

医薬品の先駆け審査指定制度の対象品目一覧表

指定回数	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	承認日	製造販売承認を受けた販売名	有効成分の一般名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた効能又は効果	備考
第一回	1	H27.10.27	シロリムス (NPC-12G)	ノーベルファーマ株式会社	結節性硬化症に伴う血管線維腫	H30.3.23	ラパリムスゲル 0.2%	シロリムス	ノーベルファーマ株式会社	結節性硬化症に伴う皮膚病変	
	2	H27.10.27	NS-065/NCNP-01	日本新薬株式会社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)	R2.3.25	ビルテプソ点滴静注 250mg	ビルトラルセン	日本新薬株式会社	エクソン 53 スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー	
	3	H27.10.27	S-033188	塩野義製薬株式会社	A 型又は B 型インフルエンザウイルス感染症	H30.2.23	ゾフルーザ錠 10mg ゾフルーザ錠 20mg	バロキサビル マルボキシル	塩野義製薬株式会社	A 型又は B 型インフルエンザウイルス感染症	
	4	H27.10.27	BCX7353	株式会社オーファンパシフィック	遺伝性血管浮腫 (HAE) の患者を対象とした血管性浮腫の発作の管理	—	—	—	—	—	R1.9.30 付で (株)Integrated Development Associates より BioCryst pharmaceuticals Inc.に引継ぎ、更に R2.1.15 付で引継ぎ

指定回数	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	承認日	製造販売承認を受けた販売名	有効成分の一般名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた効能又は効果	備考
	5	H27.10.27	ASP2215	アステラス製薬株式会社	初回再発又は治療抵抗性のFLT3 遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病	H30.9.21	ゾスパタ錠 40mg	ギルテリチニブフマル酸塩	アステラス製薬株式会社	再発又は難治性のFLT3 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病	
第二回	1	H29.4.21	オリプダーゼアルファ(遺伝子組換え)	サノフィ株式会社	酸性スフィンゴミエリナーゼ欠乏症	—	—	—	—	—	
	3	H29.4.21	DS-5141b	第一三共株式会社	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)	—	—	—	—	—	
	4	H29.4.21	SPM-011*	ステラファーマ株式会社	・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)	R2.3.25(頭頸部癌)	ステボロニン点滴静注バッグ 9000mg/300mL	ボロファラン(10B)	ステラファーマ株式会社	切除不能な局所進行又は局所再発の頭頸部癌	再発悪性神経膠腫を適応疾患とする開発は、継続中。
	5	H29.4.21	ニボルマブ(遺伝子組換え)	小野薬品工業株式会社	胆道癌	—	—	—	—	—	
第三回	1	H30.3.27	RTA402	協和キリン株式会社	糖尿病性腎臓病	—	—	—	—	—	
	2	H30.3.27	JR-141	JCR ファーマ株式会社	ムコ多糖症II型(ハンター症候群)	—	—	—	—	—	

指定回数	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	承認日	製造販売承認を受けた販売名	有効成分の一般名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた効能又は効果	備考
	3	H30.3.27	タファミジス メグルミン	ファイザー 株式会社	トランスサイレチン型心アミロイドーシス (TTR-CM)	H31.3.26	ビンダケルカプセル 20mg	タファミジス メグルミン	ファイザー 株式会社	トランスサイレチン型心アミロイドーシス (野生型及び変異型)	効能又は効果の追加
	4	H30.3.27	MSC2156119J	メルクバイオ ファーマ株式 会社	MET エクソン 14 スキッピング変異を有する進行 (IIIB/IV 期) 非小細胞肺癌	R2.3.25	テプミトコ錠 250mg	テポチニブ塩 酸塩水和物	メルクバイオ ファーマ株式 会社	MET 遺伝子エクソン 14 スキッピング変異陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	
	5	H30.3.27	Trastuzumab deruxtecan	第一三共株式 会社	がん化学療法後に増悪した HER2 過剰発現が確認された治癒切除不能な進行・再発の胃癌	—	—	—	—	—	
	6	H30.3.27	Entrectinib	中外製薬株式 会社	前治療後に疾患が進行又は許容可能な標準治療がない NTRK 融合遺伝子陽性の局所進行又は遠隔転移を有する成人及び小児固形がん患者の治療	R1.6.18	ロズリートレクカ プセル 100mg、ロ ズリートレクカ プセル 200mg	エヌトレクチ ニブ	中外製薬株式 会社	NTRK 融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌	H30.9.3 付で Ignyta, Inc. より引継ぎ
第 四 回	1	H31.4.8	Valemetostat	第一三共株式 会社	再発又は難治性の末梢性 T 細胞リンパ腫	—	—	—	—	—	
	3	H31.4.8	TAK-925	武田薬品工業 株式会社	ナルコレプシー	—	—	—	—	—	

指定回数	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	承認日	製造販売承認を受けた販売名	有効成分の一般名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた効能又は効果	備考
	4	H31.4.8	ASP-1929	楽天メディカルジャパン株式会社	頭頸部癌	—	—	—	—	—	
	5	H31.4.8	E7090	エーザイ株式会社	FGFR2 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌	—	—	—	—	—	
	1	R2.6.19	CNT-01	大阪大学医学部附属病院	中性脂肪蓄積心筋血管症の症状及び予後改善	—	—	—	—	—	
第五回	2	R2.6.19	エクリズマブ (遺伝子組換え)	アレクシオン ファーマ合同会社	ギラン・バレー症候群	—	—	—	—	—	
	3	R2.6.19	M7824	グラクソ・スミスクライン株式会社	胆道癌	—	—	—	—	—	

なお、指定医薬品の使用に際して体外診断用医薬品等が必要とされる場合には併せて対応を行う。

※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。