

薬事・食品衛生審議会
医薬品部会
第2次第
薬医議
薬品事
衛生第
審議部
会第

1. 開 会

2. 審議事項

〔非公開案件〕

議題1 医薬品ジョイクル関節注30 mgの生物由来製品又は特定生物由来製品の指定の可否、製造販売承認の可否、再審査期間の指定及び毒薬又は劇薬の指定の可否について

議題2 医薬品レミトロ点滴静注用300 µgの生物由来製品又は特定生物由来製品の指定の可否、製造販売承認の可否、再審査期間の指定及び毒薬又は劇薬の指定の可否について

議題3 医薬品ヴァイトラックビカプセル25 mg、同カプセル100 mg及び同内用液20 mg/mLの生物由来製品又は特定生物由来製品の指定の可否、製造販売承認の可否、再審査期間の指定及び毒薬又は劇薬の指定の可否について

議題4 concizumab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

議題5 ペミガチニブ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

議題6 E7090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 医薬品ダウノマイシン静注用20 mgの製造販売承認事項一部変更承認について

議題2 医薬品バベンチオ点滴静注200 mgの製造販売承認事項一部変更承認について

議題3 医療用医薬品の承認条件について
(オプジーボ点滴静注20 mg、同点滴静注100 mg、同点滴静注120 mg、同点滴静注240 mg)

- 議題 4** 医療用医薬品の再審査結果について
(ランマーク皮下注120 mg)
(タリオン錠5 mg、同錠10 mg、同OD錠5 mg及び同OD錠
10 mg)
(シンボニー皮下注50 mgシリンジ及び同皮下注50 mgオー
トインジェクター)

4. その他

- 議題 1** 最適使用推進ガイドラインについて

- 議題 2** 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3年1月29日医薬品第二部会審議品目・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	ジョイクル関節注30 mg	生化学工業㈱	製 販	承 認	ジクロフェナクエタールヒアルロン酸ナトリウム	変形性関節症(膝関節、股関節、足関節)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:非該当
2	審議	レミトロ点滴静注用300 μg	エーザイ㈱	製 販	承 認	デニロイキンジフチトクス(遺伝子組換え)	再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫および再発又は難治性の皮膚T細胞性リンパ腫を効能・効果とする新有効成分含有医薬品	-	8年	原体:毒薬 (指定予定) 製剤:劇薬 (指定予定)
3	審議	ヴァイトラックピカプセル25 mg 同 カプセル100 mg 同 内用液20 mg/mL	バイエル薬品㈱	製 販 製 販	承 認 承 認	ラロトレクチニブ硫酸塩	NTK融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌を効能・効果とする新有効成分含有医薬品	希少疾病用医薬品	10年	原体:劇薬 (指定予定) 製剤:劇薬 (指定予定)
4	報告	ダウノマイシン静注用20 mg	Meiji Seikaファルマ㈱	製 販	一 変	ダウノルビン塩酸塩	急性白血病(慢性骨髄性白血病の急性転化を含む)を効能・効果とする新用量医薬品	公知申請	-	原体:毒薬 (指定済み) 製剤:劇薬 (指定済み)
5	報告	パベンチオ点滴静注200 mg	メルクバイオファーマ㈱	製 販	一 変	アベルマブ(遺伝子組換え)	根治切除不能な尿路上皮癌における化学療法後の維持療法を効能・効果とする新効能医薬品	優先審査	残余期間(令和7年10月19日まで)	原体:劇薬 (指定済み) 製剤:劇薬 (指定済み)

申請者	販売名	新規／一部変更
生化学工業（株）	ジョイクル関節注 30 mg	新規
一般名	ジクロフェナクエタルヒアルロン酸ナトリウム	
効能・効果	変形性関節症（膝関節、股関節、足関節）	
用法・用量	通常、成人 1 回 1 シリンジ（ジクロフェナクエタルヒアルロン酸ナトリウムとして 1 回 30 mg）を 4 週間ごとに関節腔内に投与する。	
申請区分	1-（1）新有効成分含有医薬品	
再審査期間	8 年	
審査等経過	・承認申請（令和 2 年 1 月 6 日）	
承認条件	RMP、市販直後調査	

概要
【対象疾患】 - 変形性関節症（OA）は、関節軟骨をはじめとする関節構成体の退行変性に起因して、膝関節や股関節等の四肢関節、手指関節、脊椎等で疼痛、腫脹、変形及び可動域制限等の症状が生じる関節疾患であり、罹患関節が下肢の場合はこれらの症状に伴い歩行障害等が現れ、患者の日常生活動作や QOL に影響をきたす。 - OA の管理には、非薬物療法（運動療法、減量、教育等）及び薬物療法が併用されており、薬物療法は、症状軽減を目的として主に NSAIDs の経口剤や外用剤、アセトアミノフェン等が用いられている。これらの治療で効果不十分な患者に対しては、ヒアルロン酸ナトリウム（HA）や副腎皮質ステロイドの関節腔内投与が、それぞれ推奨又は考慮することとされているが、HA の関節内注射剤（IA-HA）は変形性膝関節症（膝 OA）に対してのみ承認されており、副腎皮質ステロイドの関節内注射剤については、頻回使用により感染や関節破壊を引き起こす恐れがあることから年 4 回以上の使用は一般的に推奨されていない。 2005～2010 年に実施された大規模住民コホート研究から、本邦における膝 OA 患者数は約 780 万人と推定されている。 【開発の経緯】 - 本剤は、関節腔内投与用の注射剤であり、有効成分として、HA に NSAIDs であるジクロフェナク（DF）を共有結合させたジクロフェナクエタルヒアルロン酸ナトリウムを含有する。 - 本剤は、関節内で本薬から徐放される DF の消炎鎮痛効果に加えて IA-HA と同様の関節機能改善効果を併せ持つことが期待され、OA 治療における新規の関節内注射剤として開発された。 - 今般、臨床試験成績等に基づき製造販売承認申請が行われた。

【作用機序・特徴】

- ・滑膜細胞での高分子量ヒアルロン酸の産生促進、及び軟骨細胞でのマトリックスメタロプロテアーゼの産生抑制が本薬で確認されており、これらを介して OA の臨床症状改善効果を示す。
- ・関節局所で徐放された DF がシクロオキシゲナーゼを阻害し、プロスタグランジン類の産生抑制を介した消炎鎮痛作用を示す。
- ・股 OA 及び足 OA を効能・効果に含む初の HA 誘導体製剤である。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

IA-HA（膝 OA 治療において同様の位置付け）

- ・アルツディスポ関節注 25 mg（精製ヒアルロン酸ナトリウム）
- ・スベニールディスポ関節注 25 mg 他（精製ヒアルロン酸ナトリウム）
- ・サイビスクディスポ関節注 2 mL（ヒアルロン酸ナトリウム架橋処理ポリマー、ヒアルロン酸ナトリウム架橋処理ポリマービニルスルホン架橋体）等

副腎皮質ステロイドの関節内注射剤（同様の位置付け）

- ・デカドロン注射液 1.65 mg（デキサメタゾンリン酸エステルナトリウム）
- ・リンデロン注 2 mg（0.4%）他（ベタメタゾンリン酸エステルナトリウム）等

ジクロフェナクナトリウム製剤（位置付けは異なるが、消炎鎮痛作用を示す成分は同一）

- ・ボルタレンテープ 15 mg 他（ジクロフェナクナトリウム）等

【海外の開発状況】

- ・2020 年 10 月現在、本剤は、海外において承認されていない。

申請者	販売名	新規／一部変更
エーザイ(株)	レミトロ点滴静注用 300 µg	新規
一般名	デニロイキン ジフチトクス（遺伝子組換え）	
効能・効果	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	
用法・用量	通常、成人にはデニロイキン ジフチトクス（遺伝子組換え）として 1 日 1 回 9 µg/kg を 1 時間かけて 5 日間点滴静注した後、16 日間休薬する。この 21 日間を 1 サイクルとして、最大 8 サイクル投与を繰り返す。なお、患者の状態により適宜減量する。	
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 2 年 3 月 26 日）	
承認条件	RMP、市販直後調査、全例調査	
その他	未承認薬・適応外薬検討会議開発要請品目	

概要
【対象疾患】 - 再発又は難治性の①末梢性 T 細胞リンパ腫（以下、「PTCL」）及び②皮膚 T 細胞性リンパ腫（以下、「CTCL」）患者（対象疾患における治療選択肢として、①ブレンツキシマブ ベドチン（遺伝子組換え）、モガムリズマブ（遺伝子組換え）等、②モガムリズマブ（遺伝子組換え）、ベキサロテン等がある）。 - 平成 29 年の人口動態統計・患者調査（厚生労働省大臣官房統計情報部）の報告では、本邦における PTCL の主な病理組織型の患者数として、「末梢性 T 細胞リンパ腫、他に分類されないもの」、「血管免疫芽球性 T 細胞リンパ腫」はそれぞれ約 1,000 人、「未分化大細胞型リンパ腫、ALK 陽性」及び「分化大細胞型リンパ腫、ALK 陰性」はそれぞれ 1,000 人未満と報告されていることから、PTCL の推定総患者数は 6,000 人未満と推計される（再発又は難治性の患者はさらに限定される）。また、同報告において、本邦における CTCL の主な病理組織型の患者数として、「菌状息肉症」は約 2,000 人、「セザリー病」は 1,000 人未満と報告されていることから、CTCL の推定総患者数は 4,000 人未満と推計される（再発又は難治性の患者はさらに限定される）。 【開発の経緯】 - デニロイキン ジフチトクス（遺伝子組換え）（以下、「本薬」）は、ジフテリア毒素（以下、「DT」）の一部のアミノ酸配列とヒトインターロイキン-2（以下、「IL-2」）の全アミノ酸配列を融合した遺伝子組換え融合タンパクである。 【作用機序・特徴】 - 本薬は、腫瘍細胞の細胞膜上に発現する IL-2 受容体に結合し、細胞内に取り込まれた後に DT が切断され、遊離した DT（酵素活性部位）がタンパク合成を阻害すること等により、腫瘍増殖抑制作用を示すと考えられている。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

- 再発又は難治性の PTCL に対する主な治療薬（本薬と作用機序又は効能・効果が一部異なる）

製剤名	一般名
アドセトリス点滴静注用	ブレンツキシマブ ベドチン（遺伝子組換え）
ポテリジオ点滴静注	モガムリズマブ（遺伝子組換え）
イストダックス点滴静注用	ロミデプシン
ジフォルタ注射液	プララトレキサート
ムンデシンカプセル	フォロデシン塩酸塩

- 再発又は難治性の CTCL に対する主な治療薬（本薬と作用機序又は効能・効果が一部異なる）

製剤名	一般名
ポテリジオ点滴静注	モガムリズマブ（遺伝子組換え）
タルグレチンカプセル	ベキサロテン
ゾリンザカプセル	ポリノスタット

【海外の開発状況】

- 2020 年 10 月時点において、本薬は、再発又は難治性の CTCL に関する効能・効果にて、米国のみで承認されているが、再発又は難治性の PTCL に関する効能・効果にて、本薬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
バイエル薬品 (株)	ヴァイトラックビカプセル 25 mg、同カプセル 100 mg、同内 用液 20 mg/mL	新規
一般名	ラロトレクチニブ硫酸塩	
効能・効果	NTRK 融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌	
用法・用量	通常、成人にはラロトレクチニブとして 1 回 100 mg を 1 日 2 回経口投与する。 なお、患者の状態により適宜減量する。 通常、小児にはラロトレクチニブとして 1 回 100 mg/m ² (体表面積) を 1 日 2 回経口投与する。ただし、1 回 100 mg を超えないこと。なお、患者の状態によ り適宜減量する。	
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 2 年 5 月 22 日)	
承認条件	RMP、市販直後調査、全例調査	
その他	希少疾病用医薬品 (令和元年 5 月 30 日付け薬生薬審発 0530 第 12 号)	

概要
【対象疾患】 - neurotrophic receptor kinase (以下、「NTRK」) 融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌。 - NTRK 融合遺伝子は様々な固形癌に認められており、非小細胞肺癌 (以下、「NSCLC」)、結腸・直腸癌等の患者数の多い癌腫で認められることは稀である (ともに 1%未満 (Nat Commun 2014; 5: 4846 等)) 一方、患者数の少ない癌腫では多く報告されている。例えば、全悪性腫瘍の 1% 未満である唾液腺癌の一種である mammary analogue secretory carcinoma (MASC) では、NTRK 融合遺伝子が 80~100%で報告されている (Hum Pathol 2013; 44: 1982-8、Nat Genet 1998; 18: 184-7 等)。なお、文献報告等から、本邦における NTRK 融合遺伝子陽性の固形癌患者は多く見積もって約 19,000 人であり、本剤の投与対象は進行・再発の患者であることからさらに限定される。
【開発の経緯】 ラロトレクチニブ硫酸塩 (以下、「本薬」) は、チロシンキナーゼを阻害する低分子化合物である。
【作用機序・特徴】 本薬は、NTRK 遺伝子 (NTRK1、NTRK2 及び NTRK3 遺伝子の各サブタイプ) によりコードされる tropomyosin receptor kinase (以下、「TRK」) の各サブタイプ (TRKA、TRKB 及び TRKC) のリン酸化を阻害し、下流のシグナル伝達分子のリン酸化を阻害することにより、腫瘍増殖抑制作用を示すと考えられている。
【類薬】〔製剤名 (一般名)〕 NTRK 融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌に対して使用される薬剤 ロズリートレカプセル (エヌトレクチニブ)

【海外の開発状況】

- 2020 年 10 月時点において、本薬は、*NTRK* 融合遺伝子陽性の固形癌に関する効能・効果にて 42 の国又は地域で承認されている。なお、米国及び EU では、それぞれ 2018 年 11 月及び 2019 年 9 月に承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
Meiji Seika ファルマ (株)	ダウノマイシン静注用 20 mg	一部変更
一般名	ダウノルビシン塩酸塩	
効能・効果	急性白血病（慢性骨髄性白血病の急性転化を含む） (変更なし)	
用法・用量	通常、成人はダウノルビシン塩酸塩として1日量体重1 kg 当たり 0.4～1.0 mg（力価）を、小児はダウノルビシン塩酸塩として1日量体重1 kg 当たり 1.0 mg（力価）を連日あるいは隔日に 3～5 回静脈内又は点滴静注し、約 1 週間の観察期間をおき、投与を反復する。 他の抗悪性腫瘍剤との併用において、通常、成人はダウノルビシン塩酸塩として1日 25～60 mg（力価）/m²（体表面積）を 2～5 回、小児はダウノルビシン塩酸塩として1日 25～45 mg（力価）/m²（体表面積）を 2～4 回、連日あるいは 1～6 日間をあけて静脈内投与し、骨髄機能が回復するまで休薬する。この方法を 1 コースとし、投与を繰り返す。なお、患者の状態により適宜減量する。 (下線部追加)	
申請区分	1- (6) 新用量医薬品	
再審査期間	なし	
審査等経過	・承認申請（令和 2 年 4 月 7 日）	
承認条件	なし	
その他	公知申請	

概 要													
【対象疾患】 - 急性白血病：急性骨髄性白血病（以下、「AML」）、急性前骨髄球性白血病（APL）及び急性リンパ芽球性白血病（ALL）患者。 - 平成 29 年の人口動態統計・患者調査（厚生労働省大臣官房統計情報部）の報告では、本邦における急性白血病の総患者数は約 14,000 人と推計されている。													
【開発の経緯】 ダウノルビシン塩酸塩（以下、「本薬」）は、アントラサイクリン系の抗腫瘍性抗生物質である。													
【作用機序・特徴】 本薬は、腫瘍細胞の DNA と複合体を形成して、DNA 及び RNA の生合成を阻害することにより、腫瘍の増殖を抑制すると考えられている。													
【類薬】〔製剤名（一般名）〕 <table border="1"><tr><td colspan="2">急性白血病に対する主な治療薬（本薬と効能・効果の一部が異なる）</td></tr><tr><td>販売名</td><td>一般名</td></tr><tr><td>フルダラ静注用</td><td>フルダラビンリン酸エステル</td></tr><tr><td>キロサイド注</td><td>シタラビン</td></tr><tr><td>スタラシドカプセル</td><td>シタラビン オクスファート水和物</td></tr><tr><td>サンラビン点滴静注用</td><td>エノシタビン</td></tr></table>		急性白血病に対する主な治療薬（本薬と効能・効果の一部が異なる）		販売名	一般名	フルダラ静注用	フルダラビンリン酸エステル	キロサイド注	シタラビン	スタラシドカプセル	シタラビン オクスファート水和物	サンラビン点滴静注用	エノシタビン
急性白血病に対する主な治療薬（本薬と効能・効果の一部が異なる）													
販売名	一般名												
フルダラ静注用	フルダラビンリン酸エステル												
キロサイド注	シタラビン												
スタラシドカプセル	シタラビン オクスファート水和物												
サンラビン点滴静注用	エノシタビン												

- 急性白血病に対する主な治療薬（本薬と作用機序及び効能・効果の一部が異なる）

販売名	一般名
マイロターグ点滴静注用	ゲムツズマブ オゾガマイシン（遺伝子組換え）
イダマイシン静注用	イダルビシン塩酸塩
ノバントロン注	ミトキサントロン塩酸塩
ペプシド注	エトポシド
ゾスパタ錠	ギルテリチニブフマル酸塩
ヴァンフリタ錠	キザルチニブ塩酸塩
ベスポンサ点滴静注用	イノツズマブ オゾガマイシン（遺伝子組換え）
エボルトラ点滴静注	クロファラビン
グリベック錠	イマチニブメシル酸塩
スプリセル錠	ダサチニブ水和物
アイクルシグ錠	ポナチニブ塩酸塩
ビーリンサイト点滴静注用	ブリナツモマブ（遺伝子組換え）
トリセノックス注	三酸化二ヒ素
アムノレイク錠	タミバロテン
ベサノイドカプセル	トレチノイン
- 【海外の開発状況】
- 2020年10月時点において、急性白血病に関する効能・効果で、20カ国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
メルクバイオファーマ(株)	バベンチオ点滴静注 200 mg	一部変更
一般名	アベルマブ（遺伝子組換え）	
効能・効果	根治切除不能なメルケル細胞癌 根治切除不能又は転移性の腎細胞癌 根治切除不能な尿路上皮癌における化学療法後の維持療法 （下線部追加）	
用法・用量	＜根治切除不能なメルケル細胞癌、根治切除不能な尿路上皮癌における化学療法後の維持療法＞ 通常、成人にはアベルマブ（遺伝子組換え）として、1回 10 mg/kg（体重）を2週間間隔で1時間以上かけて点滴静注する。 ＜根治切除不能又は転移性の腎細胞癌＞ アキシチニブとの併用において、通常、成人にはアベルマブ（遺伝子組換え）として、1回 10 mg/kg（体重）を2週間間隔で1時間以上かけて点滴静注する。 （下線部追加）	
申請区分	(4) 新効能医薬品	
再審査期間	残余期間（令和7年10月19日まで）	
審査等経過	・承認申請（令和2年5月26日）	
承認条件	RMP、全例調査	
その他	・ 最適使用推進 GL 作成対象医薬品 ・ 優先審査	

概要
【対象疾患】 - 白金系抗悪性腫瘍剤を含む一次化学療法が実施された局所進行又は遠隔転移を有する尿路上皮癌患者に対しては、経過観察が行われ、疾患進行が認められた場合にはペムブロリズマブ（遺伝子組換え）の投与等が行われている。 - 本邦における、尿路上皮癌の年間罹患数は約 21,000 人、死亡数は約 9,500 人と推計されている（国立がん研究センターがん対策情報センター、2019 年のがん統計予測）。
【開発の経緯】 アベルマブ（遺伝子組換え）（以下、「本薬」）は、ヒト programmed cell death ligand-1（以下、「PD-L1」）に対する IgG1 サブクラスのヒト型モノクローナル抗体である。
【作用機序・特徴】 本薬は、PD-L1 の細胞外領域に結合し、PD-L1 と programmed cell death-1（PD-1）及び B7-1 との結合を阻害すること等により、がん抗原特異的な T 細胞の細胞傷害活性を増強し、腫瘍の増殖を抑制すると考えられている。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

- 本薬と同様の位置づけ、効能・効果を有する薬剤はない。

【海外の開発状況】

- 2020 年 10 月時点において、根治切除不能な尿路上皮癌における化学療法後の維持療法に係る効能・効果にて 2 カ国で承認されている。なお、米国では 2020 年 6 月に承認された。

希少疾病用医薬品の概要

名 称	コンシズマブ（遺伝子組換え）
申 請 者	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社
予定される効能・効果	インヒビターを保有する先天性血液凝固第 VIII 因子又は第 IX 因子欠乏患者の出血傾向の抑制
疾 病 の 概 要	- 先天性血友病 A 及び B は、それぞれ血液凝固第 VIII 因子（FVIII）及び第 IX 因子（FIX）遺伝子の変異によって引き起こされる X 染色体連鎖劣性の出血性疾患である。 - 血友病の重症度は血液凝固因子の欠乏の程度と強く関連し、血友病患者の補充療法（予防治療）には、欠損する血液凝固因子の投与が必要になる。予防治療は重症型血友病患者に推奨され、出血及び血友病患者によくみられる関節疾患の予防において有効である。
○希少疾病用医薬品の指定条件 - 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。 - 医療上、特に必要性が高いこと。 - 開発の可能性が高いこと。	
対 象 患 者 数	令和元年度の血液凝固異常症全国調査によれば、令和元年5月31日時点における血友病 A 及び血友病 B の患者数はそれぞれ 5,410 人及び 1,186 人であった。そのうち、インヒビターを保有する血友病（HwI）患者〔インヒビターを保有する血友病 A（HAwI）及びインヒビターを保有する血友病 B（HBwI）患者〕は 119 人（HAwI 及び HBwI 患者はそれぞれ 101 人及び 18 人）と報告されている。 以上より、5万人未満の要件を満たす。
医 療 上 の 必 要 性	- 既承認薬であるファイバは、インヒビターを保有する血友病（HwI）患者におけるに使用できるが、血漿分画製剤であるための感染症のリスク、重度かつ全身性のアレルギー性過敏反応のリスクがある。大量の薬液を長い時間をかけて静脈内投与する必要があり、長期にわたる治療アドヒアランス及びコンプライアンスには問題がある。 - インヒビターを保有する血友病 A（HAwI）患者に対してはヘムライブラ（遺伝子組換え）も承認されているが、破綻出血時に必要なバイパス製剤の使用制限や中和活性を有する抗薬物抗体産生による薬効の減弱の報告があり、異なる機序の有用な治療オプションが待たれている。 - インヒビターを保有する血友病 B（HBwI）患者に対する有用な予防治療はなく、いまだ治療の中心は出血時治療であるのが現状である。 以上より、医療上の必要性は高いと考えられる。
開 発 の 可 能 性	インヒビターを保有する血友病（HwI）患者を対象とした試験では、エプタコグ アルファと比較して、本剤の予防の効果が結論づけられた。 以上より、開発の可能性は高いと考えられる。

希少疾病用医薬品の概要

名 称	ペミガチニブ
申 請 者	インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社
予定される効能・効果	FGFR2 融合遺伝子陽性の治癒切除不能な胆道癌
疾 病 の 概 要	線維芽細胞増殖因子受容体（以下、「FGFR」という。）2 融合遺伝子又は FGFR2 遺伝子の再構成は、細胞の増殖、生存、遊走及び血管新生に関与する FGFR を介したシグナル伝達経路を亢進させること等から、胆道癌の発生、増殖及び生存に寄与すると考えられている。
○希少疾病用医薬品の指定条件 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	・ 厚生労働省における平成 29 年度患者調査によると、本邦における①肝及び肝内胆管の悪性新生物 並びに②胆嚢及びその他の胆道の悪性新生物の総患者数はそれぞれ 56,000 人及び 29,000 人と報告されている。 - また、①肝及び肝内胆管の悪性新生物のうち、肝内胆管癌の割合は約 6% (3,360 人) 及び②胆嚢及びその他の胆道の悪性新生物のうち、肝門部胆管癌患者、遠位胆管癌患者、胆嚢癌患者及び乳頭部癌患者の割合はそれぞれ約 18.2% (5,280 人)、31.0% (8,900 人)、34.4% (9,976 人) 及び 16.4% (4,756 人) と報告されている。 ・ 本邦において FGFR2 融合遺伝子陽性の患者は、肝内胆管癌において 5.5～13.6%、肝門部胆管癌の 3.6%、並びに遠位胆管、胆嚢及び乳頭部では極めて稀（1%未満）であると報告されていることから、本邦における FGFR2 融合遺伝子陽性の胆道癌患者数は約 609～881 人（3,360 人×0.055～0.136+5,220 人×0.036+（8,890 人+9,976 人+4,756 人）×0.01）と推測される。 以上より、5万人未満の要件を満たす。
医 療 上 の 必 要 性	・ 現時点では、治癒切除不能な胆道癌に対しては、FGFR2 融合遺伝子の有無によって治療体系に差異はなく、FGFR2 融合遺伝子を有しない胆道癌患者と同一の化学療法等が行われているが、予後不良な疾患である。 ・ FGFR2 融合遺伝子陽性の治癒切除不能な胆道癌に係る効能・効果で承認された抗悪性腫瘍剤は存在しておらず、本剤は癌の生物学的特性に基づいた、新たな特徴を有する薬剤である。 以上より、医療上の必要性は高いと考えられる。
開 発 の 可 能 性	・ 化学療法歴のある FGFR2 融合遺伝子陽性の治癒切除不能な胆道癌患者を対象とした試験において、本剤の一定の有効性が示された。 ・ 化学療法歴のない FGFR2 融合遺伝子陽性の治癒切除不能な胆道癌患者を対象とした試験が実施中である。

	以上より、開発の可能性は高いと考えられる。
--	-----------------------

希少疾病用医薬品の概要

名 称	E7090
申 請 者	エーザイ株式会社
予定される効能・効果	<i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌
疾 病 の 概 要	線維芽細胞増殖因子受容体（以下、「 <i>FGFR</i> 」という。）2 融合遺伝子は、細胞の増殖、生存、遊走及び血管新生に関与する <i>FGFR</i> を介したシグナル伝達経路を亢進させること等から、胆道癌の発生、増殖及び生存に寄与すると考えられている。
○希少疾病用医薬品の指定条件 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	・ 厚生労働省における平成 29 年度患者調査によると、本邦における①肝及び肝内胆管の悪性新生物 並びに②胆嚢及びその他の胆道の悪性新生物の総患者数はそれぞれ 56,000 人及び 29,000 人と報告されている。 - また、①肝及び肝内胆管の悪性新生物のうち、肝内胆管癌の割合は約 6%（3,360 人）及び②胆嚢及びその他の胆道の悪性新生物のうち、肝門部胆管癌患者、遠位胆管癌患者、胆嚢癌患者及び乳頭部癌患者の割合はそれぞれ約 18.2%（5,280 人）、31.0%（8,900 人）、34.4%（9,976 人）及び 16.4%（4,756 人）と報告されている。 ・ 本邦において <i>FGFR2</i> 融合遺伝子有する患者は、肝内胆管癌において 7.4%、肝門部胆管癌の 3.6%、並びに遠位胆管、胆嚢及び乳頭部では認められていないと報告されていることから、本邦における <i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する胆道癌患者数は約 439 人（3,360 人×0.074+5,278 人×0.036）と推測される。 以上より、5万人未満の要件を満たす。
医 療 上 の 必 要 性	・ 現時点では、切除不能な進行・再発の胆道癌に対しては、<i>FGFR2</i> 融合遺伝子の有無によって治療体系に差異はなく、<i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有しない胆道癌患者と同一の化学療法等が行われているが、予後不良な疾患である。 ・ <i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する局所進行又は転移性胆道癌に係る効能・効果で承認された抗悪性腫瘍剤は存在しておらず、本剤は癌の生物学的特性に基づいた、新たな特徴を有する薬剤である。 以上より、医療上の必要性は高いと考えられる。
開 発 の 可 能 性	・ 進行固形癌患者を対象とした試験において、化学療法歴のある <i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌患者に対する本剤の一定の有効性が示された。 ・ 化学療法歴のある <i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌患者

	を対象とした試験が実施中である。 以上より、開発の可能性は高いと考えられる。
--	---

令和3年1月29日 医薬品第二部会 承認条件に係る報告書の審査結果

報告議題	販売名	承認取得者名	一般名	効能・効果	用法・用量	承認条件(今回対象となるもの)	承認年月日	審査結果
5	①オブジーボ点滴静注20mg、同点滴静注100mg ②同点滴静注120mg ③同点滴静注240mg	小野薬品工業株式会社	ニボルマブ (遺伝子組換え)	根治切除不能又は転移性の腎細胞癌	＜根治切除不能又は転移性の腎細胞癌＞ 通常、成人にはニボルマブ(遺伝子組換え)として、1回 240 mg を2週間間隔又は1回 480 mg を4週間間隔で点滴静注する。化学療法未治療の根治切除不能又は転移性の腎細胞癌に対してイビリムマブ(遺伝子組換え)と併用する場合は、通常、成人にはニボルマブ(遺伝子組換え)として、1回 240mgを3週間間隔で4回点滴静注する。その後、ニボルマブ(遺伝子組換え)として、1回240mgを2週間間隔又は1回480mgを4週間隔で点滴静注する。	＜根治切除不能又は転移性の腎細胞癌＞ 国内での治験症例が極めて限られていることから、製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は、全症例を対象に使用成績調査を実施することにより、本剤使用患者の背景情報を把握するとともに、本剤の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じること。	①平成28年8月26日 ②令和 2年8月28日 ③平成30年9月21日	提出された資料から、承認条件である製造販売後調査が実施され、患者背景、安全性及び有効性に係る情報が収集されていること、収集された情報に基づいて本剤の適正使用に必要な措置が講じられていることから、左記の承認条件は対応されたものと判断した。
5	①オブジーボ点滴静注20mg、同点滴静注100mg ②同点滴静注120mg ③同点滴静注240mg	小野薬品工業株式会社	ニボルマブ (遺伝子組換え)	再発又は遠隔転移を有する頭頸部癌	＜再発又は遠隔転移を有する頭頸部癌＞ 通常、成人にはニボルマブ(遺伝子組換え)として、1回 240mg を2週間間隔又は1回 480mg を4週間間隔で点滴静注する。	＜再発又は遠隔転移を有する頭頸部癌＞ 国内での治験症例が極めて限られていることから、製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は、全症例を対象に使用成績調査を実施することにより、本剤使用患者の背景情報を把握するとともに、本剤の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じること。	①平成29年3月24日 ②令和 2年8月28日 ③平成30年9月21日	提出された資料から、承認条件である製造販売後調査が実施され、患者背景、安全性及び有効性に係る情報が収集されていること、収集された情報に基づいて本剤の適正使用に必要な措置が講じられていることから、左記の承認条件は対応されたものと判断した。

令和 3 年 1 月 29 日医薬品第二部会報告品目（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	ランマーク皮下注120 mg	第一三共株式会社	デノスマブ（遺伝子組換え）	多発性骨髄腫による骨病変及び固形癌骨転移による骨病変	平成24年1月18日	8年	カテゴリー1	—
2	タリオン錠5 mg タリオン錠10 mg タリオンOD錠5 mg タリオンOD錠10 mg	田辺三菱製薬株式会社	ペボタステンベシル酸塩	<小児> アレルギー性鼻炎、蕁麻疹、皮膚疾患（湿疹・皮膚炎、皮膚 痒症）に伴う 痒痒	平成27年5月26日〔効能追加：小児の効能・効果、用法・用量〕	4年	カテゴリー1	—
3	①シンボニー皮下注 50 mgシリンジ ②シンボニー皮下注 50 mgオートインジェクター	ヤンセンファーマ株式会社	ゴリムマブ（遺伝子組換え）	既存治療で効果不十分な関節リウマチ（関節の構造的損傷の防止を含む）	①平成23年7月1日 ②平成31年3月8日（剤形追加）	8年	カテゴリー1	—