令和 7 年 12 月 18 日現在

医薬品の先駆け審査指定制度の対象品目一覧表

指定回	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 250 mg	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 10 mg、同錠 20 mg	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 150 mg	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	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
第二回	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 40 mg	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	
	6	H27.10.27	ペムブロリズマブ(遺伝子組換え)	MSD 株式会社	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	－	－	－	－	－	指定取消 (H29.9.28)
	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 20 mg	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	
	2	H29.4.21	aducanumab	バイオジェン・ジャパン株式会社	アルツハイマー病の進行抑制	－	－	－	－	－	指定取消 (R1.9.19)
	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 (頭頚部癌)	ステボロニン点滴静注バッグ 9000 mg/300 mL	ボロファラン (^{10}B)	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	－	－	－	－	－	指定取消 (R5.3.24)

令和 7 年 12 月 18 日現在

指定回	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
第三回	1	H30.3.27	RTA402	協和キリン株式会社	糖尿病性腎臓病	－	－	－	－	－	指定取消 (R5.6.28)
	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 10 mg	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 20 mg	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 250 mg	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 100 mg	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 100 mg、同カプセル 200 mg	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

令和 7 年 12 月 18 日現在

指定回	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	R6.6.24	エザルミア錠 50 mg、同錠 100 mg	バレメトスタットトシル酸塩	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	
	2	H31.4.8	イキサゾミブクエン酸エステル	武田薬品工業株式会社	AL アミロイドーシス	－	－	－	－	－	指定取消 (R2.6.25)
	3	H31.4.8	TAK-925	武田薬品工業株式会社	ナルコレプシー	－	－	－	－	－	指定取消 (R7.9.16)
	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	アキャルックス点滴静注 250 mg	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	
	5	H31.4.8	E7090	エーザイ株式会	*FGFR2* 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌	－	－	－	－	－	指定取消 (R3.7.30)
第五回	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	－	－	－	－	－	R3.4.15 付で大阪大学医学部附属病院より引継ぎ。R7.12.18 付でトーアエイヨー株式会社より再度引継ぎ。

令和 7 年 12 月 18 日現在

指定回	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
	2	R2.6.19	エクリズマブ(遺伝子組み換え)	アレクシオンファーマ合同会社	ギラン・バレー症候群	－	－	－	－	－	指定取消(R5.3.24)
	3	R2.6.19	M7824	グラクソ・スミスクライン株式会社	胆道癌	－	－	－	－	－	指定取消(R3.12.24)

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。