

## 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 250m g	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 イン遺伝子の欠失 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	R3.1.22	オラデオカプセル 150mg	ベロトラルス タット塩酸塩	株式会社オー ファンパシフ ィック	遺伝性血管性浮腫 の急性発作の発症 抑制	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	R4.3.28	ゼンフォザイム点滴静注用 20mg	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損症	
	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 <sup>※</sup>	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。
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)	R3.3.23	イズカーゴ点滴静注用 10mg	パビナフスプアルファ(遺伝子組換え)	JCR ファーマ株式会社	ムコ多糖症II型	
	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

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	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(III B/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	R2.9.25	エンハーツ点滴静注用 100mg	トラスツズマブ デルクステカン (遺伝子組換え)	第一三共株式会社	がん化学療法後に増悪した HER2 陽性の治癒切除不能な進行・再発胃癌	効能又は効果の追加
	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	—	—	—	—	—	
	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	R2.9.25	アキラルックス点滴静注 250mg	セツシキマブ サロタロカン ナトリウム (遺伝子組換え)	楽天メディカルジャパン株式会社	切除不能な局所進行又は局所再発の頭頸部癌	

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
第五回	1	R2.6.19	CNT-01	トーアエイヨー株式会社	中性脂肪蓄積心筋血管症の症状及び予後改善	—	—	—	—	—	R3.4.15 付で 大阪大学医学部附属病院より引継ぎ

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。