

先駆け審査指定制度の対象品目の指定の取消しについて

平成 29 年 9 月 28 日
厚生労働省医薬・生活衛生局
医薬品審査管理課

1. 対象品目

指定番号	指定日	指定を受けた 医薬品の名称	指定を受けた 申請者	指定を受けた 予定される 効能又は効果
先駆け審査 (27 薬) 第 6 号	H27. 10. 27	ペムブロリズマブ (遺伝子組換え)	MSD 株式会社	治癒切除不能な進行・再発の胃癌

2. 取消しの理由

平成 29 年 9 月 22 日付で、対象品目と同じ作用機序であるニボルマブ（遺伝子組換え）が胃癌^{※1}に対する治療薬として承認されたことから、指定要件^{※2}を満たさなくなるため。

※1) 平成 29 年 9 月 22 日に承認されたニボルマブ（遺伝子組換え）の効能・効果
「がん化学療法後に増悪した治癒切除不能な進行・再発の胃癌」

※2) 「先駆け審査指定制度の試行的実施について」医薬品審査管理課長通知（薬食審査発 0401 第 6 号平成 27 年 4 月 1 日）より抜粋

【指定の要件】

指定を受ける医薬品は、以下の 4 つのすべての要件を満たすこと。

(1) 指定要件 1：治療薬の画期性

原則として、既承認薬と異なる新作用機序であること（既承認薬と同じ作用機序であっても開発対象とする疾患への適応は初めてであるもの、革新的な薬物送達システムを用いているものなどで、その結果、有効性の大幅な改善が見込まれるものも含む。）

(2) 指定要件 2：対象疾患の重篤性

以下のいずれかの疾患に該当するものであること

- ・ 生命に重大な影響がある重篤な疾患
- ・ 根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患

(3) 指定要件 3：対象疾患に係る極めて高い有効性

既承認薬が存在しない又は既存の治療薬若しくは治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれること（著しい安全性の向上が見込まれる場合も含む）

(4) 指定要件 4：世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思

日本における早期からの開発を重視し世界に先駆けて日本で申請される（同時申請も含む）予定のものであること。なお、国内での開発が着実に進んでいることが確認できる以下のいずれか若しくは両方に該当する治療薬であることが望ましい。

- ・ First In Human (FIH) 試験が日本で行われたもの
- ・ Proof Of Concept (POC) 試験が日本で行われたもの