

令和7年3月31日

【照会先】

医政局研究開発政策課治験推進室

室長 飯村 康夫（内線 4161）

室長補佐 酒井 義瑛（内線 4165）

（代表電話）03(5253)1111

（直通電話）03(3595)2430

報道関係者 各位

令和6年度厚生労働科学特別研究事業 「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」研究班の 整理結果を公表します

この度、令和6年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」（研究代表者：国立がん研究センター中央病院先端医療科 佐藤 潤 医師）における、欧米では承認されているが国内では承認されていない医薬品のうち国内開発未着手の医薬品（以下「ドラッグ・ロス品目」という。）の情報の整理結果が別添のとおり取りまとめられましたので公表します。

厚生労働省では、この整理結果を踏まえ、ドラッグ・ロスの更なる解消に向けて、「開発の必要性が特に高い医薬品」（グループA品目：14品目）について、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議を開催する予定です。同会議において、医療上の必要性が高いと評価された品目については、国内企業への開発要請等を行い、現在生じているドラッグ・ロスの解消に取り組んでまいります。

また、「開発の必要性が高い医薬品」（グループB品目：41品目）については、「未承認薬等迅速解消促進調査事業」において、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議における評価に必要な情報の整理を行い、準備ができたものから順次、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で医療上の必要性を評価することとしています。

【特別研究班による分類結果】

グループA「開発の必要性が特に高い医薬品」	: 14品目
グループB「開発の必要性が高い医薬品」	: 41品目
グループC「開発の必要性が低い医薬品」	: 11品目
グループD「開発の必要性がない医薬品」	: 12品目
その他「既にドラッグ・ロスが解消されている医薬品」	: 8品目

(別添)

- 令和6年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」におけるドラッグ・ロス品目の情報の整理結果は下記の通り。

グループA「開発の必要性が特に高い医薬品」：14品目

(国内で類薬が承認されていない、標準的治療法がない疾患に対する医薬品、又は類薬が承認されている場合は類薬の中でも臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品など、可及的速やかに開発を行うべき医薬品)

品目番号	販売名	成分名(一般名)	効能・効果	備考
1	OXLUMO (オクスルモ)	ルマンランナトリウム	原発性高シュウ酸尿症I型	類薬(Nedosiran)が開発中であり、本品目の至急の開発は不要という評価
2	DETECTNET (ディテクトネット)	銅(⁶⁴ Cu)ドータテート	神経内分泌腫瘍の診断における陽電子放射断層撮影(PET)	類薬(NETSPOT)が開発中であり、本品目の至急の開発は不要という評価
3	DOJOLVI (ドジョルビ)	トリヘプタノイン	長鎖脂肪酸酸化障害	既に国内で開発を行っている企業あり
4	ARTESUNATE (アルテスネイト)	アルテスネイト	成人および小児の重症マラリアの治療	
5	AYVAKIT (アイバキット)	アバプリチニブ	成人の切除不能または転移性の消化管間質腫瘍(GIST)で、血小板由来増殖因子受容体α(PDGFRα)エクソン18に特定の変異(D842V)を有する症例	
6	AKLIEF (アクリーフ)	トリファロテン	顔や体幹の尋常性ざ瘡	
7	GA-68-DOTATOC (ガリウム-68 ドタトック)	ガリウム(⁶⁸ Ga)エドトレオチド	陽電子放射断層撮影(PET)によるソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍造影	類薬(NETSPOT)が開発中であり、本品目の至急の開発は不要という評価
8	XENLETA	レファムリン酢酸	細菌性の市中肺炎(CABP)の治療	

	(ゼンレタ)	塩		
9	PRETOMANID (プレトマニド)	プレトマニド	多剤耐性結核	既に医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望募集において、要望提出あり
10	ZULRESSO (ズルレッソ)	ブレキサノロン	産後うつ病 (PPD)	学会からの医療ニーズに関する回答提出が遅れたため、「未承認薬等迅速解消促進調査事業」において情報を整理
11	NUZYRA (ヌジラ)	オマダサイクリン トシル酸塩	細菌性肺炎、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症	
12	OMEGAVEN (オメガヴェン)	精製魚油	非経口栄養関連胆汁うっ滞	既に医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望募集において、要望提出あり
13	NETSPOT (ネットスポット)	ガリウム (⁶⁸ Ga) ド ータテート	陽電子放射断層撮影 (PET) によるソマトスタチン受容体 陽性神経内分泌腫瘍造影	既に国内で開発を行っている企業あり
14	ANTHIM (アンシム)	オビルトキサキシ マブ	吸入炭疽の治療	

グループB「開発の必要性が高い医薬品」：41品目

(臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品ではないが選択肢として有用性が期待できる医薬品など、開発を行うべき医薬品)

品目番号	販売名	成分名(一般名)	効能・効果
15	EBANGA	アンスビマブ	ザイールエボラウイルスによる感染
16	MARGENZA	マルゲツキシマブ	HER2 乳がん
17	DANYELZA	ナキシタマブ	神経芽細胞腫
18	INMAZEB	アトルティビマブ、マフティビマブ、オデシビマブ	ザイールエボラウイルスによる感染
19	OLINVYK	オリセリジン	急性疼痛
20	LAMPIT	ニフルチモックス	シャーガス病
21	XEGLYZE	アバメタピル	アタマジラミの局所治療
22	CERIANNA	フルオロエストラジオール(¹⁸ F)	PET イメージング診断薬
23	QINLOCK	リプレチニブ	進行性消化管間質腫瘍
24	BARHEMSYS	アミスルプリド	悪心・嘔吐
25	UBRELVY	ウブロゲパント	片頭痛
26	CAPLYTA	ルマテペロントシル酸塩	統合失調症
27	EXEM FOAM KIT		超音波造影剤
28	TRIKAFTA	エレキサカフトール、テザカフトール、イバカフトール	嚢胞性線維症
29	FLUORODOPA	フルオロドパ(¹⁸ F)	PET イメージング診断薬(dopa)
30	VYLEESI	ブレメラノチド酢酸塩	性的欲求低下障害 (HSDD)
31	SUNOSI	ソルリアムフェトル	閉塞性睡眠時無呼吸症候群 (OSA)
32	EGATEN	トリクラベンダゾール	肝蛭症
33	ASPARLAS	カラスパルガーゼペゴル	急性リンパ性白血病(ALL)
34	SEYSARA	サレサイクリン塩酸塩	尋常性ざ瘡

35	XERAVA	エラバサイクリン二塩酸塩	腹腔内感染（症）
36	ANNOVERA	セゲステロン酢酸エステル、エチニルエストラジオール	避妊薬
37	YUPELRI	レベフェナシン	閉塞性肺疾患 (COPD)
38	ORILISSA	エラゴリクスナトリウム	子宮内膜症への痛み
39	ZEMDRI	プラゾマイシン硫酸塩	尿路感染症
40	LUCEMYRA	ロフェキシジン塩酸塩	オピオイド離脱症状緩和薬
41	LAMZEDE	ベルマナーゼアルファ	α -マンノシドーシス
42	SYMDEKO	テザカフトール、アイバカフトール	嚢胞性線維症
43	GIAPREZA	アンジオテンシン II	敗血症患者への血管収縮剤
44	MACRILEN	マシモレリン酢酸塩	成人成長ホルモン欠乏症の診断
45	SOLOSEC	セクニダゾール	細菌性膣炎
46	BENZNIDAZOLE	ベンズニダゾール	シャーガス病
47	VOSEVI	ソホスブビル、ベルパタスビル、ボキシラプレビル	HCV, 代償性肝硬変
48	BEVYXXA	ベトリキサバン	静脈血栓塞栓症
49	AUSTEDO	デュテトラベナジン	ハンチントン病、遅発性ジスキネジア
50	XERMELO	テロトリスタットエチプレート	カルチノイド症候群下痢
51	EMFLAZA	デフラザコート	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
52	TRULANCE	プレカナチド	慢性特発性便秘、IBS
53	EXONDYS 51	エテプリルセン	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
54	XIIDRA	リフィテグラスト	ドライアイ
55	NUPLAZID	ピマバンセリン酒石酸塩	パーキンソン病

グループC「開発の必要性が低い医薬品」：11品目

(国内に同程度又はより高い有用性を有する類薬が存在する医薬品など、開発の必要性は低い医薬品)

品目番号	販売名	成分名 (一般名)	効能・効果
56	IDEFIRIX	イムリフィダーゼ	腎臓移植に伴う脱感作
57	HEPCLUDEX	ブレビルチド酢酸塩	代償性肝疾患
58	RUKOBIA	ホステムサビルトロメタミン	HIV-1 感染症
59	VYONDYS 53	ゴロジルセン	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
60	WAYLIVRA	ボラネソルセンナトリウム	家族性高カイロミクロン血症症候群 (FCS)
61	AEMCOLO	リファマイシン	旅行者下痢
62	MOXIDECTIN	モキシデクチン	オンコセルカ症の駆虫薬
63	TROGARZO	イバリズマブ	HIV-1 感染症
64	TOOKAD	パデリポルフィン	前立腺がん
65	VABOMERE	メロペネム、バボルバクタム	尿路感染症
66	BAXDELA	デラフロキサシンメグルミン	急性細菌性皮膚感染症 (ABSSSI)

グループD「開発の必要性がない医薬品」：12品目

(国内に患者が存在しない又は国内に複数の類薬が存在する医薬品など、国内への導入は不要な医薬品)

品目番号	販売名	成分名 (一般名)	効能・効果
67	OXBRYTA	ボキセロートル	鎌状赤血球症
68	ADAKVEO	クリザンリズマブ	鎌状赤血球症による血管閉塞軽減
69	ZYNQUISTA	ソタグリフロジン	1型糖尿病
70	JEUVEAU	プラボツリヌス毒素 A-xvfs	眉間のしわ
71	LUMOXITI	モキセツモマブ パストトクス	有毛細胞白血病 (HCL)
72	DELSTRIGO	ドラビリン、ラミブジン、テノホビル ジソプロキシル	HIV-1 感染症
73	KRINTAFEL	タフェノキンコハク酸塩	マラリア
74	SEGLUROMET	エルツグリフロジン、シタグリプチン、 ハイドロクロライド	2型糖尿病
75	STEGLUJAN	エルツグリフロジン、シタグリプチン	2型糖尿病
76	DUZALLO	レシヌラド、アロプリノール	高尿酸血症
77	ACCRUFER	マルトール第二鉄	鉄欠乏症
78	ZEPATIER	エルバスビル、グラゾプレビル	HCV

その他「既にドラッグ・ロスが解消されている医薬品」：8品目

(令和6年度厚生労働科学特別研究事業の調査以前に、ドラッグ・ロスが解消されていることが判明した医薬品)

品目番号	販売名	成分名(一般名)	効能・効果	備考
79	IMCIVREE	セトメラノチド酢酸塩	POMCによる肥満症	令和6年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
80	WINLEVI	クラスコテロン	尋常性ざ瘡	令和6年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
81	TRODELVY	サシツズマブ ゴビテカン	トリプルネガティブ乳がん	令和6年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
82	QTERNMET XR	ダパグリフロジン、サキサグリプチン、メトホルミン	2型糖尿病	令和6年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前に、海外で承認が取り消されている
83	TPOXX	テコビリマット	天然痘	令和6年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
84	EPIDIOLEX	カンナビジオール	レノックス・ガトー症候群, Dravet 症候群	令和6年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前から、国内で開発を行っている企業あり
85	ZINBRYTA	ダクリズマブ	多発性硬化症	令和6年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前に、海外で承認が取り消されている
86	EPISALVAN	カバノキ皮質	皮膚創傷治療	令和6年度厚生労働科学特別研究事業における調査以前に、海外で承認が取り消されている

ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロスの実態

- 2023年3月時点において、欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品（未承認薬）は**143品目**。
- 未承認薬143品目中、**国内開発未着手の医薬品は86品目（60.1%）**あり、そもそも承認申請がなされない（＝企業が開発しない）という**ドラッグラグ・ロスが発生している**と指摘されている。
- 国内開発状況が未着手の86品目について傾向を分析したところ、**ベンチャー発の医薬品や、オーファン、小児の割合が比較的大きい**ことが分かった。

日欧米のドラッグラグ・ロスの状況

	承認済	未承認合計	未承認の内数（品目数）	
			開発中	未着手
米国	136	7	3	4
欧州	86	57	26	31
日本	0	143	57	86 (品目)

日本国内未着手の品目内訳

ベンチャー発	希少疾病用医薬品 (オーファン)	小児用医薬品
56 % (48品目)	47 % (40品目)	37 % (32品目)

※ロス86品目のうち、ベンチャー、オーファン、小児のいずれでもない品目は14品目（16%）

※出典：PMDA、FDA、EMA の各公開情報、明日の新薬（株式会社テクノミック）をもとに医薬産業政策研究所にて作成、厚生労働省にて集計

※1：2016-2020年に欧米で承認されたNMEのうち、2022年末時点で日本では承認を受けていない品目を未承認として集計

※2：2023年3月時点で開発情報のない品目を国内開発の未着手として集計

※3：欧米の承認取得年が設立から30年以内で承認取得前年の売上が5億米ドル未満の開発企業をベンチャーとして集計

※4：欧米にてオーファンドラッグ指定を承認時までには受けた品目をオーファンとして集計

※5：2022年末時点で欧米で小児適応を取得した品目を小児として集計

ドラッグロス解消に向けた取組について

欧米では承認されているが日本では承認されていない医薬品のうち、**国内開発未着手の医薬品86品目**について、**学会等からの要望を待つことなく、国が能動的に、未承認薬・適応外薬検討会議における医療上の必要性の評価のために必要な情報の整理を行う**ことで、未承認薬・適応外薬検討会議における評価、開発要請等の加速化を図る。

学会・患者会等からの
未承認薬・適応外薬の要望

従来のルート



国内開発未着手の医薬品について、国が情報を整理

新規ルート



※令和6年度厚生労働科学特別研究事業「ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築」において、医薬品のデータ整理、関連学会へニーズ調査、市場性調査、開発の優先順位付け等を実施

医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議 (医療上の必要性を判断)

企業に対して開発要請

開発企業を公募

【市場性がない場合】

開発企業の公募を行いつつ、アカデミア主導での開発を支援し、薬事承認申請に活用可能なデータを取得

※上記により企業による開発着手を後押し
※実施に当たってはAMEDによる開発支援、PMDAの薬事戦略相談等も活用

企業による治験の実施等

薬事承認申請

① 施策の目的

我が国では承認がされていない「未承認薬」について、未承認薬・適応外薬検討会議における医療上の必要性の評価のために必要な情報の整理を行い、評価・開発要請等の加速化を図ることで、ドラッグ・ロスの解消に向けて取り組む。

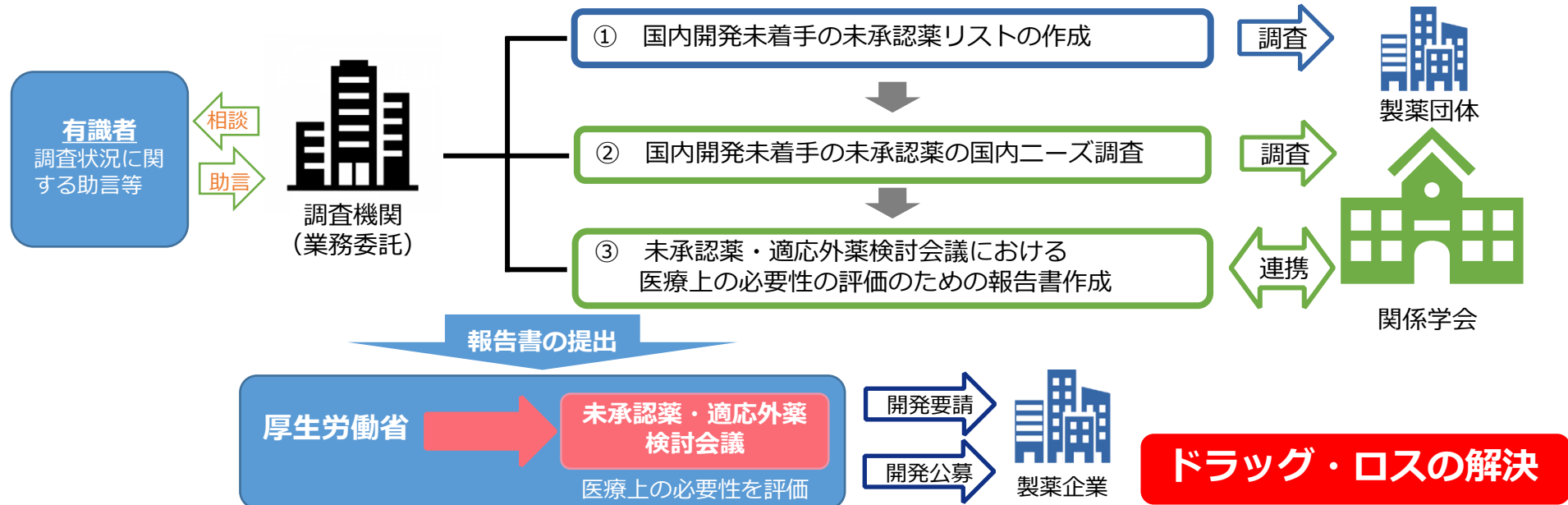
② 対策の柱との関係

I	II	III
	○	

③ 施策の概要

ドラッグ・ロス品目について、製薬団体への調査を行い、国内での開発の有無を、関係学会に調査を行い、国内の医療現場でのニーズの確認を行う。関係学会にニーズがある品目について、海外の承認状況、有効性・安全性に係るデータ等の情報収集を行い、未承認薬検討会議で医療上の必要性を評価するための報告書資料の作成を行う。

④ 施策のスキーム図、実施要件（対象、補助率等）等



⑤ 成果イメージ（経済効果、雇用の下支え・創出効果、波及プロセスを含む）

現在生じているドラッグ・ロスのうち、我が国で当該疾患の既存薬がない薬剤等について2026年度までに開発に要請・公募。