

2015年10月28日

結節性硬化症に伴う血管線維腫治療用外用剤「シロリムス (NPC-12G)」が、厚生労働省より先駆け審査の対象品目に指定されました

昨日、厚生労働省より「先駆け審査指定制度」の対象品目が6品目発表され、そのひとつにノーベルファーマが開発中である結節性硬化症に伴う血管線維腫治療用外用剤「シロリムス (NPC-12G)」が指定されました。(先駆け審査(27薬)第1号)

結節性硬化症に伴う血管線維腫は、全身の過誤腫を特徴とする常染色体優性遺伝性疾患に特異的な皮膚病変です。重症化により鼻閉塞や易出血を引き起こし患者さんのQOL(生活の質)に著しく悪影響を及ぼす疾患と言われています。現在の治療法としてはレーザー治療や外科的切除のみで、再発が多く、色素変化や瘢痕、感染等のリスクもあります。

【先駆け審査指定制度】

わが国において最先端の治療薬を世界で最も早く提供することを目指し、①新作用機序の画期性、②対象疾患の重篤性、③極めて高い有効性、④日本において世界に先駆けて早期開発・申請する意思など一定の要件を満たす革新的な医薬品・医療機器・再生医療品等について、開発の比較的早期の段階から先駆け審査の対象品目に指定するものです。

指定された品目は、薬事承認に係る相談・審査における優先的な取扱いの対象とするとともに、承認審査のスケジュールに沿って申請者における製造体制の整備や承認後円滑に医療現場に提供するための対応が十分になされることで更なる迅速な実用化を図るものです。

審査期間についても、迅速審査の対象とすることで、通常の新医薬品の場合12ヵ月かかる審査期間を半分の6ヵ月に短縮することを目指しています。

詳細は、[厚生労働省 WEB サイト「先駆け審査指定制度」](#)をご覧ください。

添付資料：先駆け審査指定制度対象品目の指定結果通知書 (平成27年10月27日)

厚生労働省プレスリリース資料 (平成27年10月27日)

医薬品の先駆け審査指定制度の対象品目一覧表 (平成27年10月27日現在)

以上



薬生審査発 1027 第 1 号
平成 27 年 10 月 27 日

ノーベルファーマ株式会社 代表取締役社長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局審査管理課長



医薬品に係る先駆け審査指定制度対象品目の指定結果について

「先駆け審査指定制度の試行的実施について」（平成 27 年 4 月 1 日付け薬食審査発 0401 第 6 号厚生労働省医薬食品局審査管理課長通知）に基づき、本年 8 月に申請のあった下記の品目については、同通知 2. 指定の要件に照らして特に優れていると認められたことから、本日付けで先駆け審査指定制度の対象品目に指定する。

記

指定番号	医薬品の名称	予定される効能又は効果
先駆け審査 (27 薬) 第 1 号	シロリムス (NPC-12G)	結節性硬化症に伴う血管線維腫

報道関係者 各位

平成 27 年 10 月 27 日

【照会先】

医薬・生活衛生局審査管理課
課長補佐 清原 宏眞 (内線 2746)
審査調整官 廣元 健一 (内線 2740)
(代表電話) 03(5253)1111
(直通電話) 03(3595)2431

「先駆け審査指定制度」の対象品目を初めて指定しました

～ 6 品目の医薬品を指定。目標審査期間を通常の半分の 6 か月に短縮～

厚生労働省は、今年 8 月に指定申請があった 50 品目の医薬品について評価を行い、本日付で以下の 6 品目を「先駆け審査指定制度」の対象品目として初めて指定しました。

「先駆け審査指定制度」とは、平成 26 年 6 月に厚生労働省が取りまとめた「先駆けパッケージ戦略」の重点施策や、「日本再興戦略」改訂 2014 を踏まえて導入したものです。

この制度は、対象疾患の重篤性など、一定の要件を満たす画期的な新薬などについて、開発の早期段階から対象品目に指定し、薬事承認に関する相談・審査で優先的な取扱いをすることで、承認審査の期間を短縮することを目的としたものです。

通常の新医薬品の場合、12 か月を目標に審査を行っているところ、この制度を活用*することで、審査期間の目標をこれまでの半分の 6 か月に短縮することが可能になります。

【対象品目】

医薬品の名称	予定される効能または効能	申請者の氏名または名称
シロリムス (NPC-12G)	結節性硬化症に伴う血管線維腫	ノーベルファーマ株式会社
NS-065/NCNP-01	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)	日本新薬株式会社
S-033188	A 型または B 型インフルエンザウイルス感染症	塩野義製薬株式会社
BCX7353	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	株式会社 Integrated Development Associates
ASP2215	初回再発または治療抵抗性の FLT3 遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病	アステラス製薬株式会社
ペムプロリズマブ (遺伝子組換え)	治癒切除不能な進行・再発の胃癌	MSD 株式会社

※指定医薬品の使用に際して体外診断用医薬品が必要とされる場合には併せて対応を行う。

[参考] 先駆け審査指定制度について

* 指定制度の内容は、①優先相談 ②事前評価の充実 ③優先審査の 3 つの取組で期間の短縮を実施 ④審査パートナー制度 (独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (PMDA) が実施) ⑤製造販売後の安全対策充実の 2 つの取組で、開発の促進を支援。

医薬品の先駆け審査指定制度の対象品目一覧表

指定番号	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
先駆け審査(27薬) 第1号	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	—	—	—	—	—	
先駆け審査(27薬) 第2号	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)	—	—	—	—	—	
先駆け審査(27薬) 第3号	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	—	—	—	—	—	
先駆け審査(27薬) 第4号	H27.10.27	BCX7353	株式会社 Integrated Development Associates	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	—	—	—	—	—	
先駆け審査(27薬) 第5号	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	—	—	—	—	—	
先駆け審査(27薬) 第6号	H27.10.27	ペムプロリズ 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27年10月27日現在)