
DRUG RE-PROFILING

製薬企業から

ノーベルファーマ株式会社
代表取締役社長 塩村 仁

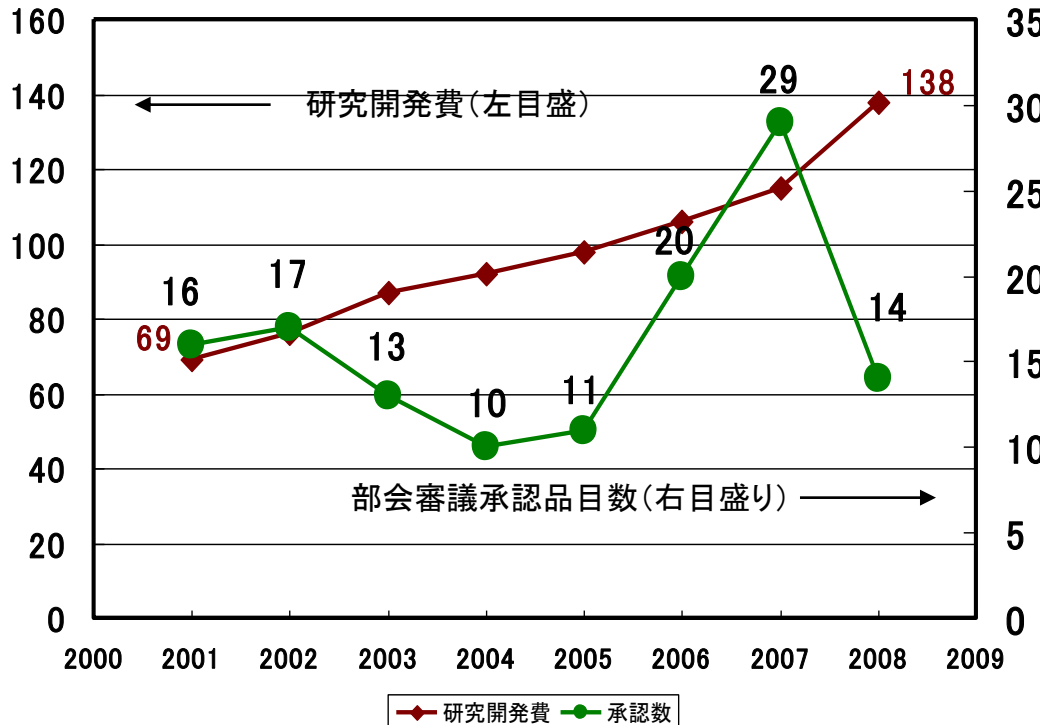
平成22年3月29日

新薬1品目の研究開発費は、約600億円

8年間の総計

(百億円)

(個)



研究開発費①	7.8兆円
承認品目数②	130
①/②	600億円

研究開発費は海外を含む
承認数は国内のみ

外資を除く34社の総計(各社決算発表及び厚労省公表資料よりノーベルファーマにて作成)

ノーベルファーマの使命

必要なのに顧みられない医薬品の提供を通して、医療に貢献する。

ある種のRe-Profiling ～ ノーベルファーマの3製品

創業6年目の2008年に3品目の新薬の認可を取得し、発売

1. ルナベル®:子宮内膜症に伴う月経困難症
(提携: ヤンセンファーマ社)
 - 我が国では経口避妊薬が適応外使用されていた
2. ノベルジン®:ウィルソン病
(提携: テバ社)
 - 亜鉛製剤
3. ノーベルバール®:新生児けいれん、てんかん重積状態
(独自開発)
 - 皮下・筋肉内注射のみ ⇒ 静注
 - 用法・用量が国際標準から乖離
 - 小児の用法・用量未設定
 - 新生児けいれんの適応未取得 ⇒ 医師主導治験

ルナベル[®]配合錠 (患者団体からの要望)

商品名	ルナベル配合錠	オーソM-21錠
成分・含量	1錠中にノルエチステロン1mg、エチニルエストラジオール0.035mgを含有	同左
効能・効果	子宮内膜症に伴う月経困難症の治療	避妊
用法・用量	「1日1錠を毎日一定時刻に21日間投与し、7日間休薬」を繰り返す	同左
承認年月	2008年4月	1999年6月
薬価	332.9円(1錠)	未収載
臨床	臨床薬理試験(31例) 第Ⅲ相比較臨床試験(計96例) 長期投与試験(123例)	オープン試験(504例)

非臨床データは、オーソM-21を使用(ライセンス)

ノーベルバル®静注用 (学会からの要望)

商品名	ノーベルバル静注用250mg	フェノバル注射液100mg
成分 ・含量	フェノバルビタールナトリウム 274 mg (フェノバルビタールとして250mg)	日本薬局方フェノバルビタール100mg
効能 ・効果	新生児けいれん、てんかん重積状態	不安緊張状態の鎮静(緊急に必要な場合) てんかんのけいれん発作 自律神経発作、精神運動発作
用法 ・用量	新生児けいれん 初回 20mg/kg静脈内投与(追加可) 維持 2.5~5mg 1日1回静脈内投与 てんかん重積状態 15~20mg/kgを1日1回静脈内投与	1回50~200mgを1日1~2回、皮下又は筋肉内注射。年齢、症状により適宜増減
承認年月	2008年10月	1948年
薬価	2,060円/瓶	80円/管
臨床	新生児けいれんに対する医師主導治験	乳幼児5名の薬物動態試験成績あり

非臨床データ及びてんかん重積状態の臨床データは、公表文献を使用

ノベルジン[®] カプセル (患者団体、学会からの要望)

成分・含量	1カプセル中 酢酸亜鉛水和物83.92mg(亜鉛として25mg) 1カプセル中 酢酸亜鉛水和物167.84mg(亜鉛として50mg)
適応症	ウィルソン病(肝レンズ核変性症)
背景	既存薬(ペニシラミン、塩酸トリエンチン)は銅の排泄促進、副作用強い 本薬は銅の吸収阻害、重篤な副作用がない、厳密な食事制限が不要 医師主導臨床試験のみで米国で承認取得(1997) 米国の臨床成績のみで欧州(2004)他計28カ国で承認、販売
開発経緯	2004.9 第Ⅲ相臨床試験を国内で開始 37例(小児17例を含む) 2008.1 国内承認

非臨床データは、米国データ(ライセンス)及び公表文献を使用

ノベルジン[®]のRe-profiling: 臨床研究 (学会からの要望)

目的	肝硬変に伴う高アンモニア血症に対する二重盲検試験 1日150mgまたはプラセボ(分3)を12週間服用
医療機関	岩手医科大学、他 計11施設
背景	硫酸亜鉛製剤の有効性を示唆する成績が数多く報告 日本では使用経験が少なく、二重盲検法による成績もない
作用機序	肝硬変で不足する亜鉛を補給し、アンモニアの代謝酵素*活性を亢進させる *オルニチントランスカルバミラーゼ、グルタミン酸合成酵素
主要評価項目	薬剤投与前後の血中アンモニア値 薬剤投与中の副作用
副次評価項目	薬剤投与前後の 血中BTR(総分枝鎖アミノ酸/チロシンモル比)、精神神経機能検査、肝性昏睡度
目標例数	50(各群25例)
登録期間	2009年9月～2010年9月

臨床研究の目的: 医療の改善と真理の探究

- 臨床研究の主な目的は医療における疾病の予防方法、診断方法及び治療方法の改善、疾病原因及び病態の理解並びに患者の生活の質の向上にあり、…(以下略)
- 被験者の個人の尊厳及び人権を守る研究者等がより円滑に臨床研究を行うことが出来るよう…(以下略)

(臨床研究に関する倫理指針前文より)

- POC
- 革新的医薬品・医療機器
- 既存薬の革新的使用方法(Re-profiling)
- 希少疾病、難病
- 市場性が期待できない、予測できない=メーカーが手掛けない
- 得られたデータは、そのままでは申請評価資料として使用不可

「臨床研究」: 申請評価資料として使用不可

	臨床研究	治験
GCP対応	なし	あり
治験届	なし	あり
品質担保 (モニタリング・DM・監査)	なし	あり

- ・臨床研究に関する倫理指針を遵守すれば、実質GCP対応。
- ・会社でなくとも治験届を出すことは、今でも可能。
- ・品質担保への対応。

「臨床研究」: 申請評価資料として使用可能?

1. (治験届)
 2. データの品質担保
 3. 倫理指針の遵守
- ⇒ 審査対象としても良いのではないか?

臨床研究、治験のダブルスタンダードは日本のみ。

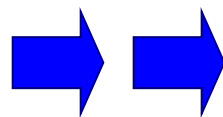
- ・治験届を臨床研究にも適用。
- ・品質担保(モニタリング、DM、監査)。

臨床研究・治験環境：「整備」から「実行」へ

(革新的医薬品・医療機器創出のための5か年戦略)

1. 疾病原因の解明、病態の理解 = 真理の探求
2. 医療技術の改善 = 成果を役立てること
 - 認可を取らなければ「役立てる」ことは、できない
 - 臨床研究の推進

臨床研究の
・予算大幅拡大
・制度見直し



Re-profiling含む
革新的医薬品創出

NCI スポンサーの臨床試験



Clinical Trials Search Results



Page Options

 [E-Mail This Search](#)

Clinical Trial Questions?

Get Help:

1-800-4-CANCER

Quick Links

[Help Using the NCI Clinical Trials Search Form](#)

[Educational Materials About Clinical Trials](#)

View Content for:

- Patients
- Health Professionals

Display:

- Title
- Description with: Locations Eligibility
- Full Trial Description
- Custom

Results 1-25 of 2141 for your search:

Trial Status: Active

Sponsor of Trial: NCI