

令和5年6月2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 医薬品コレチメント錠9 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 医薬品ソグルーヤ皮下注15 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並びに医薬品ソグルーヤ皮下注5 mg及び同皮下注10 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 医薬品フェブリク錠10 mg、同錠20 mg及び同錠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4 医薬品イーケブラドライシロップ50%及び同点滴静注500 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5 希少疾病用医薬品として指定することの可否について(Mavacamten)

[報 告 事 項]

- 議題1 医薬品グロウジェクト皮下注6 mg及び同皮下注12 mgの製造販売承認事項一部変更承認について
- 議題2 医薬品リンヴォック錠7.5 mg、同錠15 mg、同錠30 mg及び同錠45 mgの製造販売承認事項一部変更承認について
- 議題3 パルモディアXR錠0.2 mg及び同XR錠0.4 mgの製造販売承認について
- 議題4 医療用医薬品の再審査結果について

令和5年6月2日医薬品第一部会審議品目・報告品目一覧

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
審議	コレチメント錠9mg	フェリング・ファーマ(株)	製 販	承 認	ブデソニド	活動期潰瘍性大腸炎(重症を除く)を効能・効果とする新投与経路医薬品	-	4年	原体:劇薬 (指定済み) 製剤:非該当
審議	①ソグルーヤ皮下注5mg ② 同 皮下注10mg ③ 同 皮下注15mg	ノボ ノルディスクファーマ(株)	製 販 製 販 製 販	一 変 一 変 承 認	ソマプシタン (遺伝子組換え)	骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症を効能・効果とする新効能・新用量・その他・剤形追加に係る医薬品	-	残余 (令和11年1月21日まで)	原体:非該当 製剤:非該当
審議	①フェブリク錠10mg ② 同 錠20mg ③ 同 錠40mg	帝人ファーマ(株)	製 販 製 販 製 販	一 変 一 変 一 変	フェブキソスタット	痛風、高尿酸血症を効能・効果とし、小児用量を追加する、新用量・その他に係る医薬品	-	4年	原体:非該当 製剤:非該当
審議	イーケプラドライシロップ50% 同 点滴静注500mg	ユーシービー ジャパン(株)	製 販 製 販	一 変 一 変	レベチラセタム	てんかん患者の部分発作(二次性全般化発作を含む)を効能・効果とし、小児用量を追加する新用量医薬品	-	4年	原体:非該当 製剤:非該当
報告	グロウジェクト皮下注6mg 同 皮下注12mg	JCRファーマ(株)	製 販 製 販	一 変 一 変	ソマトロピン (遺伝子組換え)	骨端線閉鎖を伴わないSHOX異常症における低身長を効能・効果とする新効能医薬品	-	-	原体:非該当 製剤:非該当
報告	①リンヴォック錠7.5mg ② 同 錠15mg ③ 同 錠30mg ④ 同 錠45mg	アッヴィ(同)	製 販 製 販 製 販 製 販	一 変 一 変 一 変 一 変	ウパダシニブ水和物	①②③中等症から重症の活動期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)を効能・効果とする新効能・新用量医薬品 ④中等症から重症の活動期クローン病の寛解導入療法(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・新用量医薬品	-	残余 (令和10年1月22日まで)	原体:劇薬 (指定済み) 製剤:劇薬 (指定済み)
報告	パルモディアXR錠0.2mg 同 XR錠0.4mg	興和(株)	製 販 製 販	承 認 承 認	ペマフィブラート	高脂血症(家族性を含む)を効能・効果とする新剤形医薬品	-	残余(令和7年7月2日まで)	原体:非該当 製剤:非該当

申請者	販売名	新規／一部変更
フェリング・ファーマ(株)	コレチメント錠 9 mg	新規
一般名	ブデソニド	
効能・効果	活動期潰瘍性大腸炎（重症を除く）	
用法・用量	通常、成人にはブデソニドとして 9 mg を 1 日 1 回朝経口投与する。	
申請区分	医療用医薬品（3）新投与経路医薬品	
再審査期間	4 年	
審査等経過	・承認申請（令和 4 年 6 月 23 日）	
承認条件	RMP	
その他	特になし	

概要
【対象疾患】 ・潰瘍性大腸炎（UC）は、活動期には下痢、血便、腹痛や発熱等を伴い、寛解と再燃を繰り返す炎症性腸疾患であり、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。本邦では UC に対して重症度等に応じた治療法（薬物療法、外科的治療等）が選択されている。活動期には、軽症から中等症に対しては 5-アセチルサリチル酸（5-ASA）製剤が広く用いられ、効果不十分例や重症例にはステロイド剤等が、ステロイド抵抗例ではタクロリムスや生物学的製剤、ヤヌスキナーゼ（JAK）阻害剤等が使用されている（「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】 ・本薬は、ステロイドであり、抗アレルギー作用及び抗炎症作用を示す。
【類薬】〔製剤名（一般名）〕 ブデソニド注腸剤（投与経路は異なるが、本剤と同じ有効成分で同様の効能・効果を有する） ・レクタブル 2 mg 注腸フォーム 14 回（EA ファーマ株式会社） メサラジン経口剤（同様の効能・効果を有する） ・アサコール錠 400 mg（ゼリア新薬工業株式会社） ・リアルダ錠 1200 mg（持田製薬株式会社） ・ペンタサ錠 250 mg、同錠 500 mg、同顆粒 94%（杏林製薬株式会社）
【海外の開発状況】 ・UC に係る効能・効果で 75 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
ノボ ノルディ スク ファーマ (株)	①ソグルーヤ皮下注 5 mg、同皮下注 10 mg、②同皮下注 15 mg	①一部変更 ②新規承認
一般名	ソマプシタン（遺伝子組換え）	
効能・効果	① ○成人成長ホルモン分泌不全症（重症に限る） <u>○骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症</u> ② <u>骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症</u> （下線部追加）	
用法・用量	① <u><成人成長ホルモン分泌不全症（重症に限る）></u> 通常、ソマプシタン（遺伝子組換え）として 1.5 mg を開始用量とし、週 1 回、皮下注射する。なお、開始用量は患者の状態に応じて適宜増減する。その後は、患者の臨床症状及び血清インスリン様成長因子-I（IGF-I）濃度等の検査所見に応じて適宜増減するが、最高用量は 8.0 mg とする。 <u><骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症></u> 通常、ソマプシタン（遺伝子組換え）として 0.16 mg/kg を、週 1 回、皮下注射する。 ② <u>通常、ソマプシタン（遺伝子組換え）として 0.16 mg/kg を、週 1 回、皮下注射する。</u> （下線部追加）	
申請区分	①1-（4）新効能医薬品、（6）新用量医薬品、（10 の 2）その他の医薬品（（10）の場合であって、生物製剤等の製造方法の変更に係るもの） ②1-（4）新効能医薬品、（6）新用量医薬品、（8）剤形追加に係る医薬品（再審査期間中のもの）	
再審査期間	残余（令和 11 年 1 月 21 日まで）	
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	
その他	特になし	

概要
【対象疾患】 ・ 成長ホルモン分泌不全性低身長症（以下、「小児 GHD」）は、成長ホルモン（以下、「GH」）の分泌不全を原因とする低身長症である。

- ・ 本邦における小児 GHD の患者数は、6～17 歳の学童期で 1 万人あたり男児 2.14 人、女児 0.71 人（小児慢性特定疾病情報センター、https://www.shouman.jp/disease/details/05_04_006/）。

【作用機序・特徴】

- ・ ソマプシタン（遺伝子組換え）（以下、「本薬」）は、hGH の第 101 位のロイシンがシステインに置換されたアミノ酸骨格と、長鎖脂肪酸を含むアルブミン結合部位からなり、内因性アルブミンとの可逆的な非共有結合により本薬の消失が遅延し、その結果、半減期及び作用持続時間が延長するとされる。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

hGH アナログ製剤（週 1 回皮下投与製剤）

- ・ エヌジェンラ皮下注（ソムアトロゴン（遺伝子組換え））

hGH 製剤（連日皮下投与製剤）

- ・ ジェノトロピン ゴークイック注用 5.3 mg 他（ソマトロピン（遺伝子組換え））
- ・ ノルディトロピン フレックスプロ注 5 mg 他（ソマトロピン（遺伝子組換え））
- ・ ヒューマトロープ注射用 6 mg 他（ソマトロピン（遺伝子組換え））
- ・ グロウジェクト皮下注 6 mg 他（ソマトロピン（遺伝子組換え））
- ・ ソマトロピン BS 皮下注 5 mg 「サンド」 シュアパル他（ソマトロピン（遺伝子組換え））

【海外の開発状況】

- ・ 成人成長ホルモン分泌不全症の適応に対して 2020 年 8 月に米国で、2021 年 3 月に欧州で承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
帝人ファーマ (株)	① フェブリク錠 10 mg ② フェブリク錠 20 mg、同錠 40 mg	一部変更
一般名	フェブキソスタット	
効能・効果	1. 痛風、高尿酸血症 2. がん化学療法に伴う高尿酸血症	
用法・用量	1. 痛風、高尿酸血症 <u>成人</u>：通常、成人にはフェブキソスタットとして1日10 mgより開始し、1日1回経口投与する。その後は血中尿酸値を確認しながら必要に応じて徐々に増量する。維持量は通常1日1回40 mgで、患者の状態に応じて適宜増減するが、最大投与量は1日1回60 mgとする。 <u>小児</u>：通常、小児には体重に応じてフェブキソスタットとして下記の投与量を1日1回経口投与する。 <u>体重40 kg未満</u>：通常、1日5 mgより開始し、1日1回経口投与する。その後は血中尿酸値を確認しながら必要に応じて徐々に増量する。維持量は通常1日1回20 mgで、患者の状態に応じて適宜増減するが、最大投与量は1日1回30 mgとする。 <u>体重40 kg以上</u>：通常、1日10 mgより開始し、1日1回経口投与する。その後は血中尿酸値を確認しながら必要に応じて徐々に増量する。維持量は通常1日1回40 mgで、患者の状態に応じて適宜増減するが、最大投与量は1日1回60 mgとする。 2. がん化学療法に伴う高尿酸血症 通常、成人にはフェブキソスタットとして 60 mg を 1 日 1 回経口投与する。 (下線部追加)	
申請区分	① 1- (6) 新用量医薬品、(10 の 3) その他の医薬品（再審査期間中でないもの） ② 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4年6月29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】 ・ 痛風、高尿酸血症 ・ 高尿酸血症は、血清尿酸値が 7.0 mg/dL を超える状態と定義されており、高尿酸血症が長期間持続すると関節滑膜に尿酸塩結晶が析出し、この結晶が関節腔内に剥脱し、白血球が貪食することによって痛風関節炎が生じる。血清尿酸値が高いほど関節内の尿酸塩結晶の沈着が進行しやすく、将来の痛風関節炎の発症率が高い（Am J Med 1987; 82: 421-6 等）。

- ・ JMDC データベースを用いた解析において、2016 年 4 月～2017 年 3 月にレセプト上で尿酸降下薬が処方された小児患者は 97 例（うち本剤が処方された症例は 54 例）であり、そのうち 18 例が痛風と診断された（BMC Pediatr 2021; 21: 581）。

【作用機序・特徴】

- ・ 本薬は、酸化型及び還元型キサンチンオキシダーゼを阻害することにより尿酸の合成を抑制し、血清尿酸値を低下させる。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

尿酸排泄促進薬

- ・ ユリノーム錠 25 mg、同錠 50 mg（ベンズブロマロン）
- ・ ユリス錠 0.5 mg、同錠 1 mg、同錠 2 mg（ドチヌラド）

尿酸生成抑制薬

- ・ ザイロリック錠 50、同錠 100（アロプリノール）
- ・ ウリアデック錠 20 mg、40 mg、60 mg（トピロキソスタット）

【海外の開発状況】

- ・ 成人の痛風に対して、2008 年 4 月に欧州、2009 年 2 月に米国で承認され、2023 年 2 月現在、80 以上の国又は地域で承認されているが、小児に対する用法・用量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
ユーシーबीジ ヤパン（株）	①イーケプラドライシロップ 50%、②同点滴静注 500 mg	一部変更
一般名	レベチラセタム	
効能・効果	① ○てんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む） ○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 ② ○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 ・てんかん患者の部分発作（二次性全般化発作を含む） ・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 ○てんかん重積状態	
用法・用量	① 〈部分発作（二次性全般化発作を含む）〉 成人：通常、成人にはレベチラセタムとして 1 日 1000 mg（ドライシロップとして 2 g）を 1 日 2 回に分けて用時溶解して経口投与する。なお、症状により 1 日 3000 mg（ドライシロップとして 6 g）を超えない範囲で適宜増減するが、増量は 2 週間以上の間隔をあけて 1 日用量として 1000 mg（ドライシロップとして 2 g）以下ずつ行うこと。 小児（生後 6 カ月以上）：通常、<u>生後 6 カ月 4 歳以上の小児にはレベチラセタムとして 1 日 20 mg/kg（ドライシロップとして 40 mg/kg）を 1 日 2 回に分けて用時溶解して経口投与する。なお、症状により 1 日 60 mg/kg（ドライシロップとして 120 mg/kg）を超えない範囲で適宜増減するが、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（ドライシロップとして 40 mg/kg）以下ずつ行うこと。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。</u> 小児（生後 1 カ月以上 6 カ月未満）：通常、<u>生後 1 カ月以上 6 カ月未満の小児にはレベチラセタムとして 1 日 14 mg/kg（ドライシロップとして 28 mg/kg）を 1 日 2 回に分けて用時溶解して経口投与する。なお、症状により 1 日 42 mg/kg（ドライシロップとして 84 mg/kg）を超えない範囲で適宜増減するが、増量は 2 週間以上の間隔をあけて 1 日用量として 14 mg/kg（ドライシロップとして 28 mg/kg）以下ずつ行うこと。</u> ② 〈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>[部分発作（二次性全般化発作を含む）]</u> レベチラセタムの経口投与から本剤に切り替える場合：	

	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。 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： 成人：通常、成人にはレベチラセタムとして1日1000mg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。 小児（生後6カ月以上）：通常、<u>生後6カ月4歳以上の小児</u>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。 <u>小児（生後1カ月以上6カ月未満）：通常、生後1カ月以上6カ月未満の小児にはレベチラセタムとして1日14 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。</u> 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。 成人：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。 小児（生後6カ月以上）：<u>生後6カ月4歳以上の小児</u>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。 <u>小児（生後1カ月以上6カ月未満）：生後1カ月以上6カ月未満の小児では1日最高投与量は42 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14 mg/kg以下ずつ行う。</u> （部分発作に係る用法・用量のみ記載、下線部追加、取消線部削除）
申請区分	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4年8月12日）
承認条件	RMP
その他	特になし

概要
【対象疾患】 - てんかんは、WHOにより「てんかんとは種々の原因（遺伝、外因）により起きる慢性の脳の病気であり、自発性かつ反復性の発作（てんかん発作）を主徴とし、脳波検査で発作性放電を示し、焦点部位の機能異常により多彩な発作症状を示す疾患ないし症候群である」と定義されている。部分発作は、てんかん発作のうち、脳波上の異常波及び発作症状の起始が脳の特定の部位に限局する発作である。 - 本邦のてんかん患者数は42万人と推定される（令和2年厚生労働省患者調査）。

【作用機序・特徴】

- 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、カルシウムチャネル阻害等により、抗てんかん作用を示す。

【類薬】〔製剤名（一般名）〕

部分発作に係る効能・効果を有し、4 歳未満の用法・用量が設定されている経口製剤

カルバマゼピン（テグレート錠 100 mg/200 mg、同細粒 50%他）

バルプロ酸ナトリウム（デパケン錠 100 mg/200 mg、同 R 錠 100 mg/200 mg、同細粒 20%/40%、同シロップ 5%他）

ラモトリギン（ラミクタール錠 25 mg/100 mg、同錠小児用 2 mg/5 mg 他）

トピラマート（トピナ錠 25 mg/50 mg、同細粒 10%他）

部分発作について、経口製剤の代替療法に係る効能・効果を有する静注製剤

ホスフェニトインナトリウム水和物（ホストイン静注 750 mg）

ラコサミド（ビムパット点滴静注 100 mg/200 mg）

【海外の開発状況】

- 本薬は、2022 年 5 月現在、生後 1 カ月以上 4 歳未満の部分発作に対する用法・用量を含め、欧米を含む 48 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
JCRファーマ (株)	グロウジェクト皮下注 6 mg、同皮下注 12 mg	一部変更
一般名	ソマトロピン（遺伝子組換え）	
効能・効果	骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症 骨端線閉鎖を伴わないターナー症候群における低身長 成人成長ホルモン分泌不全症（重症に限る） 骨端線閉鎖を伴わない SGA（small-for-gestational age）性低身長症 <u>骨端線閉鎖を伴わない SHOX 異常症における低身長</u> （下線部追加）	
用法・用量	＜骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症＞ 通常 1 週間に体重 kg 当たり、ソマトロピン（遺伝子組換え）として 0.175 mg を 6～7 回に分けて皮下に注射する。 ＜骨端線閉鎖を伴わないターナー症候群における低身長＞ 通常 1 週間に体重 kg 当たり、ソマトロピン（遺伝子組換え）として 0.35 mg を 6～7 回に分けて皮下に注射する。 ＜成人成長ホルモン分泌不全症（重症に限る）＞ 通常開始用量として、1 週間に体重 kg 当たり、ソマトロピン（遺伝子組換え）として 0.021 mg を 6～7 回に分けて皮下に注射する。 患者の臨床症状に応じて 1 週間に体重 kg 当たり 0.084 mg を上限として漸増し、1 週間に 6～7 回に分けて皮下に注射する。なお、投与量は臨床症状及び血清インスリン様成長因子-I（IGF-I）濃度等の検査所見に応じて適宜増減する。ただし、1 日量として 1 mg を超えないこと。 ＜骨端線閉鎖を伴わない SGA（small-for-gestational age）性低身長症＞ 通常 1 週間に体重 kg 当たり、ソマトロピン（遺伝子組換え）として 0.23 mg を 6～7 回に分けて皮下に注射する。なお、効果不十分な場合は 1 週間に体重 kg 当たり 0.47 mg まで増量し、6～7 回に分けて皮下に注射する。 <u>＜骨端線閉鎖を伴わない SHOX 異常症における低身長＞</u> <u>通常 1 週間に体重 kg 当たり、ソマトロピン（遺伝子組換え）として 0.35 mg を 6～7 回に分けて皮下に注射する。</u> （下線部追加）	
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 7 月 28 日）	
承認条件	なし	
その他	特になし	

【対象疾患】

- ・骨端線閉鎖を伴わない SHOX 異常症における低身長
- ・SHOX 異常症は、性染色体短腕擬常染色体領域上に存在し骨成長及び骨形成を制御する *SHOX* 遺伝子の機能喪失を招く変異により生じる先天性疾患である。*SHOX* 片アレルの機能喪失では、明らかな骨変形を伴わない特発性低身長症、前腕 Madelung 変形、中肢骨短縮を特徴とするレリーワイル軟骨骨異形成症等が認められ、*SHOX* 両アレルの機能喪失ではランガー型中間肢骨異形成症が認められ重度の骨変形及び低身長を伴う。
- ・低身長は一般集団の約 3% (Eur J Hum Genet 2019; 27: 1061-71)、特発性低身長症は低身長の 39.1% (Pharm Medica 1995; 13: 111-5)、SHOX 異常症は特発性低身長症の約 4%で認められるとの報告がある (J Hum Genet 2016; 61: 585-91、J Clin Endocrinol Metab 2013; 98: E1383-92)。本邦における年間の出生数を約 90 万人と仮定すると (2017 年から 2019 年の人口動態統計)、本邦における潜在的な SHOX 異常症患者は 400~450 人/年と推定される。
- ・国内では SHOX 異常症における低身長に対して、患者の負担が大きい脚延長術等の整形外科的治療法が存在するものの、承認された治療薬はない。

【作用機序・特徴】

- ・ソマトロピン (遺伝子組換え) は、天然型 hGH と同一のアミノ酸組成及び配列のポリペプチド (191 個のアミノ酸よりなる) である。

【類薬】〔製剤名 (一般名)〕

hGH 製剤 (連日皮下投与製剤)、承認効能・効果は異なる

- ・ジェノトロピン ゴークイック注用 5.3 mg 他 (ソマトロピン (遺伝子組換え))
- ・ノルディトロピン フレックスプロ注 5 mg 他 (ソマトロピン (遺伝子組換え))
- ・ヒューマトロップ注射用 6 mg 他 (ソマトロピン (遺伝子組換え))
- ・ソマトロピン BS 皮下注 5 mg 「サンド」 シュアパル他 (ソマトロピン (遺伝子組換え))

hGH 誘導体製剤 (週 1 回皮下投与製剤)、承認効能・効果は異なる

- ・ソグルーヤ皮下注 5 mg 他 (ソマプシタン (遺伝子組換え))
- ・エヌジェンラ皮下注 24 mg ペン他 (ソムアトロゴン (遺伝子組換え))

【海外の開発状況】

- ・本剤は海外において開発、承認されていないが、欧米では他の hGH 製剤が 0.35 mg/kg/週の用法・用量で SHOX 異常症における低身長に対して承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
アッヴィ（同）	①リンヴォック錠 7.5 mg、②同錠 15 mg、③同錠 30 mg、④同錠 45 mg	一部変更
一般名	ウパダシチニブ水和物	
効能・効果	①②既存治療で効果不十分な下記疾患 関節リウマチ（関節の構造的損傷の防止を含む） 関節症性乾癬 X線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎 強直性脊椎炎 アトピー性皮膚炎 中等症から重症の潰瘍性大腸炎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） <u>中等症から重症の活動期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）</u> ③既存治療で効果不十分な下記疾患 アトピー性皮膚炎 中等症から重症の潰瘍性大腸炎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） <u>中等症から重症の活動期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）</u> ④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>中等症から重症の活動期クローン病の寛解導入療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）</u> （下線部追加）	
用法・用量	①②関節リウマチ 通常、成人にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。なお、患者の状態に応じて 7.5 mg を 1 日 1 回投与することができる。 関節症性乾癬、X線基準を満たさない体軸性脊椎関節炎、強直性脊椎炎 通常、成人にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。 アトピー性皮膚炎 通常、成人にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。なお、患者の状態に応じて 30 mg を 1 日 1 回投与することができる。 通常、12 歳以上かつ体重 30 kg 以上の小児にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。 潰瘍性大腸炎	

	導入療法では、通常、成人にはウパダシチニブとして 45 mg を 1 日 1 回 8 週間経口投与する。なお、効果不十分な場合はさらに 8 週間投与することができる。維持療法では、通常、成人にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。なお、患者の状態に応じて 30 mg を 1 日 1 回投与することができる。 <u>クローン病</u> <u>導入療法では、通常、成人にはウパダシチニブとして 45 mg を 1 日 1 回 12 週間経口投与する。</u> <u>維持療法では、通常、成人にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。なお、患者の状態に応じて 30 mg を 1 日 1 回投与することができる。</u> ③アトピー性皮膚炎 通常、成人にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。なお、患者の状態に応じて 30 mg を 1 日 1 回投与することができる。 通常、12 歳以上かつ体重 30 kg 以上の小児にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。 潰瘍性大腸炎 導入療法では、通常、成人にはウパダシチニブとして 45 mg を 1 日 1 回 8 週間経口投与する。なお、効果不十分な場合はさらに 8 週間投与することができる。維持療法では、通常、成人にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。なお、患者の状態に応じて 30 mg を 1 日 1 回投与することができる。 <u>クローン病</u> <u>導入療法では、通常、成人にはウパダシチニブとして 45 mg を 1 日 1 回 12 週間経口投与する。</u> <u>維持療法では、通常、成人にはウパダシチニブとして 15 mg を 1 日 1 回経口投与する。なお、患者の状態に応じて 30 mg を 1 日 1 回投与することができる。</u> ④潰瘍性大腸炎 通常、成人にはウパダシチニブとして 45 mg を 1 日 1 回 8 週間経口投与する。なお、効果不十分な場合はさらに 8 週間投与することができる。 <u>クローン病</u> <u>通常、成人にはウパダシチニブとして 45 mg を 1 日 1 回 12 週間経口投与する。</u> (下線部追加)
申請区分	①②③④医療用医薬品 (4) 新効能医薬品 (6) 新用量医薬品
再審査期間	残余 (令和 10 年 1 月 22 日まで)
審査等経過	・承認申請 (①②③令和 4 年 8 月 10 日、④令和 5 年 4 月 4 日)

承認条件	RMP
その他	特になし

概要
【対象疾患】 - クローン病（CD）は原因不明の肉芽腫性炎症性疾患であり、主に小腸や大腸の消化管粘膜に潰瘍等が生じるが、病変は口腔から肛門までの全消化管に非連続的に発現し得る。腹痛、下痢等の消化器症状とともに、体重減少、発熱等の全身症状を呈し、再燃と寛解を繰り返すが、高度な狭窄や瘻孔、膿瘍等の合併症が生じると、高率に外科的治療が必要となる。 - 現時点で CD を完治させる治療はなく、日常診療では、病期、病型、重症度等を総合的に評価した上で、栄養療法、薬物療法、外科治療等が組み合わせも含めて検討される（「潰瘍性大腸炎・クローン病 診断基準・治療指針 令和 4 年度 改訂版（令和 5 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 4 年度分担研究報告書）。
【作用機序・特徴】 - JAK 阻害剤であり、自然免疫及び獲得免疫に関与するサイトカイン、成長因子及びケモカイン受容体の下流にあるシグナル伝達のメディエーターである JAK を阻害することで、シグナル伝達を調節する。 - 中等度から重症の CD に対する既承認薬剤はいずれも生物製剤であり、当該疾患に対する初の JAK 阻害剤である。
【類薬】〔製剤名（一般名）〕 CD 治療薬（同様の効能・効果を有する） - レミケード点滴静注用 100 とその後続品（インフリキシマブ（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）） - 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）） - ヒュミラ皮下注 40 mg シリンジ 0.4 mL 他とその後続品（アダリムマブ（遺伝子組換え）） - スキリージ点滴静注 600 mg・同皮下注 360 mg オートドーズ（リサンキズマブ（遺伝子組換え））
【海外の開発状況】 2023 年 3 月時点までに 70 以上の国又は地域で承認されている。CD に係る効能は 2023 年 3 月時点で英国のみで承認されている。

申請者	販売名	新規／一部変更
興和（株）	パルモディア XR 錠 0.2 mg、同 XR 錠 0.4 mg	新規
一般名	ペマフィブラート	
効能・効果	高脂血症(家族性を含む)	
用法・用量	通常、成人にはペマフィブラートとして1回 0.2 mg を1日1回経口投与する。 ただし、トリグリセライド高値の程度により、1回 0.4 mg を1日1回まで増量できる。	
申請区分	1- (5) 新剤形医薬品	
再審査期間	残余（令和7年7月2日迄）	
審査等経過	・承認申請（令和4年9月12日）	
承認条件	RMP	
その他	特になし	

概要
【対象疾患】 高脂血症患者数（高コレステロール血症患者を含む）は2050万人と推定される（人口推計（2019年（令和元年）10月1日現在）、令和元年国民健康・栄養調査報告）。
【作用機序・特徴】 - ペマフィブラート（以下、「本薬」）は核内受容体のペルオキシソーム増殖因子活性化受容体（以下、「PPAR」）α に結合して活性化し、脂質代謝に関わる種々の遺伝子の発現を調節することでトリグリセライド（以下、「TG」）低下作用を示す。<i>In vitro</i> 試験の結果から、本薬は既存のフィブラート系薬剤と比較して PPARα に対する親和性及び選択性が高いことが示唆されている。 - 本剤は、吸収部位での本薬の溶出速度を抑えるように設計された徐放性製剤である。
【類薬】〔製剤名（一般名）〕 フィブラート系薬剤 - リピディル錠等（フェノフィブラート）、ベザトール SR 錠（ベザフィブラート）、ビノグラックカプセル等（クロフィブラート）、リポクリン錠（クリノフィブラート） n-3 系多価不飽和脂肪酸 - ロトリガ粒状カプセル（オメガ-3 脂肪酸エチル）、エパデール EM カプセル等（イコサペント酸エチル）
【海外の開発状況】 本剤は、海外で承認されていない。なお、既存品は、シンガポール及びタイで承認されている。

議題5 希少疾病用医薬品の指定の可否について（概要）

	名称	申請者	予定される効能・効果	推計患者数
資料 5-2	Mavacamten	ブリストル・マイヤーズスク イブ株式会社	肥大型心筋症 ※指定難病	4481 人

○医療用医薬品の再審査結果について（議題 4 関係）

	販売名（一般名）	申請者	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
資 料 10-1	リオナ錠 250mg （クエン酸第二鉄水和物）	日本たばこ産 業株式会社	慢性腎臓病患者における高 リン血症の改善	平成 26 年 1 月 17 日	8 年	カテゴリー 1
資 料 10-2	ボトックス注用 50 単位 同 注用 100 単位 （A 型ボツリヌス毒素）	グラクソ・ス ミスクライン 株式会社	痙攣性発声障害	平成 30 年 5 月 25 日	4 年	カテゴリー 1

（参考）カテゴリー区分は以下の通り

カテゴリー 1：薬機法第 14 条第 2 項（承認拒否事由）第 3 号イからハまでのいずれにも該当しない

カテゴリー 2：製造販売承認事項の一部を変更すれば薬機法第 14 条第 2 項第 3 号イからハまでのいずれにも該当しない

カテゴリー 3：薬機法第 14 条第 2 項第 3 号イからハまでのいずれかに該当する