

審査報告書

令和 7 年 7 月 22 日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

承認申請のあった下記の医薬品にかかる医薬品医療機器総合機構での審査結果は、以下のとおりである。

記

- [販 売 名] ①セルセプトカプセル 250、②同懸濁用散 31.8%、③ミコフェノール酸モフェチルカプセル 250 mg「VTRS」
- [一 般 名] ミコフェノール酸 モフェチル
- [申 請 者] ①②中外製薬株式会社、③ヴィアトリス・ヘルスケア合同会社
- [申請年月日] ①②令和 7 年 3 月 27 日、③令和 7 年 5 月 9 日
- [剤形・含量] ①③1 カプセル中にミコフェノール酸 モフェチルを 250 mg 含有するカプセル剤
②1 g 中にミコフェノール酸 モフェチルを 318 mg 含有する散剤
- [申 請 区 分] 医療用医薬品 (4) 新効能医薬品、(6) 新用量医薬品
- [特 記 事 項] 「薬事審議会における事前評価について」(令和 7 年 3 月 6 日付け医薬薬審発 0306 第 3 号)に基づく承認申請
「薬事・食品衛生審議会で事前評価を受けた医薬品の承認審査について」(平成 22 年 9 月 15 日付け薬食審査発 0915 第 3 号)に基づく迅速審査
- [審査担当部] 新薬審査第一部
- [審 査 結 果]

別紙のとおり、令和 7 年 3 月 6 日開催の薬事審議会医薬品第一部会における「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議 公知申請への該当性に係る報告書：ミコフェノール酸 モフェチル 難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）に対するリツキシマブ治療後の寛解維持療法」に関する事前評価及び提出された資料から、本品目の難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）に対する有効性及び安全性は確認されているものと判断する。

以上、医薬品医療機器総合機構における審査の結果、本品目については、以下の効能又は効果並びに用法及び用量で承認して差し支えないと判断した。

[効能又は効果]

○腎移植後の難治性拒絶反応の治療

（既存の治療薬が無効又は副作用等のため投与できず、難治性拒絶反応と診断された場合）

○下記の臓器移植における拒絶反応の抑制

腎移植、心移植、肝移植、肺移植、脾移植

○ループス腎炎

○造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制

○全身性強皮症に伴う間質性肺疾患

○難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）

（下線部追加）

[用法及び用量]

1. 腎移植の場合

○腎移植後の難治性拒絶反応の治療

通常、成人にはミコフェノール酸 モフェチルとして1回 1,500 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減する。

○腎移植における拒絶反応の抑制

成人：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 1,000 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とする。

小児：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 300～600 mg/m² を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

2. 心移植、肝移植、肺移植、脾移植における拒絶反応の抑制の場合

通常、成人にはミコフェノール酸 モフェチルとして1回 500～1,500 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

しかし、本剤の耐薬量及び有効量は患者によって異なるので、最適の治療効果を得るために用量の注意深い増減が必要である。

3. ループス腎炎の場合

成人：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 250～1,000 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とする。

小児：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 150～600 mg/m² を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

4. 造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制の場合

成人：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 250～1,500 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とし、1日3回食後経口投与することもできる。

小児：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 300～600 mg/m² を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

5. 全身性強皮症に伴う間質性肺疾患の場合

通常、成人にはミコフェノール酸 モフェチルとして1回250～1,000mgを1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日3,000mgを上限とする。

6. 難治性のネフローゼ症候群の場合

通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回500～600 mg/m²を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日2,000mgを上限とする。

(下線部追加)

審査報告

令和7年7月22日

本申請において、申請者が提出した資料及び医薬品医療機器総合機構における審査の概略等は、以下のとおりである。

申請品目

- [販 売 名] ①セルセプトカプセル 250、②同懸濁用散 31.8%、③ミコフェノール酸モフェチルカプセル 250 mg 「VTRS」
- [一 般 名] ミコフェノール酸 モフェチル
- [申 請 者] ①②中外製薬株式会社、③ヴィアトリス・ヘルスケア合同会社
- [申請年月日] ①②令和7年3月27日、③令和7年5月9日
- [剤形・含量] ①③1カプセル中にミコフェノール酸 モフェチルを 250 mg 含有するカプセル剤
②1 g 中にミコフェノール酸 モフェチルを 318 mg 含有する散剤

[申請時の効能・効果]

- 腎移植後の難治性拒絶反応の治療
(既存の治療薬が無効又は副作用等のため投与できず、難治性拒絶反応と診断された場合)
- 下記の臓器移植における拒絶反応の抑制
腎移植、心移植、肝移植、肺移植、膵移植
- ループス腎炎
- 造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制
- 全身性強皮症に伴う間質性肺疾患
- 難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）

(下線部追加)

[申請時の用法・用量]

1. 腎移植の場合

- 腎移植後の難治性拒絶反応の治療
通常、成人にはミコフェノール酸 モフェチルとして1回 1,500 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。
なお、年齢、症状により適宜増減する。
- 腎移植における拒絶反応の抑制
成人：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 1,000 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。
なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とする。

小児：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 300～600 mg/m²を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

2. 心移植、肝移植、肺移植、脾移植における拒絶反応の抑制の場合

通常、成人にはミコフェノール酸 モフェチルとして1回 500～1,500 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

しかし、本剤の耐薬量及び有効量は患者によって異なるので、最適の治療効果を得るために用量の注意深い増減が必要である。

3. ループス腎炎の場合

成人：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 250～1,000 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とする。

小児：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 150～600 mg/m²を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

4. 造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制の場合

成人：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 250～1,500 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とし、1日3回食後経口投与することもできる。

小児：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 300～600 mg/m²を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

5. 全身性強皮症に伴う間質性肺疾患の場合

通常、成人にはミコフェノール酸 モフェチルとして1回 250～1,000 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とする。

6. 難治性のネフローゼ症候群の場合

通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 500～600 mg/m²を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

(下線部追加)

[目 次]

1. 起原又は発見の経緯及び外国における使用状況に関する資料等	4
2. 臨床的有効性及び臨床的安全性に関する資料並びに機構における審査の概略	5
3. 機構による承認申請書に添付すべき資料に係る適合性調査結果及び機構の判断	5
4. 総合評価	5

[略語等一覧]

別記のとおり。

1. 起原又は発見の経緯及び外国における使用状況に関する資料等

ミコフェノール酸 モフェチル（本薬）は活性体であるミコフェノール酸のプロドラッグであり、ミコフェノール酸の核酸合成阻害作用によりリンパ球の増殖を抑制する免疫抑制薬である。本薬は本邦において、1999 年 9 月に腎移植後の難治性拒絶反応の治療に係る効能・効果で承認されて以降、腎移植、心移植、肝移植、肺移植及び脾移植における拒絶反応の抑制、ループス腎炎、造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制並びに全身性強皮症に伴う間質性肺疾患に係る効能・効果で承認されている。

ネフローゼ症候群 (NS) は、糸球体毛細血管障害に起因する高度蛋白尿及び低アルブミン血症の結果、血管内の水分が間質に移ることによる全身性浮腫や代償的な肝代謝亢進による高コレステロール血症等をきたす病態の総称であり、原因不明の特発性 NS と、明らかな原因疾患（遺伝子異常を含む）に由来する続発性 NS に分類される（「小児特発性ネフローゼ症候群診療ガイドライン 2020」日本小児腎臓病学会 難治性疾患政策研究事業、以下、小児特発性 NS 診療ガイドライン 2020）。小児期に発症する NS の約 90%が特発性 NS であり、そのうち約 80～90%はステロイド単独投与で一度は寛解に至るステロイド感受性 NS であり、残りの約 10～20%はステロイド単独投与では完全寛解に至らないステロイド抵抗性 NS である。ステロイド感受性 NS の約 80%は再発し、そのうち半数（小児期発症の特発性 NS の約 30～40%）は短期間に再発を繰り返す頻回再発型 NS や、ステロイド薬の減量や中止に伴い再発するステロイド依存性 NS に移行する。このような頻回再発型又はステロイド依存性 NS は、シクロスポリン、シクロホスファミド等の免疫抑制薬により治療されるが、頻回再発型又はステロイド依存性 NS のうち約 20～30%は、そのような標準的な免疫抑制薬では寛解を維持できず、難治性 NS となる。小児期発症の難治性 NS に対して、本邦ではリツキシマブ（遺伝子組換え）（以下、「リツキシマブ」）が難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型、ステロイド依存性あるいはステロイド抵抗性を示す場合）に係る効能・効果で承認されており、頻回再発型 NS 及びステロイド依存性 NS を含む難治性 NS 患者の寛解維持のために使用されているが、リツキシマブを投与しても末梢血 B 細胞の回復とともに再発する場合があります、リツキシマブ治療後の寛解を維持するための新たな治療が必要とされている。

このような状況を踏まえ、一般社団法人日本小児腎臓病学会から、本薬の難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）に係る効能追加の開発要望が提出され、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（検討会議）において医療上の必要性が高いと判断され開発要請が行われた。その後、検討会議において「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議 公知申請への該当性に係る報告書：ミコフェノール酸 モフェチル 難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）に対するリツキシマブ治療後の寛解維持療法」（公知申請の該当性報告書）が取りまとめられた。当該報告書に基づき、令和 7 年 3 月 6 日開催の薬事審議会医薬品第一部会にて事前評価が行われ、難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）に係る効能・効果及び用法・用量の追加に関して公知申請を行って差し支えないと判断された。

本申請は、「薬事審議会における事前評価について」（令和 7 年 3 月 6 日付け医薬審発 0306 第 3 号）及び「『薬事・食品衛生審議会において公知申請に関する事前評価を受けた医薬品の適応外使用について』に関する質疑応答について」（令和 4 年 11 月 29 日付け厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課及び医薬安全対策課事務連絡）に基づくものである。

なお、本審査においては、「薬事・食品衛生審議会事前評価を受けた医薬品の承認審査について」（平成 22 年 9 月 15 日付け薬食審査発 0915 第 3 号）に基づき、専門協議を実施せずに審査報告書を取りまとめた。

2. 臨床的有効性及び臨床的安全性に関する資料並びに機構における審査の概略

本申請では新たな臨床試験は実施されず、検討会議にて取りまとめられた公知申請の該当性報告書、添付文書（案）等が資料として提出された。

2.R 機構における審査の概略

2.R.1 効能・効果及び用法・用量について

機構は、令和7年3月6日開催の薬事審議会医薬品第一部会における事前評価の結果を踏まえ、申請効能・効果及び用法・用量は妥当と判断した。

2.R.2 添付文書（案）について

申請者は、本薬の添付文書（案）について、公知申請の該当性報告書や本薬の安全性プロファイル等を踏まえ、以下の点を改訂する旨を説明した。

- 警告の項において、既承認効能・効果と同様に、本薬の投与は適応疾患の治療に十分精通している医師のもとで行う旨を注意喚起すること。
- 効能・効果に関連する注意の項において、本薬は小児期に特発性 NS を発症した患者へのリツキシマブによる治療後に投与する旨、診療ガイドライン等の最新の情報を参考に、本薬の投与が適切と判断される患者に使用する旨、成人期に発症した NS 患者に対する有効性及び安全性は確立していない旨を注意喚起すること。

機構は、申請者の説明は妥当であり、本薬の添付文書を上記のように改訂することは適切と判断した。

3. 機構による承認申請書に添付すべき資料に係る適合性調査結果及び機構の判断

本申請については、「薬事審議会における事前評価について」（令和7年3月6日付け医薬薬審発 0306 第3号）に基づき、医学薬学上公知であるものとして新たに試験を実施することなく申請が行われたため、調査すべき資料はない。

4. 総合評価

令和7年3月6日開催の薬事審議会医薬品第一部会における公知申請の該当性報告書に関する事前評価及び以上の審査を踏まえ、機構は、以下の効能・効果及び用法・用量で承認して差し支えないと判断する。

[効能又は効果]

○腎移植後の難治性拒絶反応の治療

（既存の治療薬が無効又は副作用等のため投与できず、難治性拒絶反応と診断された場合）

○下記の臓器移植における拒絶反応の抑制

腎移植、心移植、肝移植、肺移植、脾移植

○ループス腎炎

○造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制

○全身性強皮症に伴う間質性肺疾患

○難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）

（下線部追加）

[用法及び用量]

1. 腎移植の場合

○腎移植後の難治性拒絶反応の治療

通常、成人にはミコフェノール酸 モフェチルとして1回 1,500 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減する。

○腎移植における拒絶反応の抑制

成人：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 1,000 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とする。

小児：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 300～600 mg/m² を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

2. 心移植、肝移植、肺移植、脾移植における拒絶反応の抑制の場合

通常、成人にはミコフェノール酸 モフェチルとして1回 500～1,500 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

しかし、本剤の耐薬量及び有効量は患者によって異なるので、最適の治療効果を得るために用量の注意深い増減が必要である。

3. ループス腎炎の場合

成人：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 250～1,000 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とする。

小児：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 150～600 mg/m² を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

4. 造血幹細胞移植における移植片対宿主病の抑制の場合

成人：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 250～1,500 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とし、1日3回食後経口投与することもできる。

小児：通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして1回 300～600 mg/m² を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 2,000 mg を上限とする。

5. 全身性強皮症に伴う間質性肺疾患の場合

通常、成人にはミコフェノール酸 モフェチルとして1回 250～1,000 mg を1日2回12時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1日 3,000 mg を上限とする。

6. 難治性のネフローゼ症候群の場合

通常、ミコフェノール酸 モフェチルとして 1 回 500～600 mg/m² を 1 日 2 回 12 時間毎に食後経口投与する。

なお、年齢、症状により適宜増減するが、1 日 2,000 mg を上限とする。

(下線部追加)

以上

[略語等一覧]

略語	英語	日本語
NS	Nephrotic syndrome	ネフローゼ症候群
リツキシマブ	Rituximab (Genetical Recombination)	リツキシマブ（遺伝子組換え）
機構	—	独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
検討会議	—	医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議
公知申請の該当性報告書	—	「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議 公知申請への該当性に係る報告書：ミコフェノール酸 モフェチル 難治性のネフローゼ症候群（頻回再発型あるいはステロイド依存性を示す場合）に対するリツキシマブ治療後の寛解維持療法」
本薬	—	ミコフェノール酸 モフェチル