

報道関係者 各位

平成 31 年 4 月 8 日

【照会先】

医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

課長 山本 史 (内線 2733)

課長補佐 荒木 康弘 (内線 2746)

(直通電話) 03(3595)2431

医療機器審査管理課

課長 中井 清人 (内線 2911)

審査調整官 渡利 彰浩 (内線 2787)

(直通電話) 03(3595)2419

(代表電話) 03(5253)1111

「先駆け審査指定制度」の対象品目を指定しました

～新たに 11 品目を指定。画期的な製品の日本における開発を促進～

厚生労働省は、昨年 11 月までに指定申請があった医薬品 40 品目、医療機器・体外診断用医薬品 15 品目、再生医療等製品 13 品目について評価を行い、本日付けで別紙の医薬品 5 品目、医療機器・体外診断用医薬品 4 品目、再生医療等製品 2 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、新医療機器の場合、12 か月を目標に承認審査を行っているところ、この制度の指定を受けた品目については、承認審査期間の目標が半分の 6 か月になります。

○別紙：指定品目

○参考資料 1：医薬品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第四回）について

(平成 30 年 9 月 7 日付け薬生薬審発 0907 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長通知)

○参考資料 2：医療機器・体外診断用医薬品・再生医療等製品の先駆け審査指定制度の試行的実施（第四回）について

(平成 30 年 9 月 7 日付け薬生機審発 0907 第 1 号厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長通知)

○参考資料 3：先駆け審査指定制度について

(平成 26 年度第 5 回 (平成 27 年 3 月 30 日開催) 薬事・食品衛生審議会薬事分科会資料)

＜医薬品＞

申請のあった 40 品目のうち、以下の 5 品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	Valemetostat (第一三共 (株))	再発又は難治性の 末梢性 T 細胞性リ ンパ腫	<p>① 本剤は、がんの悪性形質の維持等に重要な役割を果たすと考えられているヒストンメチル化酵素である enhancer of zeste homolog (以下、「EZH」) 1 と EZH2 の両者を同時に阻害することにより腫瘍増殖抑制作用を示すと考えられている。新規の作用機序を有する。</p> <p>② 対象疾患である末梢性 T 細胞性リンパ腫は生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ これまでの臨床試験成績に基づき再発又は難治性の末梢性 T 細胞性リンパ腫患者に対して高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 第 II 相試験計画中。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	イキサゾミブク エン酸エステル (武田薬品工業 (株))	AL アミロイドーシ ス	<p>① 本剤はプロテアソーム阻害薬である。免疫グロブリン性アミロイドーシス (以下、「AL アミロイドーシス」) の効能・効果で承認されているプロテアソーム阻害薬はなく、開発対象とする疾患に適応するものは初めてであるものに該当する。</p> <p>② 対象疾患である AL アミロイドーシスは、異常形質細胞から産生される単クローン性免疫グロブリンに由来するアミロイドが臓器に蓄積する疾患。臓器の機能障害から臓器不全が引き起こされる重篤な疾患である。</p> <p>③ 国内外において、現時点で、AL アミロイドーシスの効能・効果で承認されている薬剤はない。本剤は海外臨床試験において、血液学的奏効例が認められている。</p> <p>④ 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	TAK-925 (武田薬品工業 (株))	ナルコレプシー	<p>① 本剤は、ナルコレプシーの病態形成において重要な役割を果たしていると考えられるオレキシン 2 受容体 (OX2R) の作動薬であり、新規の作用機序を有する。</p> <p>② 対象疾患であるナルコレプシーは、日中に反復して起こる過度の眠気や、覚醒していても強い感情の動きをきっかけに誘発される情動脱力発作 (カタプレキシー) が主症状であり、それらの症状により社会生活が困難な状態が継続する疾患である。</p> <p>③ 非臨床試験及び臨床試験成績に基づき、既存の治療薬と比較して高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 国内にて第 I 相試験実施中。世界で初めて承認申請を行う対象と</p>

			して日本が含まれる予定。
4	ASP-1929 (楽天メディカル ジャパン (株))	頭頸部癌	<p>① 本剤は、上皮成長因子受容体 (EGFR) を標的とした抗体医薬品であるセツキシマブ (遺伝子組換え) と、レーザー装置 (PIT690) による非熱性赤色光 (690 nm) により活性化されて物理的に細胞膜を破壊する作用を有する色素である IR700 を結合させた抗体薬物複合体。本剤を用いた光免疫療法は、新規原理に基づく治療法。</p> <p>② 対象疾患である頭頸部癌は生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ 再発頭頸部扁平上皮癌患者を対象とした海外臨床試験において完全奏効例も認められ、高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 第Ⅲ相試験実施中。世界に先駆けて日本で承認申請される予定。</p>
5	E7090 (エーザイ (株))	<i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌	<p>① 線維芽細胞増殖因子受容体 (FGFR) 1、2 及び 3 に対する阻害作用を有する薬剤。新規の作用機序を有する。</p> <p>② 対象疾患である <i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する胆道癌は生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ これまでの臨床試験成績に基づき <i>FGFR2</i> 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌患者に対して高い有効性が期待できる。</p> <p>④ 第Ⅱ相試験計画中。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>

＜医療機器＞

申請のあった13品目のうち、以下の3品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	マイクロ波マンモグラフィ（仮称）（株式会社 Integral Geometry Science）	マイクロ波により乳がんと思われる組織を同定し、医師にその情報を提供する。	<p>① 本品は、乳房内に微弱なマイクロ波を送信し、脂肪とがん組織間の比誘電率差を観測することで乳がんを検出する医療機器であり、新規原理により乳がんを検出するものであることから画期性が高い。</p> <p>② 乳がんは、進行した場合には生命予後に重篤な影響を及ぼす疾患であるため、対象疾患の重篤性は高い。</p> <p>③ 乳がんの診断に用いられているX線マンモグラフィは、高濃度乳房において乳がん検出が困難であることが指摘されている。本品は、臨床研究により高濃度乳房での乳がん検出能が示唆されていることから、検出率の向上が期待できる。</p> <p>④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請する予定である。</p>
2	下肢動脈バイパス用人工血管作製用鑄型（仮称）（バイオチューブ株式会社）	重症下肢虚血患者に対する、外科的な再建による膝下血行不全病態の改善及び自己血管再生による長期開存。	<p>① 本品は、患者の腹部皮下に「鑄型」として1, 2ヶ月間植え込むことで、バイパス術に利用できる患者自身の組織からなる管状移植体を得られる器具であり、画期性が高い。</p> <p>② 重症下肢虚血は、虚血性安静時疼痛、壊疽等を呈し、有効な血行再建ができなければ下肢の切断に至る病態である。</p> <p>③ 管状移植体は自己組織のため、免疫拒絶や毒性の懸念がない。また、世界最小径（0.6 mm）の管状移植体作製にも成功しており、透析患者への使用実績や非臨床試験結果から、対象患者に対して有効な治療法となり得ることが期待される。</p> <p>④ 多施設共同臨床試験を計画しており、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
3	リン酸化プルランバイオアドヒーズ（仮称）（BioARC 株式会社）	自家骨、同種骨（他家骨）、異種骨、人工骨あるいはこれらの混合物と混和して賦形性と接着性を向上させることにより、操作性と骨欠損部への留置性を高める。また、増量効果を有するこ	<p>① ゲル性状で適度の粘性を持ち自家骨等と混合しやすく、既存の顆粒状人工骨には無い機能（賦形性、接着性、短期吸収置換性など）を有していることから、唇顎口蓋裂治療において手術時の操作性及び患部への留置性を向上させる医療機器であり、新規性を有する。</p> <p>② 唇顎口蓋裂は、胎生期の組織欠損または癒合不全によって、口唇裂、口蓋裂および顎裂が生じる先天性疾患である。当該疾患は、摂食や発語における機能障害に加え、顔面の目立つ部位の疾患であるため、精神的苦痛にもつながる等、社会生活に影響を及ぼす疾患である。</p>

	とから、自家骨採取量を減らすことができる。	<p>③ 非臨床試験において、人工骨に本品を混合することによって、非混合の人工骨を超える高い骨造成効果が確認されている。また、自家骨採取量を減らし、小児への低侵襲性や術後管理の短期化にも寄与する。</p> <p>④ 国内での臨床試験を経て、世界に先駆けて日本で承認申請を行う予定である。</p>
--	-----------------------	---

<体外診断用医薬品>

申請のあった2品目のうち、以下の1品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	DNA チップによる膵臓・胆道癌検査キット MI-004(仮称)(東レ株式会社)	血清から抽出したRNA中のマイクロRNAの発現パターン解析(膵臓癌・胆道癌の診断の補助)	<p>① 血清中のマイクロRNAの発現量の組み合わせを数値化し、膵臓癌・胆道癌の診断フローに用いる検査システムは、世界的にも実用化された事例がなく、画期性が高い。</p> <p>② 膵臓癌は最新がん統計(2017年)において年間死亡数3.4万人、3年生存率15%と極めて予後が悪い癌であり、胆道癌もまた年間死亡数1.8万人に及ぶ難治性の癌である。</p> <p>③ 開発の過程において健康成人と膵臓癌・胆道癌患者を感度80%、特異度80%で鑑別するアルゴリズム及び閾値が得られている。また、初期の膵臓癌患者において、既存の腫瘍マーカーであるCA19-9と比較して感度が高いことが示唆されている。これらに加え、従前の腫瘍マーカー検査とは異なるプロファイルに基づくことも勘案すると、膵臓癌・胆道癌が疑われ精密検査が必要とされる患者の選択に寄与し、治療成績の向上に資することが期待できる。</p> <p>④ 国内で臨床性能試験を実施し、世界に先駆けて本邦において承認申請予定。</p>

＜再生医療等製品＞

申請のあった13品目のうち、以下の2品目を指定する。

	品目名 (申請者)	予定効能	指定理由
1	OBP-301 (テロメライシン) (オンコリスバイオファーマ(株))	切除不能、化学療法不耐容又は抵抗性の局所進行食道癌	<p>① 本品は、腫瘍溶解性アデノウイルスであり、正常細胞では増殖せず、癌細胞中で特異的に増殖し、直接細胞を破壊することで抗腫瘍効果を示す。新規作用機序を有し、画期性が高い。</p> <p>② 食道がんは、5年後生存率が低い癌種に分類される。標準治療(外科的切除・化学療法)が実施できず、放射線単独療法に限られる食道癌患者が対象であるが、放射線単独療法の治療効果は十分でない。</p> <p>③ 国内での2つの臨床研究・臨床試験(計17例)が実施されており、高い有効性を示唆する結果(本品の使用による食道局所完全奏効率70.6%)が得られた。</p> <p>④ 国内外で臨床試験を実施中であり、世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>
2	SB623 (サンバイオ(株))	外傷性脳損傷(中等度～重症)における運動障害の改善	<p>① 本品は、ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞にヒトNotch-1の細胞内領域をコードする遺伝子を挿入したプラスミドベクターを導入した細胞である。神経前駆細胞の増殖・分化、細胞外マトリックスの産生、神経細胞の成熟・樹状分枝の促進、血管新生の促進等の作用を有すると考えられており、新規作用機序を有し、画期性が高い。</p> <p>② 外傷性脳損傷患者の運動機能は発症後1年以上経過すると改善が見込めなくなることが報告されており、リハビリテーションによる対症療法は存在するが、根治療法は存在しない。</p> <p>③ 国際共同臨床試験(計61例)が実施されており、移植6ヶ月後の時点において、プラセボ群と比較して有意に運動性能の改善が認められた。</p> <p>④ 2019年中に世界に先駆けて日本で承認申請予定。</p>