

令和5年3月3日医薬品第一部会
事後ブリーフィング資料

薬事・食品衛生審議会
医薬品第一部会
議事第一次第

1. 開会

2. 審議事項

〔非公開案件〕

議題1 医薬品ドプレット錠20 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

(資料No.1)

議題2 医薬品アポハイドローション20%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

(資料No.2)

議題3 医薬品リネイルゲル10%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

(資料No.3)

議題4 医薬品エムパベリ皮下注1080 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

(資料No.4)

議題5 医薬品オンボ一点滴静注300 mg、同皮下注100 mgオートインジェクター及び同皮下注100 mgシリンジ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

(資料No.5)

議題6 医薬品パリンジック皮下注2.5 mg、同皮下注10 mg及び同皮下注20 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

(資料No.6)

議題7 医薬品オフアコルカプセル50 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

(資料No.7-1)

(資料No.7-2)

議題8 医薬品アトガム点滴静注液250 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

(資料No.8)

議題9 ファリシマブ(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No.9)

- 議題10 リツキシマブ(遺伝子組換え)(臓器移植における抗体関連型拒絶反応の治療)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No.10)
- 議題11 リツキシマブ(遺伝子組換え)(臓器移植における抗体関連型拒絶反応の抑制)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No.11)
- 議題12 fidrisertib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No.12)
- 議題13 lonafarnib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No.13)
- 議題14 Lu AF82422を先駆的医薬品として指定することの可否について (資料No.14)
- 議題15 サトラリズマブ(遺伝子組換え)(自己免疫介在性脳炎)を先駆的医薬品として指定することの可否について (資料No.15)
- 議題16 サトラリズマブ(遺伝子組換え)(抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質抗体関連疾患)を先駆的医薬品として指定することの可否について (資料No.16)
- 議題17 医薬品オンボ一点滴静注300 mg、同皮下注100 mgオートインジェクター及び同皮下注100 mgシリンジの再審査期間延長の可否について (資料No.17)

2. 報告事項

- 議題1 医療用医薬品の再審査結果について (資料No.18-1)
(献血ノンスロン500注射用及び同1500注射用) (資料No.18-2)
(タペンタ錠25mg、同錠50 mg及び同錠100 mg)

3. 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 (資料No.19)

3. 閉会

令和5年3月3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	ドブレレット錠20 mg	Swedish Orphan Biovitrum Japan (株)	製販	承認	アバロンボバグマレイン酸塩	待機的な観血の手技を予定している慢性肝疾患患者における血小板減少症の改善を効能・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
2	審議	アポハイドローション20 %	久光製薬(株)	製販	承認	オキシプチニン塩酸塩	原発性手掌多汗症を効能・効果とする新効能・新剤形医薬品	-	4年	原体:劇薬 (指定済み) 製剤:非該当
3	審議	リネイルゲル10 %	マルホ(株)	製販	承認	アセチルシステイン	巻き爪矯正の補助を効能・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
4	審議	エムパペリ皮下注1080 mg	Swedish Orphan Biovitrum Japan (株)	製販	承認	ベグセタコプラン	発作性夜間ヘモグロビン尿症を効能・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)
5	審議	①オンボー点滴静注300 mg ②同皮下注100 mgオートインジェクター ③同皮下注100 mgシリンジ	日本イーライリリー(株)	製販 製販	承認 承認	ミキズマブ (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・効果とする新有効成分含有医薬品 ②③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)
6	審議	パリンジック皮下注2.5 mg 同皮下注10 mg 同皮下注20 mg	BioMarin Pharmaceutical Japan(株)	製販 製販	承認 承認	ベグバリアーゼ(遺伝子組換え)	フェニルケトン尿症を効能・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	オファコルカプセル50 mg	(株)レクメド	製販	承認	コール酸	先天性胆汁酸代謝異常症を効能・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:非該当 製剤:非該当
8	審議	アトガム点滴静注液250 mg	ファイザー(株)	製販	承認	抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリン	中等症以上の再生不良性貧血を効能・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)

申請者	販売名	新規／一部変更
Swedish Orphan Biovitrum Japan(株)	ドプテレット錠 20 mg	新規
一般名	アバトロンボパグマレイン酸塩	
効能・効果	待機的な観血的手技を予定している慢性肝疾患患者における血小板減少症の改善	
用法・用量	通常、成人には、アバトロンボパグとして以下の用量を1日1回、5日間食後に経口投与する。 投与開始前の血小板数が40,000/ μ L以上50,000/ μ L未満：40 mg 投与開始前の血小板数が40,000/ μ L未満：60 mg	
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30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】

- 慢性肝疾患患者では、門脈圧上昇に伴う脾臓での血小板貯留、肝機能低下に伴うトロンボポエチン（以下、「TPO」）産生低下、肝炎ウイルスによる骨髄抑制等の複数の要因により、血小板の産生と破壊のバランスが崩れ、血小板数の減少がみられる。
- したがって、血小板減少症を合併する慢性肝疾患患者で待機的な観血的手技が予定されている場合には、出血リスクに対応するために、血小板数減少の程度、併存する他の凝固障害の程度、予定している処置の種類等に応じて、血小板輸血又は TPO 受容体作動薬を用いることが推奨されている。
- 慢性肝疾患患者数は30万人（肝がん白書2022）、このうち血小板数が50,000/ μ L未満の慢性肝疾患患者は3000人（Hepatol Res 2021; 51: 1181-95）と推定される。

【作用機序・特徴】

- 本薬は、TPO 受容体作動薬であり、TPO 受容体を介して、内因性 TPO のシグナル伝達系の一部を活性化することにより、造血幹細胞の増殖並びに巨核球への分化及び成熟を促進し、その結果として血小板産生を促進する。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

同一効能・効果を有する TPO 受容体作動薬

- ・ムルプレタ（ルストロンボパグ）

異なる効能・効果（慢性特発性血小板減少性紫斑病）を有する TPO 受容体作動薬

- ・レボレード（エルトロンボパグ オラミン）、ロミプレート（ロミプロスチム（遺伝子組換え））

【海外の開発状況】

- ・ 2018年5月に米国、2019年6月に欧州で待機的な観血的手技を予定している慢性肝疾患患者における血小板減少症に係る効能・効果で承認された。2022年11月時点において、欧米を含む8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
久光製薬(株)	アポハイドローション 20%	新規
一般名	オキシブチニン塩酸塩	
効能・効果	原発性手掌多汗症	
用法・用量	1日1回、就寝前に適量を両手掌全体に塗布する。	
申請区分	医療用医薬品 (4) 新効能医薬品、(5) 新剤型医薬品	
再審査期間	4年	
審査等経過	・承認申請 (令和4年4月21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】

・原発性局所多汗症は、日常生活に支障を来す程の大量の発汗が生じる疾患であり、手掌に生じる場合を原発性手掌多汗症という。コリン作動性神経により調節されているエクリン汗腺のシナプス後膜に分布するムスカリン性アセチルコリン受容体が刺激されることにより発汗が惹起される。原発性局所多汗症診療ガイドライン（2015年改訂版）では、塩化アルミニウム外用剤療法及びイオントフォレーシスが原発性手掌多汗症治療の第一選択として提示されている。

【作用機序・特徴】

・本剤は、ムスカリン性アセチルコリン受容体に親和性を示すオキシブチニン塩酸塩を有効成分とするローション剤であり、抗コリン作用によりエクリン汗腺からの発汗を抑制することが期待される。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

多汗症治療薬（同作用機序だが、投与経路が異なる）

プロ・バンサイン錠（プロパンテリン臭化物）

原発性腋窩多汗症治療薬（同作用機序だが、対象疾患の症状発現部位が異なる）

エクロックゲル（ソフピロニウム臭化物）

ラピフォートワイプ（グリコピロニウムトシル酸塩水和物）

【海外の開発状況】

海外において承認されている国又は地域はなく、海外開発は行われていない。

申請者	販売名	新規／一部変更
マルホ（株）	リネイルゲル 10%	新規
一般名	アセチルシステイン	
効能・効果	巻き爪矯正の補助	
用法・用量	巻き爪に爪矯正具を装着後、爪甲全体に適量を塗布し、約 24 時間後に水又は湯で洗い流す。	
申請区分	医療用医薬品（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4月27日）	
承認条件	なし	
その他	特になし	

概 要

【対象疾患】

- ・巻き爪は、爪甲の両側縁が内側に向かって過度に彎曲した状態であり、末節骨の変形を伴う足の変形、外反母趾、外傷、窮屈な靴、乾癬や爪白癬等の皮膚疾患等が原因で生じる。
- ・現在、本邦において巻き爪に対する適応を有する医薬品は承認されておらず、主に外科的治療と保存的治療が行われている。外科的治療は侵襲性が高いことや手術後に起こる爪の変形等の問題があることから、ワイヤ等の爪矯正具を用いた非侵襲的な保存的治療が広く施行されている。

【作用機序・特徴】

- ・本薬は爪の構成成分であるケラチンに含まれるジスルフィド結合を還元して開裂することで爪を軟化させ、爪矯正具の効果の早期発現及び効果の持続に寄与すると考えられる。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

- ・なし

【海外の開発状況】

- ・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
Swedish Orphan Biovitrum Japan (株)	エムパペリ皮下注 1080 mg	新規
一般名	ペグセタコプラシ	
効能・効果	発作性夜間ヘモグロビン尿症	
用法・用量	通常、成人には、ペグセタコプラシとして 1 回 1080 mg を週 2 回皮下投与する。 なお、十分な効果が得られない場合には、1 回 1080 mg を 3 日に 1 回の間隔で皮下投与することができる。	
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	8 年	
審査等経過	・承認申請 (令和 4 年 4 月 28 日)	
承認条件	<ul style="list-style-type: none"> ・RMP、市販直後調査、全例調査 ・本剤の投与が、発作性夜間ヘモグロビン尿症の診断、治療に精通し、本剤のリスク等についても十分に管理できる医師・医療機関のもとで、髄膜炎菌感染症の診断、治療に精通した医師との連携を取った上でのみ行われるよう、製造販売にあたって必要な措置を講じること。 	
その他	特になし	

概要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・発作性夜間ヘモグロビン尿症 (以下、「PNH」) は、<i>phosphatidylinositol glycan class A (PIGA)</i> 遺伝子の後天的な突然変異により赤血球表面上の終末補体制御因子 CD55 及び CD59 が欠損し、これらの赤血球が補体活性化の下で膜侵襲複合体による障害に対して特に感受性を示すことにより生じる慢性の血管内溶血を主徴とする造血幹細胞疾患であり、指定難病 (平成 27 年 1 月 1 日付け 厚生労働省告示番号 62) に指定されている。 ・現在、PNH 治療薬として、C5 阻害薬であるエクリズマブ (遺伝子組換え) 及びラブリズマブ (遺伝子組換え) が使用されているが、C5 阻害薬が投与された一部の PNH 患者では C3 を介した血管外溶血が認められており、PNH の治療上の課題となっている。 ・本薬の対象となるのは、C5 阻害薬で効果が不十分な PNH 患者である。PNH 患者数を約 1200 名と想定し、そのうち約 80%程度 (約 960 名) が C5 阻害薬による治療に進むと仮定し、さらに C5 阻害薬で十分な効果が得られない PNH 患者の割合を 1/3 とすると、本薬が投与される可能性のある患者数は約 300 例となると申請者は推定している。 <p>【作用機序・特徴】</p> <p>本薬は、40 kDa の PEG 及びその各末端に共有結合した 2 つのペンタデカペプチドから成る対称分子であり、ペプチド部分が C3 及び C3b に結合し、補体カスケードの上流を阻害することにより、PNH の血管内溶血及び血管外溶血の両方を制御することが期待される。</p>

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

PNH 治療薬（同様の効能・効果を有する）

- ソリリス点滴静注 300 mg〔エクリズマブ（遺伝子組み換え）〕
- ユルトミリス点滴静注 300 mg〔ラブリズマブ（遺伝子組み換え）〕
- ユルトミリス HI 点滴静注 300 mg/3 mL〔ラブリズマブ（遺伝子組み換え）〕
- ユルトミリス HI 点滴静注 1100 mg/11 mL〔ラブリズマブ（遺伝子組み換え）〕

【海外の開発状況】

2021 年 5 月に米国で、2021 年 12 月に欧州で PNH に対する治療薬として承認され、2022 年 12 月現在、6 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
日本イーライリリー (株)	①オンボー点滴静注 300 mg ②オンボー皮下注 100 mg オートインジェクター、同皮下注 100 mg シリンジ	新規
一般名	ミリキズマブ (遺伝子組換え)	
効能・効果	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) 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)	
用法・用量	①通常、成人にはミリキズマブ (遺伝子組換え) として、1回 300 mg を 4 週間隔で 3 回 (初回、4 週、8 週) 点滴静注する。なお、12 週時に効果不十分な場合はさらに 1回 300 mg を 4 週間隔で 3 回 (12 週、16 週、20 週) 投与することができる。また、ミリキズマブ (遺伝子組換え) 皮下投与用製剤による維持療法中に効果が減弱した場合には、1回 300 mg を 4 週間隔で 3 回点滴静注することができる。 ②ミリキズマブ (遺伝子組換え) 点滴静注製剤による導入療法終了 4 週間後から、通常、成人にはミリキズマブ (遺伝子組換え) として 1回 200 mg を 4 週間隔で皮下投与する。	
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	8 年	
審査等経過	・承認申請 (令和 4 年 5 月 27 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】

- 潰瘍性大腸炎 (UC) は、主として粘膜を侵し、びらんや潰瘍を形成する大腸の原因不明のびまん性非特異性炎症であり、本邦では指定難病 (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) とされている。UC は、血便、下痢等を呈する活動期と、そ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疾患である。
- 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おり、一般に、中等症に対しては 5-アミノサリチル酸 (5-ASA) 製剤が用いられ、効果不十分な場合にはステロイド経口剤の併用が推奨されている。また、ステロイド抵抗例や依存例といった難治例に対しては、タクロリムス水和物、生物学的製剤、ヤヌスキナーゼ (JAK) 阻害剤等が用いられる (『潰瘍性大腸炎・クローン病 診断基準・治療指針 令和 3 年度 改訂版 (令和 4 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」(久松班) 令和 3 年度分担研究報告書)。

【作用機序・特徴】

- ・ヒト IL-23 p19 サブユニットに対するヒト化 IgG4 モノクローナル抗体。本薬は、UC の粘膜炎症に関与している IL-23 の活性を中和することで、UC に対する効果を発揮すると考えられる。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

生物学的製剤（作用機序が一部同じ、同様の位置付けとなり競合することが考えられる。）

ヒト型抗ヒト IL-12/23p40 モノクローナル抗体製剤

- ・ステラーラ点滴静注 130 mg・同皮下注 45 mg シリンジ（ウステキヌマブ（遺伝子組換え））

JAK 阻害剤（同様の効能・効果を有する）

- ・ゼルヤンツ錠 5 mg（トファシチニブクエン酸塩）
- ・ジセレカ錠 100 mg 他 1 規格（フィルゴチニブマレイン酸塩）
- ・リンヴォック錠 7.5 mg 他 3 規格（ウパダシチニブ水和物）

生物学的製剤（作用機序は異なるが、同様の位置付けとなり競合することが考えられる。）

- ・レミケード点滴静注用 100（インフリキシマブ（遺伝子組換え））
- ・ヒュミラ皮下注 20 mg シリンジ 20 mL 他 2 規格・同皮下注 40 mg ペン 40 mL 他 1 規格（アダリムマブ（遺伝子組換え））
- ・シンポニー皮下注 50 mg シリンジ・同皮下注 50 mg オートインジェクター（ゴリムマブ（遺伝子組換え））
- ・エンタイビオ点滴静注用 300 mg（ベドリズマブ（遺伝子組換え））

【海外の開発状況】

- ・2022 年 12 月現在、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																
BioMarin Pharmaceutical Japan (株)	パリンジック皮下注 2.5 mg、同皮下注 10 mg、同皮下注 20 mg	新規																
一般名	ペグバリアーゼ（遺伝子組換え）																	
効能・効果	フェニルケトン尿症																	
用法・用量	<p>通常、成人にはペグバリアーゼ（遺伝子組換え）として1日1回20 mgを維持用量とし、皮下投与する。ただし、週1回2.5 mgを開始用量として、以下の漸増法に従い、段階的に増量する。1日1回20 mgを一定期間投与しても効果が不十分な場合は、40 mg 又は 60 mg に段階的に増量できるが、最大用量は60 mgである。なお、患者の状態に応じて適宜増減する。</p> <p style="text-align: center;">1日1回20 mg までの漸増法</p> <table border="1" style="margin-left: auto; margin-right: auto;"> <thead> <tr> <th>用量・投与頻度</th> <th>投与期間</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>2.5 mg を週1回投与</td> <td>4週間以上</td> </tr> <tr> <td>2.5 mg を週2回投与</td> <td>1週間以上</td> </tr> <tr> <td>10 mg を週1回投与</td> <td>1週間以上</td> </tr> <tr> <td>10 mg を週2回投与</td> <td>1週間以上</td> </tr> <tr> <td>10 mg を週4回投与</td> <td>1週間以上</td> </tr> <tr> <td>10 mg を1日1回投与</td> <td>1週間以上</td> </tr> <tr> <td>20 mg を1日1回投与</td> <td>—</td> </tr> </tbody> </table>		用量・投与頻度	投与期間	2.5 mg を週1回投与	4週間以上	2.5 mg を週2回投与	1週間以上	10 mg を週1回投与	1週間以上	10 mg を週2回投与	1週間以上	10 mg を週4回投与	1週間以上	10 mg を1日1回投与	1週間以上	20 mg を1日1回投与	—
用量・投与頻度	投与期間																	
2.5 mg を週1回投与	4週間以上																	
2.5 mg を週2回投与	1週間以上																	
10 mg を週1回投与	1週間以上																	
10 mg を週2回投与	1週間以上																	
10 mg を週4回投与	1週間以上																	
10 mg を1日1回投与	1週間以上																	
20 mg を1日1回投与	—																	
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6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3年11月22日付け薬生薬審発 1121 第1号）																	

概 要

【対象疾患】

- ・ フェニルケトン尿症（以下、「PKU」）
- ・ PKU は、フェニルアラニン（以下、「Phe」）水酸化酵素（以下、「PAH」）をコードする遺伝子の変異により PAH の酵素活性が低下することで、高 Phe 血症を呈する常染色体潜性の遺伝性疾患である。
- ・ PKU 患者では、Phe が代謝されず血中 Phe 濃度が上昇し、小児では脳構築障害による精神発達遅滞等の臨床症状を引き起こし、成人においてもうつ状態、神経症、認知機能の低下等の様々な精神症状を来す（新生児マススクリーニング対象疾患等診療ガイドライン 2019）。
- ・ PKU に対する治療について、治療用特殊ミルク等を用いた食事療法が実施されている。薬物治療について、本邦ではサプロプテリン塩酸塩製剤（ビオプテン顆粒）が承認されているが、全ての PKU 患者に効果を期待できるわけではなく、PKU に対する薬物治療の選択肢は限られている。
- ・ 本邦における PKU の発症率はおよそ7万人に1人であり、新規患者は年間約20人と報告され

ており（新生児マススクリーニング対象疾患等診療ガイドライン 2019）、1977年から2019年の累計では742人のPKU患者が確認されている（厚生労働省子ども家庭局母子保健課「先天代謝異常等検査実施状況（令和元年度）」）。

【作用機序・特徴】

- 本薬は、シアノバクテリア *Anabaena variabilis* 由来の遺伝子組換えフェニルアラニンアンモニアリアーゼ類縁体（rAvPAL）にメトキシポリエチレングリコール鎖（PEG）を共有結合させた修飾タンパクである。
- PAHは血漿中で不安定であることから、これまでPAHの補充療法としての薬剤の開発は困難であった。一方、フェニルアラニンアンモニアリアーゼ（PAL）は血漿中で安定で、BH₄非依存的に血中のPheをアンモニアとトランスケイ皮酸（t-CA）に分解し、PAHの代替として血中Phe濃度の低下をもたらすことから、本剤の投与によりPKU患者における高Phe血症の改善が期待される。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

BH₄反応性高Phe血症治療薬

- ビオプテン顆粒 2.5%、同顆粒 10%（サブプロテリン塩酸塩）

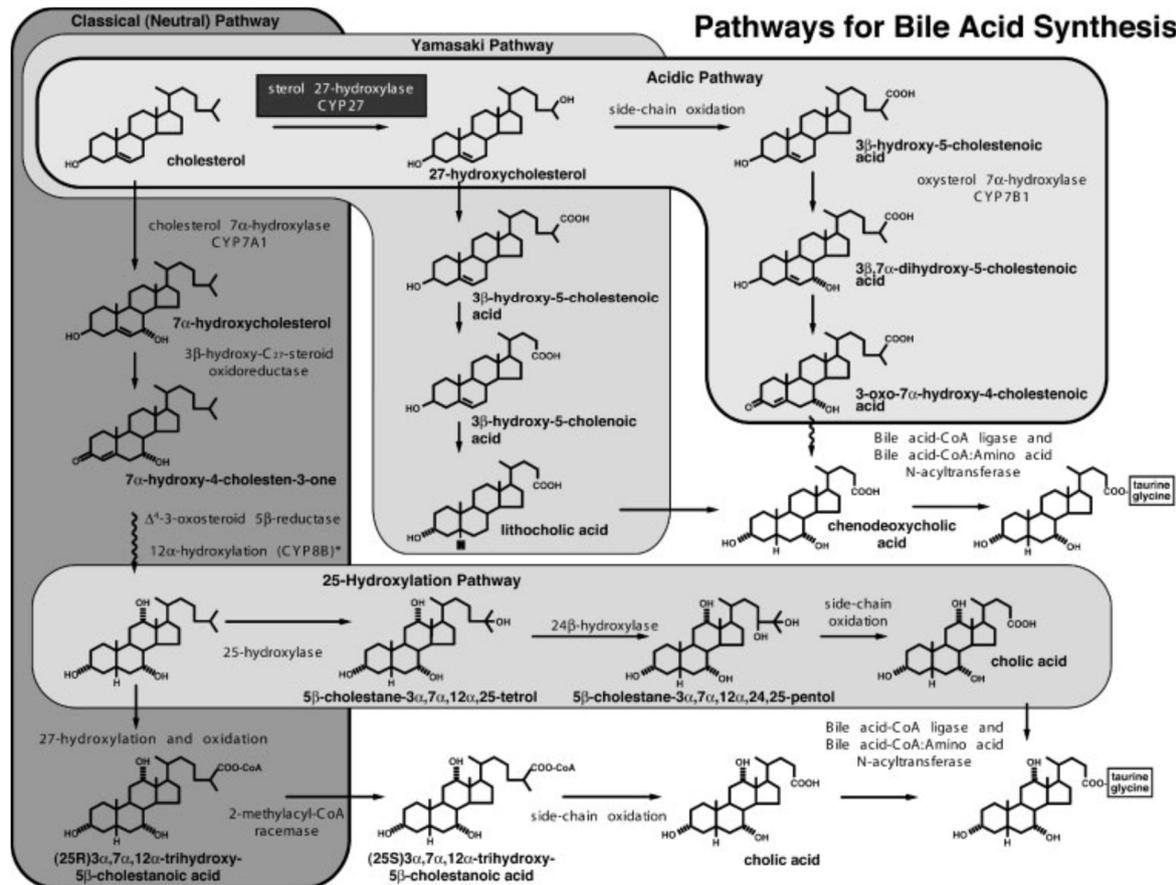
【海外の開発状況】

- 2022年12月現在、欧米を含む5つの国又は地域で承認されている（米国では2018年5月、欧州では2019年5月に承認）。

申請者	販売名	新規／一部変更
(株) レクメド	オフアコルカプセル 50 mg	新規
一般名	コール酸	
効能・効果	先天性胆汁酸代謝異常症	
用法・用量	通常、コール酸として1日量として5~15 mg/kg を1回又は数回に分けて食事中に経口投与する。なお、患者の状態に応じて適宜増減すること。	
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7月13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8月17日付け薬生薬審発0817第5号） 未承認薬・適応外薬検討会議開発要請品目	

概 要
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> 先天性胆汁酸代謝異常症 肝臓内でのコレステロールから胆汁酸までの生合成経路 (classical pathway 及び acidic pathway) に関与する酵素のうちいずれか一つの遺伝性欠損を病因とし、複数の欠損症からなる疾患であり、中間代謝物である異常胆汁酸又は胆汁アルコールの肝細胞内蓄積により肝機能障害を生じる。 いずれの酵素の欠損症も遺伝形式は常染色体潜性遺伝であり、ステロイド骨格の反応とコレステロール側鎖の反応の触媒を担うそれぞれの酵素の欠損症に分類される。ステロイド骨格の反応の触媒を担う酵素の欠損症患者では、一次胆汁酸合成が著しく損なわれ、進行性の胆汁うっ滞を認め、肝機能検査値の異常及び脂溶性ビタミンの吸収不良を伴い、肝硬変や肝不全に至る。また、コレステロール側鎖の反応の触媒を担う酵素の欠損症患者では、脂溶性ビタミンの吸収不良による神経系の障害等を呈するが、一次胆汁酸合成の障害の程度が比較的軽度であることが多く、肝障害は軽度のこともある。 現在までに、先天性胆汁酸代謝異常症として国内外で12種類の欠損症が報告されており、本邦では、3β-ヒドロキシ-Δ⁵-ステロイドデヒドロゲナーゼ（以下、「3β-HSD」）欠損症3例、Δ⁴-3-オキソステロイド-5β-リダクターゼ（以下、「Δ⁴-3-oxoR」）欠損症3例、CYP7B1欠損症1例の計7例が報告されている。 <p>【作用機序・特徴】</p> <ul style="list-style-type: none"> 先天性胆汁酸代謝異常症患者では、胆汁酸、特にその大半を占めるコール酸が不足することにより、主に胆汁酸合成の律速酵素であり classical pathway における最初の反応に関与する CYP7A1 に対する負のフィードバック制御が機能せず胆汁酸生合成が亢進しており、異常な中間代謝物がさらに増加するという悪循環が生じている。

- コール酸はヒトの胆汁中に含まれる主要な一次胆汁酸であり、肝細胞においてコレステロールから生合成される。本剤は、先天性胆汁酸代謝異常症患者に対して、酵素の欠損に起因して合成されないコール酸を外部から補充するものである。
- コール酸の先天性胆汁酸代謝異常症に対する薬理作用としては、CYP7A1の抑制による異常胆汁酸等の合成抑制作用、胆汁流量及び胆汁中への胆汁酸等の分泌増加に伴う胆汁うっ滞の改善作用、並びに脂質及び脂溶性ビタミンの吸収促進作用が寄与していると考えられる。
- なお、一次胆汁酸の生合成に関与する酵素のうち、生成した一次胆汁酸のアミノ酸抱合に関する酵素（胆汁酸 CoA: アミノ酸 N-アシルトランスフェラーゼ（以下、「BAAT」）及び胆汁酸 CoA リガーゼ（以下、「BACL」））の欠損症では、非抱合型コール酸の生合成までは代謝が正常に行われることから、コール酸による効果は期待できず、本剤の投与対象とはならない。



【類薬】〔製剤名（一般名）〕

なし

【海外の開発状況】

2022年12月現在、本剤は欧州を含む5つの国又は地域で承認されている。また、米国においてもコール酸を有効成分とする製剤（商品名 Cholbam、米国 Asklepiion Pharmaceuticals 社）が承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
ファイザー (株)	アトガム点滴静注液 250 mg	新規
一般名	抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリン	
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 1kg あたり抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリンとして 40 mg を緩徐に点滴静注する。投与期間は4日間とする。	
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6月29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3月11日付薬生薬審発 0311 第1号）、未承認薬・適応外薬検討会議開発要請品目	

概要											
<p>【対象疾患】</p> <ul style="list-style-type: none"> 再生不良性貧血（AA）は、末梢血での汎血球減少と骨髓の細胞密度の低下（低形成）を特徴とする症候群であり、指定難病に分類されている。 輸血が必要な中等症（stage 2b）以上であって、40歳以上又は40歳未満でHLA一致同胞ドナーのいない場合には抗ヒト胸腺細胞免疫グロブリン（ATG）をシクロスポリン（CsA）及びエルトロンボパグとの併用等にて投与することが推奨されている（再生不良性貧血診療の参照ガイド 令和1年改訂版）。 2020年度の特定医療費受給者証所持者数は8,724人、2004年～2013年の10年間の罹患数は約10,500、罹患率は8.3（/100万人年）と推計されている。 											
<p>【作用機序・特徴】</p> <ul style="list-style-type: none"> 本薬は、ヒト胸腺細胞で免疫されたウマの血漿から分離精製したIgGであり、強力なT細胞抑制作用を有する。 											
<p>【類薬】〔製剤名（一般名）〕</p>											
<p>AA に対する免疫抑制療法（本薬と作用機序及び効能・効果が異なる薬剤も含む）</p> <table border="1"> <thead> <tr> <th>製剤名</th> <th>一般名</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>サイモグロブリン点滴静注用 25 mg</td> <td>抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン（rATG）</td> </tr> <tr> <td>ネオーラル内用液 10%、同 10 mg カプセル、同 25 mg カプセル、同 50 mg カプセル</td> <td>シクロスポリン</td> </tr> <tr> <td>レボレード錠 12.5 mg、同 25 mg</td> <td>エルトロンボパグ オラミン</td> </tr> <tr> <td>ロミプレート皮下注 250 µg 調製用</td> <td>ロミプロスチム（遺伝子組換え）</td> </tr> </tbody> </table>		製剤名	一般名	サイモグロブリン点滴静注用 25 mg	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン（rATG）	ネオーラル内用液 10%、同 10 mg カプセル、同 25 mg カプセル、同 50 mg カプセル	シクロスポリン	レボレード錠 12.5 mg、同 25 mg	エルトロンボパグ オラミン	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）
製剤名	一般名										
サイモグロブリン点滴静注用 25 mg	抗ヒト胸腺細胞ウサギ免疫グロブリン（rATG）										
ネオーラル内用液 10%、同 10 mg カプセル、同 25 mg カプセル、同 50 mg カプセル	シクロスポリン										
レボレード錠 12.5 mg、同 25 mg	エルトロンボパグ オラミン										
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）										
<p>【海外の開発状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> 1985年に米国でAAの適応が承認され、2022年7月現在、欧州各国（分散承認方式）を含む41の国又は地域で承認済。 											

希少疾病用医薬品の概要

名 称	ファリシマブ（遺伝子組換え）
申 請 者	中外製薬株式会社
予定される効能・効果	新生血管を伴う網膜色素線条
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> • 網膜色素線条（AS）は、Bruch 膜の弾性線維の断裂を生じ、色素線条、梨子状眼底、乳頭周囲網脈絡膜萎縮等の特徴的な眼底所見を呈する疾患である。Bruch 膜が断裂した部位から生じた脈絡膜新生血管（CNV）を伴わなければ無症状であることが多いが、CNV が黄斑部に及んだ場合には無治療では視力予後が不良である。
<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"> • 本邦のDPC データから、全国DPC 対象施設におけるAS 患者数は約1,100 人と推計される。 • AS の原因疾患の一つとされている弾性線維性仮性黄色腫（PXE）の患者数、PXE を原因疾患としたAS 患者の割合等から、AS 患者数は約350～510 人と推計される。 <p>以上より、5万人未満の要件を満たすと考えられる。</p>
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> • 現在、本邦において、AS に関する効能・効果で承認されている薬剤はなく、明確な治療方針、ガイドライン等も存在していない。 <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"> • 本剤は、2つの抗原結合部位がそれぞれ抗血管内皮増殖因子（VEGF）-A とアンジオポエチン（Ang）-2 に結合するヒト化二重特異性抗体であり、CNV を伴う疾患である滲出型加齢黄斑変性を含む効能・効果にて本邦で承認されている。CNV を伴うAS 患者に対する抗VEGF 薬の有効性が報告されていること、Ang-2 はVEGF-A と同様にCNV 膜の形成に関与することが示唆されていることから、本剤は眼内VEGF-A とAng-2 を同時に阻害することで、CNV を伴うAS に対しても治療効果を示すことが期待される。 • 現在、CNV を伴うAS 患者を対象とした国内第Ⅲ相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>

希少疾病用医薬品の概要

名 称	リツキシマブ（遺伝子組換え）
申 請 者	全薬工業株式会社
予定される効能・効果	下記の臓器移植における抗体関連型拒絶反応の治療 腎移植、肝移植、心移植、肺移植、膵移植、小腸移植
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> • 臓器移植において、移植臓器に対するレシピエントの免疫応答により生じる拒絶反応は、移植臓器の機能維持や患者の生命維持に影響する。抗体関連型拒絶反応（以下、「ABMR」）は、レシピエントが保有する抗ヒト白血球抗原抗体等に起因して生じる拒絶反応であり、特に移植臓器の廃絶に至る可能性が高いことが知られている。 • なお、ABMR の発現機序は移植臓器による差異はなく、ABMR 治療として現在実施されている投薬、処置は各臓器移植において共通である。
<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"> • 日本移植学会から報告されている本邦の臓器移植例数（腎臓、肝臓、心臓、肺、膵臓及び小腸の合計）は、2019年で2,680件、2020年で2,265件と報告されていることから指定要件を満たす。
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> • ABMR 治療には既存薬として、ステロイドパルス療法や血漿交換、ミコフェノール酸モフェチル、又はカルシニューリン阻害剤が使用されているものの、これらの薬剤は ABMR の原因となる抗体産生を直接的に抑制するものではない。 • 副腎皮質ホルモン剤は、B 細胞数や免疫グロブリン産生量の低下には長期投与が必要となる等の制約があり、ABMR 発現時に迅速に B 細胞の抑制や抗体産生の抑制効果が得られる薬剤が必要とされている。 • 本剤は、ヒト B 細胞表面に存在する CD20 抗原を認識するモノクローナル抗体であり、抗体産生細胞に分化する成熟 B 細胞を投与後急速に低下又は枯渇させ、その作用が一定期間持続するため、既存薬と併用することで ABMR に関与する抗体産生を抑制す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"> • ABMR を発現した腎移植患者を対象とした本剤の国内第 III 相試験が実施された。 • また、腎臓、肝臓、小腸、心臓、肺、膵臓及び膵島移植を対象とした国内使用実態調査及び二次調査並びに特定臨床研究において本剤の有効性及び安全性に係るデータが収集されている <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	リツキシマブ（遺伝子組換え）
申 請 者	全薬工業株式会社
予定される効能・効果	下記の臓器移植における抗体関連型拒絶反応の抑制 腎移植、肝移植、心移植、肺移植、膵移植、小腸移植
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> • 臓器移植において、移植臓器に対するレシピエントの免疫応答により生じる拒絶反応は、移植臓器の機能維持や患者の生命維持に影響する。抗体関連型拒絶反応（以下、「ABMR」）は、レシピエントが保有する抗ヒト白血球抗原抗体等に起因して生じる拒絶反応であり、特に移植臓器の廃絶に至る可能性が高いことが知られている。 • なお、ABMR の発現機序は移植臓器による差異はなく、ABMR 抑制として現在実施されている投薬、処置は各臓器移植において共通である。
<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"> • 日本移植学会から報告されている本邦の臓器移植例数（腎臓、肝臓、心臓、肺、膵臓及び小腸の合計）は、2019年で2,680件、2020年で2,265件と報告されていることから指定要件を満たす。
医 療 上 の 必 要 性	<ul style="list-style-type: none"> • 移植前の抗体産生の抑制には、既存薬としてアザチオプリン、エベロリムス、シクロスポリン、タクロリムス水和物、バシリキシマブ（遺伝子組換え）、ミコフェノール酸モフェチル、ミゾリビン等が併用されているものの、ABMR の原因となる抗体産生を直接的に抑制するものではない。 • 移植前に速やかに B 細胞の抑制や抗体産生の抑制効果が得られる薬剤が必要とされている • 本剤は、ヒト B 細胞表面に存在する CD20 抗原を認識するモノクローナル抗体であり、抗体産生細胞に分化する成熟 B 細胞を投与後急速に低下又は枯渇させ、その作用が一定期間持続するため、既存薬と併用することで ABMR に関与する抗体産生を抑制す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"> • 「抗ドナー抗体陽性腎移植における術前脱感作」に対する開発について生体腎移植患者を対象とした本剤の国内第 III 相試験が実施された。 • また、腎臓、肝臓、小腸、心臓、肺、膵臓及び膵島移植を対象とした国内使用実態調査及び特定臨床研究において本剤の有効性及び安全性に係るデータが収集されている。 <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	fidrisertib
申 請 者	IPSEN 株式会社
予定される効能・効果	進行性骨化性線維異形成症
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> • 進行性骨化性線維異形成症（以下、FOP）は骨形成蛋白（BMP）I 型受容体であるアクチビン様キナーゼ 2（ALK2）の活性化変異によって引き起こされる、極めて稀な常染色体顕性遺伝性疾患。 • 小児期から始まる突発性の軟部組織浮腫（フレアアップ）及び異所骨による骨格筋と結合組織の進行性の骨化が特徴。 • 最終的には、軟骨内プロセスを経て軟部組織が異所性骨のリボン様、シート様、プレート様に変化し、体全体や関節全体に発生し、次第に動きが制限されるようになる。
<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"> • 指定難病。なお、本邦における FOP の患者数は、厚生労働科学研究費保証金 難治性疾患克服研究事業に関する調査研究班による分担研究報告書より、60～84 人程度と推定されている。 <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"> • 現在、本邦において FOP に関する効能・効果で承認された医薬品は存在せず、実施可能な治療は疾患の症状管理を目的とするもののみ。 • 本剤は、FOP の病因である ALK2 を直接阻害する作用が確認されている等、非臨床試験において FOP に対する有効性が期待される。 <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"> • 日本人を含む健康成人を対象とした臨床薬理試験が実施されている。 • また、FOP 患者を対象とした国際共同第Ⅱ相試験について、現在本邦を含めて実施中である。 <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	lonafarnib
申 請 者	アンジェス株式会社
予定される効能・効果	ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及び LMNA 変異又は ZMPSTE24 変異によるプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー
疾 病 の 概 要	<ul style="list-style-type: none"> • 出生時には正常な外観であるが、乳児期早期から硬化性皮膚所見、重度成長障害が現れ、2歳までに脱毛、前額突出、小顎等の早老様顔貌、皮膚の萎縮や硬化と関節拘縮が観察される。加齢と共に顕在化する動脈硬化性疾患による重篤な脳血管障害や心血管疾患、悪性腫瘍が挙げられ、20歳までに患者の多くが死亡すると報告されている。 • 当該疾患の発症原因は、核膜を構築する成分の1つであるラミン A をコードする遺伝子 (LMNA) の変異であり、プロジェリン (変異プレラミン A) が蓄積することで核膜の構造異常を引き起こす。 • プロジェリンはファルネシル化された不完全なラミン A であり、本剤はプロジェリンのファルネシル化を阻害することで、病態進行を抑制あるいは改善すると考えられる。
<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"> • 全世界で 350~400 人の典型 HGPS 患者が報告されており、NPO 法人の Progeria Research Foundation には 2022 年 9 月 30 日の時点で 140 人の典型 HGPS 患者が登録されている。 <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"> • 現在、本邦において国内における当該疾患の確立された治療法は存在しておらず、それぞれの症状に対する対症療法が主であること。 • プロジェリンはファルネシル化された不完全なラミン A であり、本剤はプロジェリンのファルネシル化を阻害することで、病態進行を抑制あるいは改善すると考えられる。 • 本剤は、米国において開発され、Zokinvy として 2020 年 11 月に米国、2022 年 7 月に欧州、また 2022 年 8 月に英国で承認を受け、フランスにおいては緊急使用承認されている。 <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"> • 欧米における承認の臨床データパッケージには、国際共同治験で得られた日本人データが含まれている。 <p>以上より、開発の可能性は高いと考えられる。</p>

先駆的医薬品としての指定について

【医薬品第一部会】

	医薬品の名称	予定される効能又は効果	申請者の名称
1	Lu AF82422	多系統萎縮症	ルンドベック・ジャパン株式会社
2	サトラリズマブ(遺伝子組換え)	自己免疫介在性脳炎	中外製薬株式会社
3	サトラリズマブ(遺伝子組換え)	抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質抗体関連疾患	中外製薬株式会社

品目の概要

申請者名	品目名
日本イーライリリー株式会社	オンボ一点滴静注 300mg、オンボ一皮下注 100mg シリンジ、オンボ一皮下注 100mg オートインジェクター
成分・分量	<p>原体：ミリキズマブ（遺伝子組換え）</p> <p>製剤：</p> <p>〔点滴静注製剤〕</p> <p>オンボ一点滴静注 300 mg（1 バイアル中 300 mg 含有）</p> <p>〔皮下注製剤〕</p> <p>オンボ一皮下注 100 mg シリンジ（1 シリンジ中 100 mg 含有）</p> <p>オンボ一皮下注 100 mg オートインジェクター（1 シリンジ中 100 mg 含有）</p>
効能・効果	<p>〔点滴静注製剤〕</p> <p>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）</p> <p>〔皮下注製剤〕</p> <p>中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）</p>
用法・用量	<p>〔点滴静注製剤〕</p> <p>通常、成人にはミリキズマブ（遺伝子組換え）として、寛解導入療法の初回、4 週後及び 8 週後に、1 回 300 mg を点滴静注する。なお、12 週時点において、患者に十分な治療効果が認められない場合は寛解導入療法を継続し、初回投与から 12 週後、16 週後及び 20 週後に本剤を投与することができる。</p> <p>〔皮下注製剤〕</p> <p>ミリキズマブ（遺伝子組換え）の点滴静注製剤を投与開始してから 12 週後（寛解導入療法完了後）に、通常、成人にはミリキズマブ（遺伝子組換え）として 1 回 200 mg を皮下投与し、以降は 4 週間隔で 1 回 200 mg を皮下投与する。</p>
初回承認日	承認申請中 （新有効成分含有医薬品として 2022 年 5 月 27 日承認申請）
再審査期間	8 年（予定）
備考	
再審査延長案	10 年：8 年（予定）から 2 年間の延長
根拠	国内の潰瘍性大腸炎（Ulcerative Colitis、以下、UC と略）患者数の増加と並行して、小児 UC 患者数も近年増加しており、小児 10 万人当たりの患者数はおよそ 15 人と報告されている（Ishige et al. 2017）。疾患の経過は小児や成人に関わらず同様であるが、一般的

	<p>に小児の UC はより激しい経過をたどり、より重症化しやすいことが知られている (Jakobsen et al. 2011、Ishige et al. 2010)。小児 UC 患者の 44～49%が直腸 S 状結腸限局型、36～41%が左側型、14～37%が全大腸型であり、症状の重症度については、小児の 50～60%が軽度、30%が中等度、19%が重度であると報告されている (Diefenbach and Breuer 2006)。また、小児 UC には、原疾患以外にも多くのアンメット・メディカル・ニーズが存在する。小児 UC 患者は、成長障害や骨代謝異常等の複数の症状に悩まされており (Diefenbach and Breuer 2006; Sauer and Kugathasan 2010)、予測できない疾患の悪化や進行による心理的ストレスも受けている (Diefenbach and Breuer 2006)。さらに、結腸症状の重症化や疾患の長期化が認められる患者においては、結腸癌のリスクが増大することが報告されている (Ekblom et al. 1990)。海外では、小児 UC 患者においては、7～10 歳で診断された以降は、1～2 年に一度は結腸内視鏡検査を受けることが推奨されている (Rosen et al. 2015)。15 歳以前に UC と診断された患者では、結腸癌の発現率は 20 歳で 5%増大し、35 歳では 40%増大する (Ekblom et al. 1990)。</p> <p>以上のように、海外、国内問わず、小児 UC の治療薬のアンメット・メディカル・ニーズは非常に高い。代表的な治療薬であるステロイドは臨床的改善及び寛解の導入効果があるものの、寛解維持の効果はなく、長期の使用歴に伴う重大な副作用が知られている (Sidoroff and Kolho 2012; Ruemmele et al. 2014; Bradley and Oliva Hemker 2012)。現在、中等症から重症の小児 UC の治療薬として国内外で承認されている生物学的製剤はインフリキシマブ及びアダリムマブのみであるが、一次無効や二次無効に対する懸念、さらに安全性上の問題 (悪性腫瘍、重篤な感染症) が依然存在している (Miele et al. 2004)。したがって、小児 UC 患者に対する、より効果が高く、より安全な新たな治療薬の登場が期待されている。このような現状下、現在、小児 UC 患者を対象とした国際共同第 II 相試験 (AMBU 試験) を実施中であり本邦も参加していること等を勘案すると、再審査期間を現在予定されている 8 年から 2 年間延長し、本剤の初回承認から 10 年とすることが適当と考えられる。</p>
<p>諮問理由</p>	<p>小児 UC を対象とした国際共同第 II 相試験が実施されていることから、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律第 14 条の 4 第 3 項の規定に基づき、本剤の再審査期間の延長 (2 年延長) を諮問するものである。</p>

令和5年3月3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	献血ノンスロン500注射用 献血ノンスロン1500注射用	武田薬品工業株式会社	人アンチトロンビンⅢ	アンチトロンビンⅢ低下を伴う門脈血栓症	平成29年8月25日（効能追加）	4年（平成29年8月25日～令和3年8月24日）	カテゴリー1	—
2	タベンタ錠25mg タベンタ錠50mg タベンタ錠100mg	ヤンセンファーマ株式会社	タベンタドール塩酸塩	中等度から高度の疼痛を伴う各種癌における鎮痛	平成26年3月24日	8年	カテゴリー1	—