 下記疾患に伴う神経症候（運動麻痺）、日常生活動作（歩行、起立、坐位保持、食事）の改善 ・発症後48時間以内の脳血栓急性期（ラクネを除く） 2. 慢性動脈閉塞症（バージャー病・閉塞性動脈硬化症）における四肢潰瘍、安静時疼痛ならびに冷感の改善 3. 下記患者における血液体外循環時の濃縮血液の凝固防止（血液透析） ・先天性アンチトロンビンⅢ欠乏患者 ・アンチトロンビンⅢ低下を伴う患者（アンチトロンビンⅢが正常の70%以下に低下し、かつ、ヘパリンナトリウム、ヘパリンカルシウムの使用では体外循環路内の凝血（残血）が改善しないと判断されたもの） ・ヘパリン起因性血小板減少症（HIT）Ⅱ型患者 4. ヘパリン起因性血小板減少症（HIT）Ⅱ型（発症リスクのある場合を含む）における経皮的冠インターベンション施行時の血液の凝固防止 5. ヘパリン起因性血小板減少症（HIT）Ⅱ型における血栓症の発症抑制 （下線部）	1) 平成20年7月16日（5.の効能追加） 2) 平成23年5月20日（4.の効能追加及び3.の効能・効果の一部変更） （下線部）	1) 10年 2) 1)の残余期間（平成23年5月20日～平成30年7月15日） （下線部）	カテゴリー1	—
3	① アクトネル錠17.5 mg ② ベネット錠17.5 mg	① EA ファーマ株式会社 ② 武田薬品工業株式会社	リセドロン酸ナトリウム水和物	骨ページェット病	平成20年7月16日	10年	カテゴリー1	—

令和2年2月28日医薬品第一部会報告品目（再審査結果）

番号	販売名	申請者名	一般名又は有効成分名	再審査に係る効能・効果	承認年月日	再審査期間	再審査結果	備考
4	サイモグロブリン点滴静注用25 mg	サノフィ株式会社	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	1. 中等症以上の再生不良性貧血 2. 造血幹細胞移植の前治療 3. 造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病 4. 下記の臓器移植後の急性拒絶反応の治療 ① 腎移植 ② 肝移植、肺移植、脾移植、小腸移植 ③ 心移植 (下線部)	1～3. 平成20年7月16日 4. ① 平成23年4月22日 4. ②③ 平成26年9月19日 (下線部)	1～3. 10年（平成20年7月16日～平成30年7月15日） 4. ① 1～3. の残余期間（平成23年4月22日～平成30年7月15日） 4. ②③ 4年（平成26年9月19日～平成30年9月18日） (下線部)	カテゴリー1	—
5	サイモグロブリン点滴静注用25 mg	サノフィ株式会社	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン	1. 中等症以上の再生不良性貧血 2. 造血幹細胞移植の前治療 3. 造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病 4. 下記の臓器移植後の急性拒絶反応の治療 ① 腎移植 ② 肝移植、肺移植、脾移植、小腸移植 ③ 心移植 (下線部)	1～3. 平成20年7月16日 4. ① 平成23年4月22日（腎移植） 4. ②③ 平成26年9月19日（肝移植、肺移植、脾移植、小腸移植、心移植） (下線部)	1～3. 10年（平成20年7月16日～平成30年7月15日） 4. ① 1～3. の残余期間（平成23年4月22日～平成30年7月15日） 4. ②③ 4年（平成26年9月19日～平成30年9月18日） (下線部)	カテゴリー1	—
6	① レミッチカプセル2.5 μg ② レミッチOD錠2.5 μg	東レ株式会社	ナルプラフィン塩酸塩	次の患者におけるその症状の改善（既存治療で効果不十分な場合に限る） 透析患者、慢性肝疾患患者 (下線部)	①-1 平成21年1月21日（血液透析患者対象の承認） ①-2 平成27年5月20日（慢性肝疾患患者対象の効能追加） ② 平成29年3月30日（OD錠の剤形追加） ①② 平成29年9月22日（腹膜透析患者対象の効能追加。これに伴い血液透析患者を透析患者に変更） (下線部)	①-1 8年 ①-2 平成27年5月20日～平成30年12月25日 ② ①-2 の残余期間（平成29年3月30日～平成30年12月25日） (下線部)	カテゴリー1	—
7	シユアポスト錠0.25 mg シユアポスト錠0.5 mg	大日本住友製薬株式会社	レバグリニド	2 型糖尿病	1. 平成23年1月21日 2. 平成25年2月28日（ピグアナイド系薬剤及びチアゾリジン系薬剤との併用効能の追加） 3. 平成26年11月18日（2型糖尿病、効能・効果の変更）	1. 8年 2. 1. の残余期間（平成25年2月28日～平成31年1月20日） 3. 1. の残余期間（平成26年11月18日～平成31年1月20日）	カテゴリー1	—
8	アイノフロー吸入用800 ppm	Mallinckrodt Manufacturing LLC エア・ウォーター株式会社	一酸化窒素	新生児の肺高血圧を伴う低酸素性呼吸不全の改善	平成20年7月16日	10年	カテゴリー1	—

薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会における事前評価について

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議の報告書に基づき、下記医薬品についての事前評価。

記

1. 販 売 名： サンドスタチン皮下注用 50 μ g、同皮下注用 100 μ g
一 般 名： オクトレオチド酢酸塩
予定される適応： 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

※ 予定される適応は、公知申請が可能と判断されたものである。