



## 医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議での検討結果を受けて 開発企業の募集又は開発要請を行った医薬品のリスト

- 下表の医薬品については、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議で医療上の必要性が高いという評価を得て、開発企業の募集又は企業に開発要請を行った医薬品のリストです。
- 開発企業の募集又は開発要請の取扱いについては、「開発要請先の指定の考え方について」に基づいて決定しています。

### 1. 開発企業を募集する医薬品

- 下表の医薬品は、国内で開発を行う企業等を募集するものです。
- 下表の医薬品について、開発を検討する企業等は、厚生労働省医政局研究開発振興課(03-5253-1111(内線4163))までご相談ください。

No.	医薬品名	対象疾病	開発の意思の申し出があった企業	海外承認国	国内状況
1	亜セレン酸ナトリウム	セレン欠乏症により生じる重篤な視力障害、神経障害、心筋障害、毛髪変化の改善		米国	未承認薬
2	コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	吸入用製剤の剤形追加、 <u>肺炎球菌肺炎</u> の気道感染症		英国 独 国 仏国	適応外薬 (剤形追加も 含む)
3	デキサメタゾン	4mg錠の剤形追加、抗悪性腫瘍剤(シスプラチンなど)投与に伴う消化器症状(悪心・嘔吐)		米国 英国 独 国 仏国	適応外薬 (剤形追加も 含む)
4	メロニダゾール	静注剤の剤形追加、嫌気性菌感染症、アメーバ赤痢		米国 英国 独 国 仏国	適応外薬 (剤形追加も 含む)
5	リロナセプト	12歳以上のクリオピリン関連周期熱症候群(cryopyrin-associated periodic syndrome, CAPS)の中の、家族性寒冷蕁麻疹症(familial cold autoinflammatory syndrome, FCAS)およびMuckle-Wells 症候群(MWS)における炎症症状の軽減		米国	未承認薬
6	3,4-ジアミノピリジン	Lambert-Eaton筋無力症候群による筋力低下の改善		英国 独 国 仏国	未承認薬
7	コリスチンメタンスルホン酸ナトリウム塩	注射剤の剤形追加 <適応菌種>多剤耐性緑膿菌(MDRP)、多剤耐性アシネトバクター属、その他の多剤耐性グラム陰性菌 <適応症>多剤耐性グラム陰性菌による各種感染症	あり(グラクソ・スミスクライン(株))	米国 英国 独 国 仏国	適応外薬 (剤形追加も 含む)
8	フェニル酪酸ナトリウム	尿素サイクル異常症	あり(シミック(株))	米国 英国 独 国 仏国	未承認薬
9	プロゲステロン	経腔剤の剤形追加、体外受精-胚移植(IVF-ET)の際の黄体補充	あり(富士製薬工業(株))	仏国	適応外薬 (剤形追加も 含む)
10	プロゲステロン	経口剤の剤形追加、子宮非摘出閉経女性におけるホルモン補充療法(HRT)の補助	あり(富士製薬工業(株))	米国 英国 独 国 仏国	適応外薬 (剤形追加も 含む)

11	ベタイン	ホモシスチン尿症	あり(企業名未公表)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
12	アルデスロイキン	悪性黒色腫	あり(企業名未公表)	米国	未承認薬
13	メチレンブルー	薬剤性のメヘモグロビン血症	あり(企業名未公表)	米国	未承認薬
14	カルグルミック酸	N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症	あり(企業名未公表)	英国 独国 仏国	未承認薬
15	ニチシノン	チロシン血症Ⅰ型	あり(企業名未公表)	米国 英国 独国 仏国	
16	デクスラゾキサ	アントラサイクリン系薬剤静脈内投与による血管外漏出	あり(企業名未公表)	米国 英国	未承認薬
17	ホメピゾール	エチレングリコール中毒、及びメタノール中毒の治療	あり(企業名未公表)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
18	安息香酸ナトリウム・ フェニル酢酸ナトリウム 配合剤	尿素サイクル異常症患者における急性発作時の血中アンモニア濃度の低下	あり(企業名未公表)	米国	未承認薬

## 2. 企業に開発の要請を行った医薬

○ 下表の医薬品については、企業に開発の要請を行ったものです。

○ 平成22年2月時点の開発の状況については、第3回検討会議の配布資料をご覧ください。最新の開発の状況については、各企業にお問い合わせください。提供できる情報の範囲や内容は、個々の医薬品により異なることをご承知おきください。

No.	医薬品名	対象疾病	企業名	海外承認国	国内状況
1	3-ヨードベンジルグアニジン(123I)	褐色細胞腫の診断	富士フイルムRIファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
2	5-アミノレプリン酸塩酸塩	悪性神経膠腫(WHOグレードⅢ及びⅣ)に対する手術における悪性組織の視覚化	ノーベルファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
3	A型ボツリヌス毒素	腋窩多汗症	グラクソ・スミスクライン(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
4	Ca-DTPA	放射性金属(アメリシウム、プルトニウム、キュリウム、カリホルニウム、バークリウム)中毒の長期治療 プルトニウム、アメリシウム、キュリウム体内汚染が判明した、またはその疑いのある患者の汚染物質の排泄の促進	日本メジフィジックス(株)	米国 独国	未承認薬
5	Ioflupane I123 Injection	臨床的に診断が確定しないパーキンソン症候群(PS)患者において、特発性パーキンソン病に関連するPS、多系統萎縮症、及び進行性核上麻痺と本態性振戦(ET)の鑑別診断	日本メジフィジックス(株)	英国 独国 仏国	未承認薬
6	Zn-DTPA	放射性金属(アメリシウム、プルトニウム、キュリウム、カリホルニウム、バークリウム)中毒の長期治療 プルトニウム、アメリシウム、キュリウム体内汚染が判明した、またはその疑いのある患者の汚染物質の排泄の促進	日本メジフィジックス(株)	米国 独国	未承認薬
7	アカンプロセート	アルコール依存症患者における抗酒療法	日本新薬(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
8	アザシチジン	骨髄異形成症候群	日本新薬(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
9	アザチオプリン	ステロイド治療抵抗性全身性エリテマトーデス	グラクソ・スミスクライン(株) 田辺三菱製薬(株)	英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
10	アザチオプリン	顕微鏡的多発血管炎及びWegener肉芽腫症	グラクソ・スミスクライン(株) 田辺三菱製薬(株)	英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
11	アトバコン	ニューモシスチス肺炎の治療、予防	グラクソ・スミスクライン(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
12	アトモキセチン塩酸塩	成人期(18歳以上)における注意欠陥/多動性障害(AD/HD)	日本イーライリリー(株)	米国	適応外薬 (剤形追加も含む)
13	アナグレリド	本態性血小板血症(ET)の治療	シャイアー日本代表事務所	米国 英国 独国 仏国	未承認薬

14	アミオダロン	心不全を伴う心房細動の洞調律化と洞調律維持	サノフィ・アベンティス(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
15	アムロジピン ベシル酸	小児高血圧症	大日本住友製薬(株) ファイザー(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬 適応外薬 (剤形追加も含む)
16	イロprost	肺動脈性肺高血圧症	バイエル薬品(株)	米国 英国	未承認薬
17	インジウム(111In)ペンテトレオチド	シンチグラフィによるソマトスタチン受容体を有する原発性及び転移性の神経内分泌腫瘍の診断	コヴィディエンジャパン(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
18	インターフェロン $\alpha$ -2b	悪性黒色腫	シエリング・ブ라우(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
19	インドシアニングリーン	脳主幹動脈の血流状態観察(赤外線照射時の蛍光測定による)	第一三共(株)	英国 独国	適応外薬 (剤形追加も含む)
20	エタンプトール塩酸塩	非結核性抗酸菌および非結核性抗酸菌症	科研製薬(株) ザンド(株)	独国	適応外薬 (剤形追加も含む)
21	エナラプリル マレイン酸塩	小児高血圧	萬有製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
22	エプタコグ アルファ(活性型)(遺伝子組換え)	血小板膜蛋白GP IIb-IIIa 或いは HLAI に対して抗体を保有するため、血小板輸血に対する治療効果が見込めないگرانツマン血小板無力症患者の出血抑制	ノボ ノルディスクファーマ(株)	英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
23	エプレレノン	心筋梗塞後の心不全	ファイザー(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
24	エルロチニブ	局所進行膵臓癌、転移性膵臓癌	中外製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
25	オクスカルバゼピン	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない小児の部分発作の併用療法	ノバルティスファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
26	カナキマブ	クリオピリン関連周期熱症候群(cryopyrin-associated periodic syndrome、CAPS)の中の、家族性寒冷蕁麻疹症(familial cold autoinflammatory syndrome、FCAS)およびMuckle-Wells 症候群(MWS)の炎症症状の軽減	ノバルティスファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
27	ガバベンチン	てんかん部分発作の小児適応の追加	ファイザー(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
28	カフェインクエン酸塩	早産児無呼吸発作(在胎28~34週)の短期治療	日本ベーリンガー・インゲルハイム(株)	米国	未承認薬
29	カベシタピン	切除不能進行・再発胃癌	中外製薬(株)	英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)

30	ガラタミン	軽度から中等度のアルツハイマー型認知症	ヤンセンファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
31	カルムスチン脳内留置用製剤	悪性神経膠腫	ノーベルファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
32	グラチラマー酢酸塩	多発性硬化症の再発予防	テバ・ファーマスーティカル(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
33	経口リン酸塩製剤	原発性低リン血症性クurl病、Fanconi症候群、低リン血症	ゼリア新薬工業(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
34	ゲムシタピン塩酸塩	卵巣癌	日本イーライリリー(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
35	抗D(Rho)人免疫グロブリン	Rh(D)陰性の妊婦及び女性に対し、以下の場合に投与することにより、母体血液中での抗D(Rho)抗体の産生を抑制し、血液型不適合の成立を抑制。 ①妊娠 28 週前後 ②検査・処置後(羊水検査、臍帯血検査、児頭外回転の実施) ③流産後、子宮外妊娠後、子宮内胎児死亡後	日本製薬(株) ベネシス(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
36	サリドマイド	らい性結節性紅斑(ENL)	藤本製薬(株)	米国	適応外薬(剤形追加も含む)
37	シクロホスファミド経口剤・静注剤	全身性血管炎の寛解導入効果	塩野義製薬(株)	独国	適応外薬(剤形追加も含む)
38	シクロホスファミド経口剤・静注剤	全身性エリテマトーデスの難治性病態の寛解導入効果	塩野義製薬(株)	独国	適応外薬(剤形追加も含む)
39	シクロホスファミド静注剤	多発性血管炎、Wegener肉芽腫症	塩野義製薬(株)	独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
40	システアミン	シスチノーシス(システイン蓄積症)	マイラン製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
41	髄膜炎菌(グループA、C、Y and W-135)多糖体ジフテリアトキソイド結合体	N. meningitidis serogroups A、C、Y and W-135 による侵襲性の髄膜炎菌感染症の予防(2歳から55歳)	サノフィ・アベンティス(株)	米国	未承認薬
42	ステリベントール	乳児重症ミオクロニーてんかん	明治製薬(株)	英国 独国 仏国	未承認薬
43	ストレプトゾシン	転移を有する悪性膵内分泌腫瘍・神経内分泌腫瘍・カルチノイド腫瘍	ノーベルファーマ(株)	米国	未承認薬
44	セツキシマブ	局所進行及び再発・転移性頭頸部扁平上皮癌	メルクセローノ(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
45	タルク	悪性胸水の再貯留抑制	ノーベルファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬

46	チフス菌Vi多糖体抗原ワクチン	成人及び2歳以上の小児の腸チフスの感染予防	サノフィ・アベンティス(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
47	デスモプレシン酢酸塩経口剤	経口剤の剤形追加、 <u>中枢性尿崩症</u>	フェリング・ファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
48	デニロイキン ディフティトックス	悪性細胞がインターロイキン2受容体の構成要素CD25を発現している、持続性もしくは再発性の皮膚T細胞リンパ腫	TSD Japan(株)	米国	未承認薬
49	ドキソルビシン塩酸塩リポソーム注射剤	多発性骨髄腫	ヤンセンファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
50	ドセタキセル	局所進行頭頸部扁平上皮癌患者に対する導入化学療法としてタキソテールとシスプラチン、フルオロウラシルの併用、乳癌の用法用量の75mg/m <sup>2</sup> への増大	サノフィ・アベンティス(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
51	トピラマート	2-16歳の小児における部分発作に対する併用療法	協和発酵キリン(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
52	トブラマイシン	吸入用製剤の剤形追加 <u>膜嚢胞線維症患者の緑膿菌気道感染症の治療</u>	ノバルティスファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
53	トラマドール塩酸塩	経口剤の剤形追加、 <u>線維筋痛症</u>	日本新薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
54	トラマドール塩酸塩	経口徐放剤の剤形追加、慢性疼痛	日本臓器製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
55	ドルナーゼ アルファ	<u>膜嚢胞線維症患者の喀痰排泄促進作用および呼吸機能の改善</u>	中外製薬(株)	米国	未承認薬
56	トルバプタン	心性浮腫	大塚製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
57	トレプロスチニル	<u>肺動脈性肺高血圧症</u>	持田製薬(株)	米国 独国	未承認薬
58	ナタリズマブ	<u>多発性硬化症</u>	バイオジェン・アイデック・ジャパン(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
59	ノギテカン	再発卵巣癌	日本化薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬(剤形追加も含む)
60	バルサルタン	6~16歳の小児高血圧症 ※「細粒やシロップなどの小児用製剤の追加」については、ノバルティスファーマ(株)からの特段の意見により開発要請を保留している。	ノバルティスファーマ(株)	米国	適応外薬(剤形追加も含む)

61	バルプロ酸ナトリウム	片頭痛の予防	協和発酵キリン(株)	米国	適応外薬 (剤形追加も含む)
62	パンクレアチン	膵臓胞線維症患者の脂肪吸収および栄養状態の改善	アボット製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
63	ピソプロロールフマル酸塩	慢性心不全	田辺三菱製薬(株)	英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
64	ヒトチロトロピンアルファ	分化型甲状腺癌で甲状腺全摘または準全摘を施行された患者における残存甲状腺組織の放射性ヨウ素によるアブレーション(甲状腺機能廃絶)を受ける際の補助	佐藤製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
65	人免疫グロブリンG	原発性免疫不全症(PID)	CSLベーリング(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
66	ピンプラスチン硫酸塩	ランゲルハンス細胞組織球症(LCH)	日本化薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
67	フルコナゾール経口剤・ 静注剤	小児用経口混濁液の剤形追加 小児の用法・用量の追加	ファイザー(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
68	フルベストラント	閉経後進行・再発乳癌	アストラゼネカ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
69	プレガバリン	歯科治療後神経因性疼痛	ファイザー(株)	英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
70	プロプラノロール塩酸塩	片頭痛における頭痛発作の予防	大日本住友製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
71	ベバシズマブ	転移性乳癌	中外製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
72	ベラパミル塩酸塩	上室性の頻脈性不整脈の小児適応の追加	エーザイ(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
73	ホスフェニトインナトリウム水和物	てんかん重積状態、脳外科手術前・術中・術後及び頭部外傷後にけいれん発作の出現が濃厚に疑われる場合、並びに経口フェニトイン製剤の投与が不可能又は不適切な場合の代替	ノーベルファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
74	ポリコナゾール	小児の用法・用量の追加	ファイザー(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)

75	ボリノスタット	皮膚T細胞リンパ腫	萬有製薬(株)	米国	未承認薬
76	ボルテゾミブ	マンデル細胞リンパ腫	ヤンセンファーマ(株)	米国	適応外薬 (剤形追加も含む)
77	ミグルスタット	小児例から成人例のNiemann-Pick病C型(ニーマン・ピック病C型)及び酵素補充療法が有効ではないまたは継続できない成人のGaucher病I型(ゴーシェ病I型)	アクテリオン ファーマシュー ティカルズジャパ ン(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
78	メチルプレドニゾンコ ハク酸エステルナトリウ ム	ネフローゼ症候群	ファイザー(株)	米国	適応外薬 (剤形追加も含む)
79	メロニダゾール経口剤	嫌気性菌、アメーバ赤痢、ランブル鞭毛虫感染症 ※「クロストリディウム・ディフィシル関連腸炎」については、塩野義製薬(株)からの特段の意見により開発要請を保留している。	塩野義製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
80	メロニダゾール経口 剤、経腔剤	流産・早産、産褥子宮内膜炎、帝王切開後感染症の原因となる細菌性膣症の治療	塩野義製薬(株)	米国 英国	適応外薬 (剤形追加も含む)
81	メナテレノン	新生児・乳児ビタミンK欠乏性出血症に対する予防	サンノーバ(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
82	メマンチン	中等度から高度のアルツハイマー型認知症	第一三共(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
83	リシノプリル	6-16歳の小児高血圧症	アストラゼネカ (株) 塩野義製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
84	リバスチグミン	軽度及び中等度のアルツハイマー型認知症	ノバルティス ファーマ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
85	リファンピシン	非結核性抗酸菌および非結核性抗酸菌症	サンド(株) 第一三共(株)	英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
86	リュープロレリン酢酸塩	中枢性思春期早発症、最大投与量を90μg/kg/4週から180μg/kg/4週に変更する(皮下投与)	武田薬品工業 (株)	米国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
87	ルフィナマイド	レノックス・ガストー症候群(4歳以上)に伴う発作に対する併用療法	エーザイ(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬
88	レナリドミド	5q欠損染色体異常を伴う低または中等度リスク骨髄異形成症候群	セルジーン(株)	米国	未承認薬
89	レベチラセタム	①4歳児以上の小児てんかん患者における部分発作に対する併用療法 ②6歳以上の特発性全般てんかん患者における強直間代発作に対する併用療法	ユーシービー ジャパン(株)	米国 英国 独国 仏国	未承認薬



90	レボカルニチン塩化物	液剤の剤形追加、錠剤・液剤での一次性カルニチン欠乏症およびその他の二次性カルニチン欠乏症 ※ 注射剤の剤形追加については、開発企業の募集対象であるが、大塚製薬(株)から開発の申し出があった。	大塚製薬(株)	米国 英国 独国 仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)
91	ワルファリンカリウム	小児適応の追加	エーザイ(株)	仏国	適応外薬 (剤形追加も含む)

※ エノキサバリンナトリウムの「急性冠症候群におけるPCI施行時に使用」については、サノフィ・アベンティス(株)からの特段の意見の提出により、開発の要請を保留しています。

照会先  
厚生労働省医薬食品局審査管理課  
厚生労働省医政局研究開発振興課  
TEL 03-5253-1111(内線4221)

**【注意】**

事務局(健康局疾病対策課)において、平成22年度臨床調査研究分野と関連する可能性がある疾病名を2重下線、平成22年度研究奨励分野と関連する可能性がある疾病名を下線で原資料に追記した。

海外承認国および国内状況については、第3回及び第4回「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」の資料を元に引用・改変を行い、原資料に追記した。

# 検討会議における検討の進め方

資料1

