

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 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 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 <i>FLT3</i> 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 <i>FLT3</i> 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 (頭頸部 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)

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	パピナフスプ 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

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	—	—	—	—	—	
	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	アキシャルックス点 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	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
	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。