

# 資料 No. 3

医療用医薬品に係る先駆け審査指定制度の対象品目の指定（第2回募集）について

厚生労働省  
医薬・生活衛生局  
医薬品審査管理課

## 1. 本制度の趣旨

「先駆けパッケージ戦略」（平成26年6月17日厚生労働省取りまとめ）に基づき、患者に世界で最先端の治療薬を最も早く提供することを目的として、平成27年4月に先駆け審査指定制度の試行的運用を開始<sup>※</sup>し、PMDAの審査パートナーによる進捗管理により開発の迅速化を図るとともに、申請前評価や優先審査を活用することにより早期の薬事承認を目指している。

※医療機器、再生医療等製品については、同年7月に試行的運用を開始している。

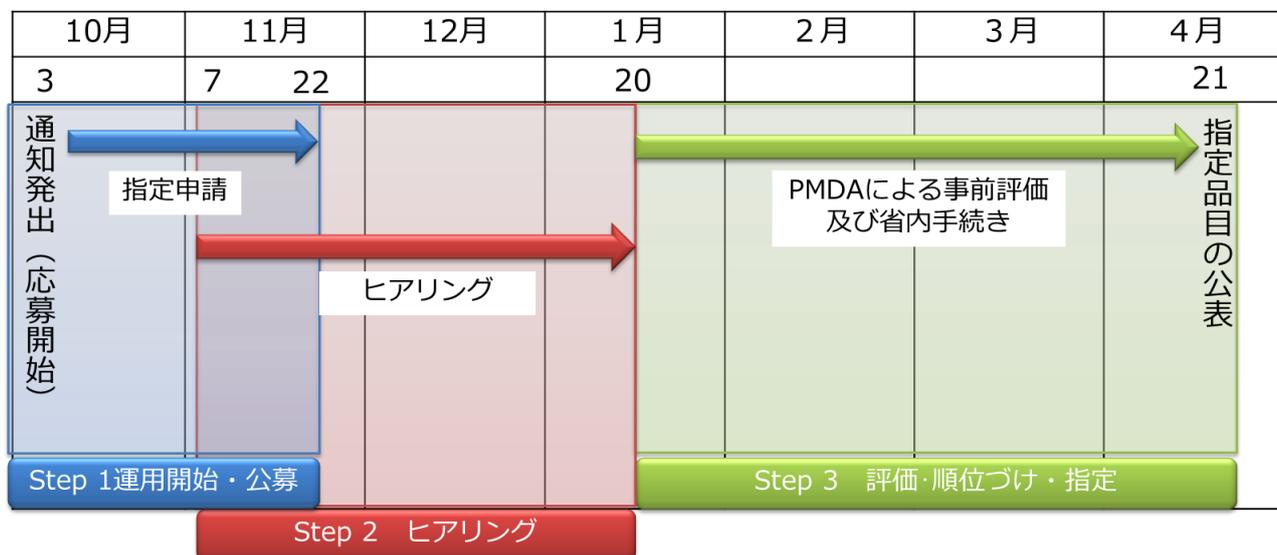
先駆け審査指定制度の対象品目は、以下のすべての指定要件を満たし、かつ、開発の進捗管理や申請前評価等を行うPMDAの人的リソースも勘案して、当該指定要件に照らして特に優れていると判断される品目を指定することとしている。

### 【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）
- ②対象疾患の重篤性（生命に重大な影響がある重篤な疾患、又は、根治療法がなく社会生活が困難な状態が継続している疾患）
- 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、既承認薬に比べて有効性の大幅な改善が見込まれること）
- ④世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思

## 2. これまでの選定審査経緯

本年4月21日に指定品目を公表した。



### 3. 指定品目

	品目名	予定効能	申請者	指定理由
1	オリプダーゼ アルファ（遺伝子組換え）	酸性スフィンゴミエリナーゼ欠乏症	サノフィ（株）	<p>① 酸性スフィンゴミエリナーゼ欠乏症に対する酵素補充療法として製造販売承認された薬剤はない。</p> <p>② 肝脾腫、間質性肺炎等が発現し、肝不全、肺炎/呼吸不全等を呈し、重篤例では小児期に死亡することがある。</p> <p>③ 海外第Ⅰ相試験とその後の継続投与試験において、肺機能及び脾臓容積等の改善効果が認められている。</p> <p>④ 国際共同第Ⅱ/Ⅲ相試験が実施中。世界で初めて承認申請を行う対象として日本が含まれる予定。</p>
2	aducanumab	アルツハイマー病の進行抑制	バイオジェン・ジャパン（株）	<p>① 既承認薬とは異なる新規作用機序。</p> <p>② 進行性の神経変性疾患であり、認知機能障害、行動障害、精神症状及び日常生活における活動障害を来す。</p> <p>③ 第Ⅰb相試験の中間解析結果では、認知機能の低下について遅延が認められ、脳内Aβの減少が認められている。</p> <p>④ 国際共同第Ⅲ相試験が実施中。世界で初めて承認申請を行う対象として日本が含まれる予定。</p>
3	DS-5141b	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（ジストロフィン遺伝子のエクソン45スキッピングにより効果が期待できる患者）	第一三共（株）	<p>① 既承認薬とは異なる新規作用機序。</p> <p>② 進行性の筋破壊と線維化が認められ、10歳前後で自立歩行不能となり、多くは20から30歳代で呼吸不全や心不全で死に至る。</p> <p>③ 非臨床試験においてジストロフィンタンパク質の発現が認められていることから、筋力低下の改善等が期待される。</p> <p>④ 国内第Ⅰ/Ⅱ相試験を実施中。世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
4	SPM-011	・再発悪性神経膠腫 ・切除不能な局所再発頭頸部癌並びに局所進行頭頸部癌（非扁平上皮癌）	ステラファーマ（株）	<p>① 医療機器として先駆け指定されたBNCTに用いる中性子発生装置（※医療機器の先駆け指定済み）とともに使用されるホウ素製剤である。</p> <p>② 生命に重大な影響がある。</p> <p>③ 悪性神経膠腫患者を対象とした国内Ⅰ相試験での1年生存率は、66.7%。頭頸部癌患者を対象とした奏効率は58%。</p> <p>④ 国内第Ⅱ相試験を実施中。世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
5	ニボルマブ（遺伝子組換え）	胆道癌	小野薬品工業（株）	<p>① 胆道癌において既承認薬とは異なる新規作用機序。</p> <p>② 生命に重大な影響がある。</p> <p>③ 胆道癌患者を対象として実施中の国内第Ⅰ相試験の中間結果から、高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 国内第Ⅰ相試験を実施中。世界で先駆けて日本で承認申請を行うか日本を含めて世界同時に承認申請を行う予定。</p>

報道関係者 各位

平成 29 年 4 月 21 日

【照会先】

医薬・生活衛生局医薬品審査管理課  
課長補佐 清原 宏真 (内線 2746)  
審査調整官 山本 剛 (内線 2740)  
(代表電話) 03(5253)1111  
(直通電話) 03(3595)2431

## 「先駆け審査指定制度」の対象品目を指定しました

～新たに 5 品目の医薬品を指定。目標審査期間を通常の半分の 6 か月に短縮～

厚生労働省は、昨年 11 月までに指定申請があった 47 品目の医薬品について評価を行い、本日付で以下の 5 品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として指定しました。

「先駆け審査指定制度」とは、平成 26 年 6 月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂 2014 を踏まえて導入したものです。

この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な新薬などについて、開発の早期段階から対象品目に指定し、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたものです。

通常の新医薬品の場合、12 か月を目標に審査を行っているところ、この制度を活用\*することで、審査期間の目標をこれまでの半分の 6 か月に短縮することが可能になります。

### 【対象品目】

医薬品の名称	予定される効能または効果	申請者の氏名または名称
オリプダーゼ アルファ (遺伝子組換え)	酸性スフィンゴミエリナーゼ欠乏症	サノフィ株式会社
aducanumab	アルツハイマー病の進行抑制	バイオジェン・ジャパン株式会社
DS-5141b	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (ジストロフィン遺伝子のエクソン 45 スキッピングにより効果が期待できる患者)	第一三共株式会社
SPM-011*	・再発悪性神経膠腫 ・切除不能な局所再発頭頸部癌並びに局所進行頭頸部癌 (非扁平上皮癌)	ステラファーマ株式会社
ニボルマブ (遺伝子組換え)	胆道癌	小野薬品工業株式会社

※平成 29 年 2 月 28 日に先駆け審査指定された「ホウ素中性子捕捉療法 (BNCT) システム」において用いられるホウ素製剤

なお、対象品目の使用に際して体外診断用医薬品が必要とされる場合には併せて対応を行います。

[参考] 先駆け審査指定制度について

\*指定制度の内容は、①優先相談 ②事前評価の充実 ③優先審査の 3 つの取組で期間の短縮を実施 ④審査パートナー制度 (独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) が実施) ⑤製造販売後の安全対策充実の 2 つの取組で、開発の促進を支援。