

令和4年11月25日医薬品第一部会  
事後ブリーフィング資料

[ 審議事項 ]

- 議題1 医薬品ネキソブリッド外用ゲル5 gの生物由来製品又は特定生物由来製品の指定の要否、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要否について
- 議題2 医薬品ガラフォルドカプセル123 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3 医薬品アリドネパッチ27.5 mg及び同55 mgの生物由来製品又は特定生物由来製品の指定の要否、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要否について
- 議題4 医薬品トレプロスト吸入液1.74 mgの生物由来製品又は特定生物由来製品の指定の要否、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要否について
- 議題5 医薬品ヴィアレブ配合持続皮下注の生物由来製品又は特定生物由来製品の指定の要否、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要否について
- 議題6 医薬品タバリス錠100 mg及び同錠150 mgの生物由来製品又は特定生物由来製品の指定の要否、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要否について
- 議題7 医薬品ラジカット内用懸濁液2.1%の生物由来製品又は特定生物由来製品の指定の要否、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要否について
- 議題8 Maralixibat chloride(アラジール症候群)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9 Maralixibat chloride(進行性家族性肝内胆汁うっ滞症)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10 ケノデオキシコール酸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11 Rilzabrutinib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12 エフガルチギモド アルファ(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
- 議題13 apadamtase alfa/cinaxadamtase 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

## [ 報告事項 ]

- 議題1 医薬品マイトマイシン眼科外用液用2 mgの製造販売承認について
- 議題2 医薬品イーケプラ点滴静注500 mgの製造販売承認事項一部変更承認について
- 議題3 医薬品スキャンドネストカートリッジ3 %の製造販売承認事項一部変更承認について
- 議題4 医療用医薬品の再審査結果について

令和4年11月25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	ネキソブリッド外用ゲル5g	科研製薬㈱	製販	承認	パイナップル茎搾汁精製物	深達性II度又はIII度熱傷における壊死組織の除去を効能・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:非該当
2	審議	ガラフォルドカプセル123mg	アミカス・セラビューティクス㈱	製販	一変	ミガーラスタット塩酸塩	ミガーラスタットに反応性のあるGLA遺伝子変異を伴うファブリー病を効能・効果とし、小児用量を追加する新用量医薬品	希少疾病用医薬品	6年1日	原体:非該当 製剤:非該当
3	審議	アリドネパッチ27.5mg 同 パッチ55mg	帝國製薬㈱	製販	承認	ドネベジル	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(指定済み) 製剤:劇薬(指定予定)
4	審議	トレプロスト吸入液1.74mg	持田製薬㈱	製販	承認	トレプロスチニル	肺動脈性肺高血圧症を効能・効果とする新投与経路医薬品	-	6年	原体:劇薬(指定済み) 製剤:劇薬(指定予定)
5	審議	ヴィアレブ配合持続皮下注	アヅヴィ(同)	製販	承認	ホスレボドパ、ホスカルビドパ水和物	レボドパ含有製剤を含む既存の薬物療法で十分な効果が得られないパーキンソン病の症状の日内変動(wearing-off現象)の改善を効能・効果とする新有効成分含有医薬品及び新医療用配合剤	-	8年	原体:非該当 製剤:非該当
6	審議	タハリス錠100mg 同 錠150mg	キッセイ薬品工業㈱	製販	承認	ホスタマチニブナトリウム水和物	慢性特発性血小板減少性紫斑病を効能・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)
7	審議	ラジカット内用懸濁液2.1%	田辺三菱製薬㈱	製販	承認	エダラボン	筋萎縮性側索硬化症(ALS)における機能障害の進行抑制を効能・効果とする新投与経路医薬品	-	6年	原体:非該当 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
8	報告	マイトマイシン眼科外用液用2mg	協和キリン(株)	製 販	承 認	マイトマイシンC	緑内障手術の補助を効能・効果とする新投与経路医薬品	-	-	原体:毒薬 (指定済み) 製剤:劇薬 (指定済み)
9	報告	イーケプラ点滴静注500mg	ユーシービー ジャパン(株)	製 販	一 変	レベチラセタム	てんかん重症状態を効能・効果とする新効能・新用量医薬品	事前評価 済告知申 請	-	原体:非該当 製剤:非該当
10	報告	スキヤンドネストカートリッジ3%	日本歯科薬品 (株)	製 販	一 変	メピバカイン 塩酸塩	歯科・口腔外科領域における伝達麻酔を効能・効果とする新効能医薬品	事前評価 済告知申 請	-	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
科研製薬(株)	ネキソブリッド外用ゲル 5g	新規
一般名	なし	
効能・効果	深達性Ⅱ度又はⅢ度熱傷における壊死組織の除去	
用法・用量	本剤を熱傷創に適量塗布し、4時間後に除去する。	
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	10年	
審査等経過	・承認申請（令和3年6月28日）	
承認条件	RMP、市販直後調査	
その他	希少疾病用医薬品（令和3年2月19日付薬生薬審発0219第1号）	

## 概 要

## 【対象疾患】

- 熱傷は、主に火災、高温液体等により皮膚や皮下組織に生じる急性の外傷性疾患である。深達性Ⅱ度又はⅢ度熱傷を受傷した皮膚は、タンパク質変性を起こして焼痂と呼ばれる壊死組織となる。壊死組織は皮膚バリア機能の損失により細菌増殖の温床となり、容易に感染症を起こし、敗血症の原因となる。また、壊死組織が残存した場合には、時間経過とともに正常な周辺組織も傷害され、皮膚組織の回復が遅延し病態が悪化する。したがって、熱傷治療では受傷後速やかに壊死組織を除去する必要がある。
- 熱傷後の壊死組織の外科的除去は、確実に壊死組織を除去できる一方で、周辺の正常組織を切除せずに壊死組織のみを選択的に除去することは難しい。正常組織の除去に伴い自然上皮化が妨げられ、自然上皮化が困難な部位は自家移植が必要となり、患者の身体的負担の増加や、整容面及び機能面でも懸念が残る。さらに、外科的壊死組織除去では、解剖学的観点で複雑な手部や、皮膚が薄い小児等では十分な配慮が必要とされ、高度な技術が求められる。

## 【作用機序・特徴】

- パイナップル茎由来タンパク質分解酵素を有効成分とする外用剤であり、壊死組織の主要な構成成分であるタンパク質を分解することにより、正常組織を傷害せずに壊死組織を選択的に除去する。

## 【類薬】〔製剤名（一般名）〕

壊死組織の除去を効能・効果とする薬剤

プロメライン軟膏 5万単位/g（プロメライン）

## 【海外の開発状況】

- 本剤は、2022年8月現在、欧州等41カ国で承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
アミカス・セラ ピューティクス (株)	ガラフォルドカプセル 123 mg	一部変更
一般名	ミガーラスタット塩酸塩	
効能・効果	ミガーラスタットに反応性のある <i>GLA</i> 遺伝子変異を伴うファブリー病	
用法・用量	通常、 <u>16歳以上の患者成人及び12歳以上の小児</u> にはミガーラスタットとして1回 123 mg を隔日経口投与する。なお、食事の前後 2 時間を避けて投与すること。  (取消線部削除、下線部追加)	
申請区分	1- (6) 新用量医薬品	
再審査期間	6年1日	
審査等経過	・承認申請（令和4年5月31日）	
承認条件	RMP、全例調査	
その他	希少疾病用医薬品（平成29年4月14日付け薬生薬審発0414第2号）	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ ファブリー病</li> <li>・ グロボトリアオシルセラミド（以下、「GL-3」）等のスフィンゴ糖脂質を分解する <math>\alpha</math>-ガラクトシダーゼ（以下、「<math>\alpha</math>-Gal A」）をコードする <i>GLA</i> 遺伝子の変異により、<math>\alpha</math>-Gal A 活性の低下を呈する X 染色体潜性遺伝疾患であり、胎児期より GL-3 等の基質がリソソームに蓄積することにより、神経因性疼痛、皮膚症状、眼症状、消化器症状、肺症状、腎障害、心筋症、脳血管疾患等の組織障害をもたらす。</li> <li>・ 本邦におけるファブリー病の推定患者数は 1658 例と報告されている（Mol Genet Metab 2021; 133: 277-88）。</li> </ul>
<p>【作用機序・特徴】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 本薬は、<math>\alpha</math>-Gal A の基質であるスフィンゴ糖脂質（GL-3 等）の末端ガラクトースの類似体であり、薬理的シャペロンとして変異型 <math>\alpha</math>-Gal A に結合することにより、<math>\alpha</math>-Gal A のリソソームへの輸送を促進し、リソソームにおける <math>\alpha</math>-Gal A 活性を上昇させる。</li> </ul>
<p>【類薬】〔製剤名（一般名）〕</p> <p>酵素補充療法（ERT）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ リプレガル点滴静注用 3.5 mg（アガルシダーゼ アルファ（遺伝子組換え））</li> <li>・ ファブラザイム点滴静注用 5 mg、同点滴静注用 35 mg（アガルシダーゼ ベータ（遺伝子組換え））</li> <li>・ アガルシダーゼ ベータ BS 点滴静注 5mg 「JCR」、同 BS 点滴静注 35mg 「JCR」（アガルシダー</li> </ul>

ゼ ベータ (遺伝子組換え)

【海外の開発状況】

- 本薬に対して反応性のある *GLA* 遺伝子変異を有するファブリー病に対して、欧州においては 2016 年 5 月に 16 歳以上の患者を対象に、米国においては 2018 年 8 月に成人患者を対象に承認され、12 歳以上の患者に対しては、欧州において 2021 年 7 月に承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
帝國製薬（株）	アリドネパッチ	新規
一般名	ドネペジル	
効能・効果	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	
用法・用量	<p>通常、軽度～中等度のアルツハイマー型認知症患者にはドネペジルとして、1日1回 27.5 mg を貼付する。高度のアルツハイマー型認知症患者にはドネペジルとして、27.5 mg で4週間以上経過後、55 mg に増量する。なお、症状により1日1回 27.5 mg に減量できる。</p> <p>本剤は背部、上腕部、胸部のいずれかの正常で健康な皮膚に貼付し、24時間毎に貼り替える。</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4年1月28日）	
承認条件	RMP、市販直後調査	
その他		

概要
<p><b>【対象疾患】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・アルツハイマー型認知症（以下、「AD」）における認知症症状</li> <li>・薬物治療の対象となるAD患者は、2017年時点で約56万人（厚生労働省、平成29年（2017）患者調査の概況）と推定される。</li> </ul>
<p><b>【作用機序・特徴】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・本薬はアセチルコリンエステラーゼを可逆的に阻害することにより、脳内アセチルコリン量を増加させ、脳内コリン作動性神経系を賦活する。</li> <li>・本剤は経口剤として承認されている本薬塩酸塩を経皮投与可能な製剤としたもの。</li> </ul>
<p><b>【類薬】〔製剤名（一般名）〕</b></p> <p>コリンエステラーゼ（以下、「ChE」）阻害薬</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・アリセプト等（本薬塩酸塩）、レミニール等（ガランタミン臭化水素酸塩）、イクセロン・リバスタッチ等（リバスチグミン）</li> </ul>
<p><b>【海外の開発状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・海外において、本剤の開発、申請及び承認はいずれも行われていない。</li> </ul>

申請者	販売名	新規／一部変更
持田製薬（株）	トレプロスト吸入液 1.74 mg	新規承認
一般名	トレプロスチニル	
効能・効果	肺動脈性肺高血圧症	
用法・用量	通常、成人には、初回は1回3吸入（トレプロスチニルとして18 µg）をネブライザを用いて1日4回吸入投与する。忍容性を確認しながら、7日以上の間隔で、1回3吸入ずつ、最大9吸入（トレプロスチニルとして54 µg）まで漸増する。3吸入の増量に対して忍容性に懸念がある場合は、増量幅を1又は2吸入としてもよい。忍容性がない場合は減量し、1回の最小量は1吸入とすること。	
申請区分	1-（3）新投与経路医薬品	
再審査期間	6年	
審査等経過	・承認申請（令和4年1月31日）	
承認条件	RMP、市販直後調査	
その他	特になし	

## 概要

## 【対象疾患】

- ・ 肺動脈性肺高血圧症（以下、「PAH」）は、肺動脈内腔の狭窄等により肺血管抵抗（以下、「PVR」）が上昇することで、右心負荷が増大して右心不全をきたす疾患である。PAHと確定診断された場合には速やかに肺血管拡張薬を中心とした薬物治療を開始することが推奨されている。
- ・ 国内で特定医療費（難病指定）受給者証の交付を受けているPAH患者は令和元年で3,934人と報告されている。

## 【作用機序・特徴】

- ・ 本薬は、PGI<sub>2</sub>誘導体であり、血管拡張作用及び血小板凝集抑制作用により、肺動脈圧及びPVRを低下させることで、PAHに対する有効性を示すと考えられている。

## 【類薬】〔製剤名（一般名）〕

プロスタサイクリン経路を標的にした肺血管拡張薬の吸入剤又は経口剤

- ・ ベンテイビス吸入液 10 µg（イロプロスト）、ウプトラビ錠 0.2 mg、同錠 0.4 mg（セレキシパグ）、ベラサス LA 錠等（ベラプロストナトリウム）等

プロスタサイクリン経路の経路を標的にした肺血管拡張薬の注射剤

- ・ トレプロスト注射液 20 mg、同注射液 50 mg、同注射液 100 mg、同注射液 200 mg（トレプロスチニル）、静注用フローラン 0.5 mg、静注用同 1.5 mg 等（エポプロステノールナトリウム）等

## 【海外の開発状況】

- ・ 2022年9月現在、米国を含む3カ国で承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
アッヴィ（同）	ヴィアレブ配合持続皮下注	新規
一般名	ホスレボドパ/ホスカルビドパ水和物	
効能・効果	レボドパ含有製剤を含む既存の薬物療法で十分な効果が得られないパーキンソン病の症状の日内変動（wearing-off 現象）の改善	
用法・用量	<p>本剤投与前の経口レボドパ量に応じて1時間あたりの注入速度を設定し、24時間持続皮下投与する。患者がオフ状態で本剤の投与を開始する場合には、持続投与開始前に負荷投与を行う。なお、必要に応じて持続投与中に追加投与を行うことができる。</p> <p>通常、成人には、本剤を0.15～0.69 mL/時間（レボドパ換算量として約26～117 mg/時間）で持続投与する。負荷投与を行う場合は本剤0.6～2.0 mL（レボドパ換算量として約100～350 mg）を投与する。追加投与は本剤を1回あたり0.1～0.3 mL（レボドパ換算量として約17～51 mg）で投与する。</p> <p>本剤の投与量は症状により適宜増減するが、1日総投与量は16.74 mL（レボドパ換算量として2840 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4年3月14日）	
承認条件	RMP、市販直後調査	
その他	特になし	

概要
<p><b>【対象疾患】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>パーキンソン病（以下、「PD」）は、ドパミン作動性ニューロンの進行性変性による脳内ドパミンの漸減により、動作緩慢、筋固縮、振戦、姿勢不安定等の運動症状を呈する神経変性疾患である。</li> <li>PDに対する標準治療は、ドパミン前駆体であるレボドパ（以下、「LD」）と、末梢でのLDのドパミンへの変換を阻害するカルビドパ（以下、「CD」）水和物等のドパ脱炭酸酵素阻害薬（以下、「DDCI」）の経口投与であり、その他、症状に応じて、ドパミンアゴニスト、抗コリン作用薬、アマンタジン、モノアミン酸化酵素B（以下、「MAO-B」）阻害薬、カテコール-O-メチルトランスフェラーゼ（以下、「COMT」）阻害薬等の経口PD治療薬も使用される。</li> <li>進行期PDではLDの治療域が狭まり、LDの血漿中濃度が変動する経口LD含有製剤ではwearing-off現象やジスキネジア等の運動合併症を十分にコントロールできない場合がある。そのような患者には、LD及びCD水和物の16時間持続空腸投与を行うデュオドーパ配合経腸用液（以下、「デュオドーパ」）、及び電極を介して脳の特定領域に電気信号を送る脳深部刺激療法（以下、「DBS」）が使用されるが、導入の際には、デュオドーパでは経皮内視鏡胃瘻造設</li> </ul>

術、DBS では脳外科手術が必要である。また、本邦ではデュオドーパの投与時間が日中の16時間に限定されているため、夜間の運動症状のほか、朝の無動（オフ状態で起床すること）や睡眠障害といった症状に課題がある。

**【作用機序・特徴】**

- ・ 本剤の有効成分である LDP 及び CDP 水和物は、速やかに生体内でアルカリフォスファターゼにより LD 及び CD に変換され、LD 及び CD として薬理作用を示す。
- ・ LD 含有製剤として初の皮下投与製剤。24 時間持続皮下投与により、24 時間にわたって血漿中 LD 濃度を治療域内で一定に保つことが可能となる。

**【類薬】〔製剤名（一般名）〕**

**LD 及び CD 水和物を含有する経口剤**

- ・ LD 及び CD 水和物：メネシット配合錠等
- ・ LD、CD 水和物及びエンタカポン：スタレボ配合錠

**LD 及び CD 水和物の空腸投与製剤**

- ・ デュオドーパ配合経腸用液

**【海外の開発状況】**

- ・ 2022 年 9 月現在、アイルランド、クロアチア、スウェーデン、ハンガリー、ベルギー及びポルトガルで承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
キッセイ薬品工業(株)	タバリス錠 100 mg、同錠 150 mg	新規
一般名	ホスタマチニブナトリウム水和物	
効能・効果	慢性特発性血小板減少性紫斑病	
用法・用量	通常、成人には、ホスタマチニブとして初回投与量 100 mg を 1 日 2 回、経口投与する。投与開始 4 週後以降に血小板数の増加が認められず、安全性に問題がない場合は 150 mg を 1 日 2 回に増量する。なお、血小板数、症状に応じて適宜増減するが、最高投与量は 1 回 150 mg を 1 日 2 回とする。	
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 4 年 4 月 27 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 2 年 2 月 13 日付け薬生薬審発 0213 第 2 号）	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>特発性血小板減少性紫斑病（以下、「ITP」）は、血小板膜糖タンパクに対する自己抗体が産生され、血小板や巨核球に結合した結果、網内系マクロファージの FcγR シグナルが活性化し、主に自己抗体と結合した血小板の貪食・破壊が亢進することにより血小板減少を来す後天性の自己免疫疾患である。</li> <li>ITP と診断された場合、まずピロリ菌感染の有無について検討し、ピロリ菌陰性又は除菌療法（推奨度 1B）にて血小板数の増加を得られなかった患者においては、出血症状及び血小板数に基づき治療適応を決定する。First line 治療は副腎皮質ステロイド療法（推奨度 2B）であり、副腎皮質ステロイド治療にて治療目標を達成できない、長期間大量の副腎皮質ホルモン投与が必要である又は合併症や副作用等のためステロイド不耐容である患者においては、Second line 治療である 1) TPO 受容体作動薬（推奨度 1A）、2) リツキシマブ（推奨度 1B）及び 3) 脾摘（推奨度 1B）が推奨されている（「成人特発性血小板減少性紫斑病治療の参照ガイド 2019 改訂版」）。</li> </ul>
<p>【作用機序・特徴】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>本薬は、小腸のアルカリホスファターゼ（ALP）により代謝され活性本体である R406 となり、脾臓チロシンキナーゼを阻害することでマクロファージに発現する FcγR を介するシグナル伝達を抑制し、抗血小板自己抗体と結合した血小板のマクロファージによる貪食・破壊を抑制すること等により、血小板数の減少を改善すると考えられる。</li> </ul>
<p>【類薬】〔製剤名（一般名）〕</p> <p>TPO 受容体作動薬</p>

ロミプレート皮下注 250 µg 調製用 (ロミプロスチム (遺伝子組換え))、レボレード錠 12.5 mg、同錠 25 mg (エルトロンボパグ オラミン)

抗 CD20 モノクローナル抗体

リツキサン点滴静注 100 mg、同点滴静注 500 mg 等 (リツキシマブ (遺伝子組換え))

**【海外の開発状況】**

- ・ 海外では、2018 年 4 月に米国で、2020 年 1 月に欧州で、「既存療法で効果が不十分であった慢性 ITP の成人患者における血小板減少症の治療」に係る効能・効果で承認され、2022 年 8 月現在、欧米を含む 31 カ国で承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
田辺三菱製薬(株)	ラジカット内用懸濁液 2.1%	新規
一般名	エダラボン	
効能・効果	筋萎縮性側索硬化症（ALS）における機能障害の進行抑制	
用法・用量	通常、成人に1回 5m L（エダラボンとして 105mg）を空腹時に1日1回経口投与する。投与後1時間は水以外の飲食は避ける。 通常、本剤投与期と休薬期を組み合わせた28日間を1クールとし、これを繰り返す。第1クールは14日間連日投与する投与期の後14日間休薬し、第2クール以降は14日間のうち10日間投与する投与期の後14日間休薬する。	
申請区分	1-(3) 新投与経路医薬品	
再審査期間	6年	
審査等経過	・承認申請（令和4年3月14日）	
承認条件	RMP、市販直後調査	
その他	特になし	

## 概 要

## 【対象疾患】

- 筋萎縮性側索硬化症（以下、「ALS」）は、脳及び脊髄の運動ニューロンが選択的に変性・消失していく進行性の神経変性疾患であり、全身の筋萎縮と筋力低下を生じ、発症から死亡又は侵襲的換気が必要となるまでの期間の中央値は20～48カ月と報告されている。本邦におけるALSの1年当たりの発病率は10万人当たり1.1～2.5人、有病率は10万人当たり7～11人と推定されている（筋萎縮性側索硬化症診療ガイドライン2013. 南江堂; 2013）。
- ALSの治療薬として、本邦では、1999年に錠剤であるリルゾール（リルテック錠50）が、2015年にエダラボン（以下、「本薬」）の静脈内投与製剤（ラジカット注30mg、同点滴静注バッグ30mg）がそれぞれ承認されている。

## 【作用機序・特徴】

- 本薬は、フリーラジカルスカベンジャーであり、血中及び血中から移行した脳脊髄液を含む組織中において、運動ニューロンに対する酸化ストレスの直接的な保護作用や、血管内皮細胞やグリア細胞における酸化ストレスの軽減を介した運動ニューロンの保護作用によりALSの病態の遅延が期待される。

## 【類薬】〔製剤名（一般名）〕

## ALSに対する治療薬

- ラジカット注30mg、同点滴静注バッグ30mg（エダラボン）
- リルテック錠50（リルゾール）

申請者	販売名	新規／一部変更
協和キリン(株)	マイトマイシン眼科外用液用 2 mg	新規
一般名	マイトマイシン C	
効能・効果	緑内障観血的手術における補助	
用法・用量	医療用スポンジに 0.1～0.5 mg (力価) /mL マイトマイシン C 溶液を浸潤させて、手術中に手術部位の組織上に最大 5 分間留置した後、十分に洗浄する。	
申請区分	1- (3) 新投与経路医薬品、(4) 新効能医薬品	
再審査期間	なし	
審査等経過	・承認申請 (令和 4 年 1 月 31 日)	
承認条件	なし	
その他	未承認薬・適応外薬検討会議開発要請品目	

概要
<p><b>【対象疾患】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>緑内障の眼圧下降治療には、薬物治療、レーザー治療及び観血的手術治療の選択肢があり、一般に、薬物治療やレーザー治療等により十分な眼圧下降効果が得られない場合等には、観血的手術が考慮される。</li> <li>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%であった。</li> </ul>
<p><b>【作用機序・特徴】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>二重鎖 DNA への架橋形成を介して DNA の複製を阻害することにより、細胞増殖抑制作用を示すと考えられている。</li> <li>線維芽細胞の増殖抑制作用等により、緑内障手術部位における術後の癒痕化を抑制することで、房水流出路の閉塞を低減し、術後の低眼圧を維持する効果を有することが期待されている。</li> </ul>
<p><b>【類薬】</b>〔製剤名 (一般名)〕</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>緑内障手術時の補助使用 (手術部位の癒痕化抑制) に係る効能・効果を有する薬剤は承認されていない。</li> </ul>
<p><b>【海外の開発状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>本剤は米国等で抗悪性腫瘍剤として承認されているが、眼科適応で承認されている国又は地域はない。</li> <li>米国において、本薬を有効成分とする眼科用キット製剤が「an adjunct to ab externo glaucoma surgery」を効能・効果として承認されている。</li> <li>欧州においては、本薬の眼科適応での承認はなされていないが、診療ガイドラインにおいてその使用が標準的である旨が記載されている。</li> </ul>

申請者	販売名	新規／一部変更
ユーシービージャパン (株)	イーケプラ点滴静注 500 mg	一部変更
一般名	レベチラセタム	
効能・効果	<p>一時的に経口投与ができない患者における、下記の治療に対するレベチラセタム経口製剤の代替療法</p> <p>○てんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む）</p> <p>○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強直間代発作に対する抗てんかん薬との併用療法</p> <p><u>てんかん重積状態</u></p> <p style="text-align: right;">(下線部追加)</p>	
用法・用量	<p><u>〈一時的に経口投与ができない患者におけるレベチラセタム経口製剤の代替療法〉</u></p> <p>レベチラセタムの経口投与から本剤に切り替える場合：</p> <p>通常、レベチラセタム経口投与と同じ1日用量及び投与回数にて、1回量を15分かけて点滴静脈内投与する。</p> <p>レベチラセタムの経口投与に先立ち本剤を投与する場合：</p> <p><b>成人：</b>通常、成人にはレベチラセタムとして1日1000 mgを1日2回に分け、1回量を15分かけて点滴静脈内投与する。</p> <p><b>小児：</b>通常、4歳以上の小児にはレベチラセタムとして1日20 mg/kgを1日2回に分け、1回量を15分かけて点滴静脈内投与する。ただし、体重50 kg以上の小児では、成人と同じ用法・用量を用いること。</p> <p>いずれの場合においても、症状により適宜増減できるが、1日最高投与量及び増量方法は以下のとおりとすること。</p> <p><b>成人：</b>成人では1日最高投与量は3000 mgを超えないこととし、増量は2週間以上の間隔をあけて1日用量として1000 mg以下ずつ行う。</p> <p><b>小児：</b>4歳以上の小児では1日最高投与量は60 mg/kgを超えないこととし、増量は2週間以上の間隔をあけて1日用量として20 mg/kg以下ずつ行う。ただし、体重50 kg以上の小児では、成人と同じ投与量を用いること</p> <p><u>〈てんかん重積状態〉</u></p> <p><u>成人の場合1回1000～3000 mgを静脈内投与（投与速度は2～5 mg/kg/分で静脈内投与する）するが、1日最大投与量は3000 mgとする。</u></p> <p style="text-align: right;">(下線部追加)</p> <p>(記載整備の可否を検討中)</p>	
申請区分	医療用医薬品 1- (4) 新効能医薬品、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4年8月12日）
承認条件	なし
その他	・未承認薬・適応外薬検討会議開発要請品目 ・事前評価済公知申請（令和4年8月4日開催医薬品第一部会において事前評価済）

概要	
【対象疾患】	<p>・てんかん重積状態は、てんかんの発作停止機構が破綻した状態、又は異常に遷延するてんかん発作を引き起こす機構が惹起された状態である。けいれん発作が30分以上持続すると脳機能障害等の後遺障害を残す可能性が指摘されており、国内外ガイドラインでは、けいれん発作が5分以上続いた場合に治療を開始することが推奨されている。</p>
【作用機序・特徴】	<p>・本薬は光学活性を有するピロリドン誘導体であり、シナプス小胞タンパク質2Aへの結合による神経伝達物質放出の調整、Caチャンネル阻害等により、抗てんかん作用を示す。</p>
【類薬】〔製剤名（一般名）〕	<p><b>てんかん重積状態に対する治療薬</b></p> <p>＜てんかん重積状態の効能を有するもの＞ ミダフレッサ静注0.1%、ブコラム口腔用液2.5 mg 他（ミダゾラム）、ロラピタ静注2 mg（ロラゼパム）、ノーバルバル静注用250 mg（フェノバルビタールナトリウム）、ホストイン静注750 mg（ホスフェニトインナトリウム水和物）</p> <p>＜てんかん重積状態に関連する効能を有するもの＞ セルシン注射液5 mg 他、ダイアアップ坐剤4 他（ジアゼパム）、アレビアチン注250 mg（フェニトインナトリウム）、ワコビタール坐剤15 他（フェノバルビタールナトリウム）、エスクレ坐剤「250」他、エスクレ注腸用キット「500」（抱水クロラール）</p>
【海外の開発状況】	<p>・欧米等6カ国（米国、英国、独国、仏国、加国及び豪州）において、本薬はてんかん重積状態に係る効能・効果で承認されていない。</p>

申請者	販売名	新規／一部変更
日本歯科薬品 (株)	スキャンドネストカートリッジ3%	一部変更
一般名	メピバカイン塩酸塩	
効能・効果	歯科・口腔外科領域における浸潤麻酔又は伝達麻酔 (下線部追加)	
用法・用量	通常、成人には1管1.8mL(メピバカイン塩酸塩として54mg)を使用する。 なお、年齢、麻酔領域、部位、組織、症状、体質により適宜増減するが、増量 する場合には注意すること。 (変更なし)	
申請区分	1-(4)新効能医薬品	
再審査期間	なし	
審査等経過	・承認申請(令和4年8月22日)	
承認条件	なし	
その他	<ul style="list-style-type: none"> <li>・未承認薬・適応外薬検討会議開発要請品目</li> <li>・事前評価済公知申請(令和4年8月4日開催医薬品第一部会において事前評価済)</li> </ul>	

概要
<p><b>【対象疾患】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・局所麻酔を要する歯科治療(齲蝕治療、歯周病治療等)を受ける患者</li> <li>・医療機関に受診している齲蝕患者は推計1846千人、歯肉炎及び歯周疾患患者は推計3315千人(厚生労働省, 2015 医療機関受療患者数に関する調査)</li> </ul>
<p><b>【作用機序・特徴】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・本薬はアミド型の局所麻酔薬であり、神経膜のナトリウムチャンネルを抑制し、神経における刺激伝導を可逆的に遮断することで麻酔作用を示す。</li> </ul>
<p><b>【類薬】</b>〔製剤名(一般名)〕</p> <p>歯科・口腔外科領域における伝達麻酔剤</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・歯科用キシロカインカートリッジ等(リドカイン塩酸塩/アドレナリン)</li> <li>・オーラ注歯科用カートリッジ(リドカイン塩酸塩/アドレナリン酒石酸水素塩)</li> <li>・歯科用シタネストーオクタプレシンカートリッジ(プロピトカイン塩酸塩/フェリプレシン)</li> </ul>
<p><b>【海外の開発状況】</b></p> <p>本剤は歯科用局所麻酔剤として、80以上の国又は地域で承認されている。</p>

## 希少疾病用医薬品の概要

名 称	Maralixibat chloride
申 請 者	武田薬品工業株式会社
予定される効能・効果	アラジール症候群
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> <li>• アラジール症候群 (ALGS) は、JAG1 又は NOTCH2 を責任遺伝子とする常染色体優性遺伝形式をとる肝内胆汁うっ滞症であり、胆汁うっ滞に加え、心血管奇形、椎体異常、眼球異常、特徴的顔貌等が認められる。</li> <li>• 乳児期早期から黄疸が認められ、約 1/3 の症例は 1 歳を超えても高度胆汁うっ滞が持続して肝硬変に進行する。</li> <li>• また、激しい皮膚そう痒感が患者及び介護者の睡眠障害や QOL の低下に繋がっている。ALGS に対する有効な内科的治療は確立されておらず、肝移植を施行せずに成人に達する症例は 24~41%程度と報告されている。</li> </ul>
<p>○希少疾病用医薬品の指定条件</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>2. 医療上、特に必要性が高いこと。</li> <li>3. 開発の可能性が高いこと。</li> </ol>	
対 象 患 者 数	<ul style="list-style-type: none"> <li>• ALGS は指定難病であることから、対象患者の指定要件を満たす。</li> </ul>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 国内において、ALGS に関連する効能・効果で承認されている既承認医薬品はない。</li> <li>• 日常診療においては、ウルソデオキシコール酸や胆汁酸吸着剤の内服、脂溶性ビタミンや必須脂肪酸の補充に加え、そう痒に対して抗ヒスタミン剤やフェノバルビタールの内服が用いられるが、いずれも効果は限定的である。</li> <li>• そう痒や成長障害が改善されない場合や肝不全が進行する場合には、外科的治療が検討されるが、部分的胆汁外瘻術は術後の癒着等が肝移植時の合併症の原因になること、肝移植は心血管奇形の合併により移植禁忌となる症例もある等の課題があり、有効な治療法が確立されていない。</li> <li>• 本剤は、回腸末端の腸管上皮細胞の管腔側に発現して胆汁酸の腸肝循環（再吸収）に寄与する胆汁酸トランスポーターを阻害することで、胆汁酸再吸収の抑制による胆汁うっ滞性疾患の有用な治療法と考えられている。</li> </ul> <p>以上より、ALGS に対する本剤の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"> <li>• 海外において、12 カ月齢~18 歳の ALGS 患者を対象とした臨床試験が実施され、米国において「1 歳以上の ALGS 患者における胆汁うっ滞性そう痒の治療」を適応として 2021 年 9 月に承認されている。</li> <li>• 国内においては、1 歳以上の ALGS 患者を対象とした国内第Ⅲ相試験が実施中である。</li> </ul> <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	Maralixibat chloride
申 請 者	武田薬品工業株式会社
予定される効能・効果	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 先天的遺伝子異常を原因とする常染色体劣性遺伝形式の肝内胆汁うっ滞症である。</li> <li>• 原因となる遺伝子変異により複数の型に分類され、症状や臨床経過がそれぞれ異なる。国内の報告はほとんどが1型又は2型であり、いずれも乳児期から発症し、強いそう痒感やそれに伴うQOLの低下、睡眠障害等を呈し、いずれは肝不全へと進行する。また、1型及び2型以外のサブタイプは本邦では極めて稀であるが、1型及び2型と同様に胆汁うっ滞をきたす。</li> </ul>
<p>○希少疾病用医薬品の指定条件</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>2. 医療上、特に必要性が高いこと。</li> <li>3. 開発の可能性が高いこと。</li> </ol>	
対 象 患 者 数	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 進行性家族性肝内胆汁うっ滞症（PFIC）は指定難病であることから、対象患者の指定要件を満たす。</li> </ul>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 国内において、PFICに係る適応を有する医薬品は承認されていない。</li> <li>• PFICに対する薬物治療として、日常診療ではウルソデオキシコール酸、胆汁酸吸着薬、そう痒に対しては抗ヒスタミン薬やフェノバルビタール等が用いられるが、いずれも効果は限定的である。</li> <li>• そう痒の軽減や本疾患の進行を遅らせる目的で、肝病変が進行性の場合には肝移植の適応が考慮されるが、移植後の合併症等が課題となる場合がある。</li> <li>• 本剤は、回腸末端の腸管上皮細胞の管腔側に発現して胆汁酸の腸肝循環（再吸収）に寄与する胆汁酸トランスポーターを阻害することで、胆汁酸再吸収の抑制による胆汁うっ滞性疾患の有用な治療法と考えられている。</li> <li>• 以上より、PFICに対する本剤の医療上の必要性は高いと考えられる。</li> </ul>
開 発 の 可 能 性	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 海外において 12 カ月齢以上 18 歳未満のすべての PFIC サブタイプの患者を対象とした無作為化二重盲検プラセボ対照試験、及び当該試験を完了した患者を対象とした継続投与試験が実施中である。</li> <li>• 国内においては、1 歳以上のすべての PFIC サブタイプの患者を対象とした非盲検非対照試験を実施中である。</li> </ul> <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	ケノデオキシコール酸
申 請 者	藤本製薬株式会社
予定される効能・効果	脳髄黄色腫症
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> <li>• CYP27A1 遺伝子変異によりケノデオキシコール酸（以下、CDCA）が減少することで、血清コレスタノールが増加する常染色体潜性の遺伝性疾患。</li> <li>• 増加した血清コレスタノールが脳、脊髄、腱、水晶体、血管などの全身臓器に沈着することにより、新生児期の黄疸・胆汁うっ滞、幼児期発症の慢性的な下痢、若年性白内障、腱黄色腫、若年性動脈硬化症、骨粗鬆症などの全身症状と、知的障害、痙性対麻痺、小脳失調、錐体外路症状、てんかん、末梢神経障害などの様々な多彩な精神・神経症状を引き起す。</li> </ul>
<p>○希少疾病用医薬品の指定条件</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>2. 医療上、特に必要性が高いこと。</li> <li>3. 開発の可能性が高いこと。</li> </ol>	
対 象 患 者 数	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 指定難病。なお、本邦における脳髄黄色腫症患者は2,000人程度と推定される。</li> </ul> <p>以上より、対象患者数に係る指定要件を満たす。</p>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 現在、本邦において脳髄黄色腫症に関する効能・効果で承認された医薬品は存在しない。</li> <li>• 本剤は CYP27A1 遺伝子変異により減少した CDCA を補充する治療薬であり、コレスタノール濃度の正常化及び各種臨床症状の改善が期待できる。</li> </ul> <p>以上より、本剤の医療上の必要性は高いと考えられる。</p>
開 発 の 可 能 性	<p>現在、脳髄黄色腫症患者を対象とした本剤の国内第Ⅲ相試験が実施中であること等から、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	Rilzabrutinib
申 請 者	サノフィ株式会社
予定される効能・効果	慢性特発性血小板減少性紫斑病
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 特発性血小板減少性紫斑病（以下、「ITP」）は、血小板減少症によって特徴づけられる後天性免疫疾患であり、血小板数 <math>100 \times 10^9/L</math> 未満が認められるが、明らかな要因や根本的な原因がないことで定義される。</li> <li>• ITP の病態生理学は十分に解明されておらず、抗血小板自己抗体、細胞傷害性 T 細胞、免疫調節不全及び血小板の産生障害などを含むいくつかのメカニズムが提唱されている。</li> </ul>
<p>○希少疾病用医薬品の指定条件</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>2. 医療上、特に必要性が高いこと。</li> <li>3. 開発の可能性が高いこと。</li> </ol>	
対 象 患 者 数	<ul style="list-style-type: none"> <li>• ITP は指定難病であり、対象患者数の要件を満たす。</li> </ul>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 症候性 ITP 患者の第一選択治療はステロイド治療であるが、継続的な寛解率は低い。</li> <li>• 第二選択薬として、トロンボポエチン受容体作動薬、リツキシマブ及び脾臓摘出術が行われるが、特に、リツキシマブでは、感染症やB型肝炎ウイルスの再燃による劇症肝炎などの重篤な有害事象の発生が課題。</li> <li>• ロミプロスチムやエルトロンボパグなどのトロンボポエチン受容体作動薬の作用機序は「血小板産生」であるが、ITP の重要な発症メカニズムである「血小板破壊」に対する作用はない。</li> <li>• Rilzabrutinib はブルトン型チロシンキナーゼに共有結合し、可逆的に阻害する低分子化合物であり、ITP 患者における血小板破壊を抑制する。本剤は、既存薬に抵抗性の ITP 患者を含む第 I/II 相試験 (PRN1008-010 試験) において、全被験者 60 名のうち 24 名 (40%) で血小板数の改善を示した。</li> </ul> <p>以上より、本剤の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"> <li>• 本剤は、成人及び小児 ITP (12 歳以上 18 歳未満) を対象にした国際共同第 III 相試験 (PRN1008-18 試験) が実施中であり、当該試験成績を踏まえて、国内における承認申請が予定されている。</li> </ul> <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	エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）
申 請 者	アルジェニクスジャパン株式会社
予定される効能・効果	慢性特発性血小板減少性紫斑症
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 特発性血小板減少性紫斑病（以下、「ITP」）は、血小板減少症によって特徴づけられる後天性免疫疾患であり、血小板数 <math>100 \times 10^9/L</math> 未満が認められるが、明らかな要因や根本的な原因がないことで定義される。</li> <li>• ITP の病態生理学は十分に解明されておらず、抗血小板自己抗体、細胞傷害性 T 細胞、免疫調節不全及び血小板の産生障害などを含むいくつかのメカニズムが提唱されている。</li> </ul>
<p>○希少疾病用医薬品の指定条件</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>2. 医療上、特に必要性が高いこと。</li> <li>3. 開発の可能性が高いこと。</li> </ol>	
対 象 患 者 数	<ul style="list-style-type: none"> <li>• ITP は指定難病であり、対象患者数の要件を満たす。</li> </ul>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 症候性 ITP 患者の第一選択治療はステロイド治療であるが、継続的な寛解率は低い。</li> <li>• 第二選択薬として、トロンボポエチン受容体作動薬、リツキシマブ及び脾臓摘出術が行われるが、特に、リツキシマブでは、感染症やB型肝炎ウイルスの再燃による劇症肝炎などの重篤な有害事象の発生が課題。</li> <li>• 既存治療に反応しない ITP 患者も一定数存在しているが、治療困難な ITP 患者に対する治療は確立していない。</li> <li>• エフガルチギモドは既存の ITP 治療薬とは異なり、ヒト胎児性 Fc 受容体 (FcRn) 結合を介して抗体リサイクリング機構を遮断し、病原性 IgG を含む IgG を速やかに減少させることで疾患の発症原因に直接作用することから、既存治療で効果不十分な ITP 患者に対する新たな治療選択肢として期待される</li> </ul> <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"> <li>• 慢性又は持続性 ITP 患者を対象とした国際共同ランダム化二重盲検プラセボ対照第3相試験 (ARGX-113-1801 試験) が実施され、主要評価項目とされた慢性 ITP 被験者で持続的な血小板数の反応（第19～24週の6回の来院のうち4回以上血小板数 <math>50 \times 10^9/L</math> 以上を達成と定義）を示した割合は、プラセボ群（5.0%）と比較してエフガルチギモド群（21.8%）で統計学的に有意に高かった。</li> </ul> <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	apadamtase alfa/cinaxadamtase alfa
申 請 者	武田薬品工業株式会社
予定される効能・効果	血栓性血小板減少性紫斑病
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 血栓性血小板減少性紫斑病（以下、「TTP」）は、血小板の接着及び凝集に関連する von Willebrand 因子（以下、「VWF」）マルチマーの切断酵素である ADAMTS13 活性の著減により蓄積した超巨大 VWF マルチマーが血小板の凝集を誘導し、微小血管に血小板血栓を形成することで、再発性血小板減少症、微小血管障害性溶血性貧血、脳・心血管障害及び腎障害を含む虚血性臓器障害等の多様な症状を示す疾患。</li> <li>• ADAMTS13 遺伝子変異により発症する先天性 TTP と、抗 ADAMTS13 自己抗体の産生により発症する後天性 TTP に大別される</li> </ul>
<p>○希少疾病用医薬品の指定条件</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>2. 医療上、特に必要性が高いこと。</li> <li>3. 開発の可能性が高いこと。</li> </ol>	
対 象 患 者 数	<ul style="list-style-type: none"> <li>• TTP は指定難病であり、対象患者の指定要件を満たす。</li> </ul>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> <li>• TTP 患者では、全身の微小血管に血小板血栓が形成されることにより、組織の虚血から多臓器の機能不全を引き起こし、死に至る可能性がある。</li> <li>• 先天性 TTP の効能・効果で承認された薬剤はなく、急性症状の治療及び発症抑制の目的で新鮮凍結血漿（以下、「FFP」）等の血漿輸注が標準療法とされている。</li> <li>• 後天性 TTP の急性期治療では FFP 等を用いた血漿交換療法に加え、ステロイド投与が標準療法とされ、さらに難治例ではリツキシマブ（遺伝子組換え）が併用されているが、死亡率は依然として高い。</li> <li>• 本剤は、遺伝子組換え ADAMTS13 濃縮製剤であり、先天性及び後天性 TTP 患者における ADAMTS13 活性を回復させることで、急性症状の治療及び発症抑制が期待される。</li> </ul> <p>以上より、TTP に対する本剤の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"> <li>• 先天性 TTP 患者を対象に本剤の安全性及び有効性を検討する国際共同第Ⅲ相試験及び当該試験を完了した被験者を対象に本剤の安全性及び有効性を検討する国際共同第Ⅲb 相継続試験が実施中である。</li> <li>• 後天性 TTP 患者を対象に血漿交換療法と標準的な免疫抑制療法の補助療法として本剤を併用したときの薬物動態、安全性及び有効性を検討する海外第Ⅱ相試験が実施中である。</li> </ul> <p>以上より、開発の可能性は高いと考えられる。</p>

令和4年11月25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	ロミプレート皮下注250μg調製用	協和キリン株式会社	ロミプロスチム(遺伝子組換え)	慢性特発性血小板減少性紫斑病	平成23年1月21日	10年	カテゴリー1	—