

推薦目的

アンメットメディカルニーズ調査結果からも未だに治療薬のない疾患がある旨の回答が数多くあったため、企業治験、医師主導治験等による医薬品開発を推進するために開発の候補医薬品の推薦を依頼した。

推薦依頼先

日本医学会分科会（臨床部会）
令和3年10月8日から令和4年1月31日

推薦受付

確認事項

- ・推薦学会情報
- ・開発候補医薬品の情報（対象疾患患者数、国内外承認の有無等）
- ・推薦理由（対象疾患の病因、患者ニーズ、病態の概要、既存治療法の現状と開発状況等）

＜開発候補医薬品リスト＞

	一般名 / 商品名(企業名)	対象疾患	推薦学会	対象患者数	国内承認	海外承認
1	アスタチン化ナトリウム注射液 ([211At]NaAt)	分化型甲状腺癌	日本核医学会/日本医学放射線学会	約 1,500 人	なし	なし
2	Recombinant Human Bone Morphogenetic Protein-2 (rhBMP-2、骨形成タンパク質、INN:nebوترimin)	腰椎変性疾患(腰椎変性すべり症／分離すべり症、腰部脊柱管狭窄症、腰椎椎間板ヘルニアなど)など	日本脊椎脊髄病学会	約2.5万人	なし	あり
3	At-211 MABG (meta-At-211-astatobenzylguanidine) 治療薬	悪性褐色細胞腫・パラガングリオーマ	日本核医学会/日本医学放射線学会	約 320人	なし	なし
4	生体外増幅末梢血単核球	血管炎による虚血性難治性潰瘍	日本再生医療学会	約 3400人	なし	なし
5	レダセムチド	①表皮水疱症、②肝硬変、③脳梗塞(急性期)、④変形性膝関節症	日本再生医療学会	①表皮水疱症 約 800人 ②肝硬変 約 40万人 ③脳梗塞(急性期) 約 20万人 ④変形性膝関節症 約 800人	なし	なし
6	イミキモド(5%イミキモドクリーム)	腔上皮内腫瘍(VAIN)／外陰上皮内腫瘍(VIN)	日本婦人科腫瘍学会	VAIN 約150人/ VIN 約 3000人(年間罹患者数)	あり ベセルナ	あり
7	ベバスズマブ(遺伝子組換え)	悪性胸膜中皮腫	日本肺癌学会	約2,000人	あり アバスチン	あり
8	ミソプロストール	妊娠12週未満の稽留流産・薬剤中絶、不全流産の治療	日本周産期・新生児医学会	約12万人	あり	あり
9	タゼメスタット臭化水素酸	類上皮肉腫	日本臨床腫瘍学会	15-20人	あり	あり
10	トラスツズマブ デルクステカン	子宮癌肉腫	日本臨床腫瘍学会	約 200人	あり エンハーツ	あり
11	オキサリプラチン	食道癌	日本臨床腫瘍学会	約 10000 人	あり	あり
12	リツキシマブ(遺伝子組換え)	抗NMDA受容体脳炎	日本小児科学会	約300人/年	あり (リツキサン)	あり
13	Suramin	自閉スペクトラム症	日本小児科学会	約27万人	なし	なし
14	トイソブレナリン塩酸塩	気管支喘息(重症発作)	日本小児科学会	約600万人	あり (プロタノール)	あり
15	イバプラジン塩酸塩	慢性心不全	日本小児科学会	約500人	あり (コララン)成人のみ	あり
16	免疫グロブリン製剤	IgA血管炎	日本小児科学会	約800人/年	あり (献血ベニロンー)	あり
17	Favipiravir(ファビピラビル)	重症熱性血小板減少症候群 (SFTS)	日本感染症学会	約 75人/年	あり アビ	あり
18	ルキシロチニブ	慢性活動性EBウイルス感染症	日本血液学会	約100人	あり ジャカビ	あり
19	ベムラフェニブ (中外製薬株式会社)	ランゲルハンス細胞組織球症 (LCH)	日本血液学会	約15人	あり ゼルボラフ	あり
20	ダブラフェニブ (ノバルティスファーマ株式会社)	ランゲルハンス細胞組織球症 (LCH)	日本血液学会	約15人	あり ゼルボラフ	あり
21	A型ボツリヌス毒素	輪状咽頭嚥下困難症	日本耳鼻咽喉科頭頸部学会 (日本嚥下医学会)		あり ボトックス	あり
22	ゲムシタピン塩酸塩	上咽頭癌	日本耳鼻咽喉科頭頸部学会 (日本頭頸部癌学会)	約600人	あり ジェムザール	あり
23	注射用リユープロレリン酢酸塩 ピカルタミド錠・口腔内崩壊 アナモレリン塩酸塩錠	唾液腺癌	日本耳鼻咽喉科頭頸部学会 (日本頭頸部癌学会)	約300人/年	あり リユープリン	あり
24	ダブラフェニブ / トラメチニブ	グリオーマ(成人・小児)	日本脳神経外科学会	約360人(年間) BRAF変異 80人、BRAF融合 遺伝子 280人	あり タフィンラー / メキニスト	あり
25	アミノレプリン塩酸塩塩	再発髄膜腫	日本脳神経外科学会	年間約500人	あり アラベル	あり
26	一酸化窒素(吸入ガス)	特発性肺動脈性肺高血圧 遺伝性肺動脈性肺高血圧症	日本循環器学会	約3934人	あり アイノフロー	なし
27	クエチアピンフマル塩酸	がん患者の終末期せん妄	日本緩和医療学会	約10,000人	あり セロクエル	あり
28	メサドン塩酸塩(注射剤)	難治性のがん疼痛	日本緩和医療学会	約1,000人	あり メサペイン	あり
29	brexanolone	産後うつ病	日本精神神経学会	約13万人	なし	あり
30	Fluoxetine	うつ病	日本精神神経学会	約 550,000人	なし	あり
31	Levosimendan	心機能低下症例、心不全症例	日本心臓血管外科学会	年間10万人	なし	あり
32	酸化セリウム (Cerium)	APRT欠損症	日本腎臓学会	約4400人	なし	なし
33	SMOF lipid	腸管機能不全症および腸管機能不全合併肝障害	日本外科学会	約2000人	なし	あり
34	半夏瀉心湯軟膏20%	がん がん治療に伴う口腔粘膜炎症	日本口腔科学会	約 10万人	あり	なし
35	カルベジロール錠	門脈圧亢進症患者	日本肝臓学会	約 5万人	あり アーティスト	なし
36	クロファジミン	Mycobacterium abscessus complex症	日本呼吸器学会	約6000人	あり	あり
37	ブデソニド・ホルモテロール フマル酸塩水和物吸入剤	気管支喘息(成人および12歳以上の小児)	日本呼吸器学会	約665万人以上	あり シムビコートタービュー イラー、ブデホル	あり
38	インビメストロセル	急性呼吸窮迫症候群(ARDS)	日本呼吸器学会	約28,000人	なし	なし
39	バクリタキセル注射液	甲状腺未分化癌	日本内分泌外科学会	約180～360人(年間)	あり タキソール	あり
40	ダブラフェニブメシル酸塩カプセル トラメチニブジメチルスルホキシド付加物錠	BRAF遺伝子変異を有する甲状腺癌	日本内分泌外科学会	約700～800人(年間に新規に 適応となる患者数)	あり タフィンラー	あり
41	メキシレチン塩酸塩	①慢性神経障害性疼痛 ②脊髄障害性疼痛症候群	日本整形外科学会	①約400万人 ②約19万人	あり メキシチール	あり
42	1-1.ganciclovir ophthalmic gel 0.15% 1-2.ガンシクロビル	1-1.サイトメガロウイルス角膜炎・虹彩炎 1-2.サイトメガロウイルス(cytomegalovirus:CMV)虹彩毛様体炎	日本眼科学会	1-1.約数100～数1000人程度 1-2.約1000人	1-1.なし 1-2.あり デノシン	あり

44	polyhexamethylene biguanide (PHMB) 0.02%	アcantアメラバ角膜炎	日本眼科学会	約数100～数1000人程度	なし	なし
45	Teprotumumab	甲状腺眼症	日本眼科学会	約10人/10万人/年	なし	あり
46	アトロピン	近視	日本眼科学会	約147万人	なし	なし
47	アフリベルセプト(遺伝子組み換え)	ぶどう膜炎に続発した脈絡膜血管新生	日本眼科学会	約1,500人	あり	なし
48	イデベン	Leber遺伝性視神経症	日本眼科学会	約5000人	なし	あり
49	タクロリムス点眼	角膜移植後	日本眼科学会	約34000人	あり タリムス	なし
50	フェニレフリン塩酸塩+ケトロラック合剤	IFIS(術中虹彩緊張低下症候群)	日本眼科学会	約20000人/毎年	なし	あり
51	フルオロウラシル	眼表面扁平上皮癌と悪性黒色腫、およびその前癌病変	日本眼科学会	約120人/年	あり 5-FU	なし
52	1-1.メトトレキサート(硝子体注射) 1-2.メトトレキサート(硝子体内注射)	1-1.眼内リンパ腫 1-2.眼内悪性リンパ腫(原発性および続発性)	日本眼科学会	1-1.約1,000人(120人/年以上) 1-2.新規眼内悪性リンパ腫は140例/年	1-1.あり メトトレキサート 1-2.メトトレキサート	あり
53	リバスジル塩酸塩水和物点眼液0.4%	白内障手術後の角膜浮腫	日本眼科学会	約1万人	あり グラナテック	なし
54	細胞網膜色素上皮細胞製剤・網膜シート	中心窩下萎縮型加齢黄斑変性	日本眼科学会	約1,000人	なし	なし
55	ドロスピレノン 3mg・エチニルエストラジオール	月経前症候群(PMS)・月経前不快気分障害(PMDD) 多嚢卵性卵巣症候群	日本産婦人科学会	PMS 約133万人 PMDD 約30万人	あり ヤーズフレックス配合錠	あり
56	レトロゾール		日本産婦人科学会	約1,000,000人	なし	なし
57	メトトレキサート	異所性妊娠	日本産婦人科学会	約1～2万人(年間)	なし	なし
58	ニフェジピン	切迫早産	日本産婦人科学会	約11万人(年間)	なし	なし
59	エスシタロプラムシユウ酸	月経前症候群、月経前気分不快障害	日本産婦人科学会	約1,000,000人	なし	あり
60	ギルメテニブフマル酸塩	小児の再発又は難治性FLT3遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病	日本小児血液・がん学会	約7人	あり ゾスパタ	あり
61	ゲムツスマブオゾガマイシン	初発の小児急性骨髄性白血病	日本小児血液・がん学会	約140人	あり マイロターグ	あり
62	ベネトクラクス	再発・難治の小児急性骨髄性白血病	日本小児血液・がん学会	約72人	あり ベネクレクスタ	あり
63	ベネトクラクス	再発・難治性小児T細胞性急性リンパ性白血病	日本小児血液・がん学会	約25人	あり ベネクレクスタ	あり
64	Daunorubicin and cytarabine liposome(GPX-351)	小児の治療関連急性骨髄性白血病または骨髄異形成に関連した変化を伴う急性骨髄性白血病	日本小児血液・がん学会	約20人	なし	あり
65	ダブラフェニブ	小児難治性LCH(LCH関連中枢神経変性症を含む)	日本小児血液・がん学会	約15人	あり タフィンラー	あり
66	ベムラフェニブ	小児難治性LCH(LCH関連中枢神経変性症を含む)	日本小児血液・がん学会	約17人	あり タフィンラー	あり
67	SNDX-5613	KMT2A遺伝子再構成陽性の乳児期発症急性リンパ性白血病	日本小児血液・がん学会	約14人/年	なし	なし
68	UCART19	再発又は難治性のCD19陽性の乳児を含む小児・若年成人B細胞性急性リンパ性白血病	日本小児血液・がん学会	約30人	なし	なし
69	DSP7888	小児悪性軟部腫瘍における寛解後、維持療法	日本小児血液・がん学会	約年間20人	なし	なし
70	DAY101 (TAK-580/MLN2480)	RAS-RAF-MEK-ERK経路の異常を有する再発小児低悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	年間約25人	なし	なし
71	ゲムスタビン(GEMPOX)	再発・難治小児頭蓋内胚細胞腫瘍	日本小児血液・がん学会	約15人	あり ジェムザール	あり
72	バクリタキセル(GEMPOX)	再発・難治小児頭蓋内胚細胞腫瘍	日本小児血液・がん学会	約15人	あり タキソール	あり
73	オキサリプラチン	再発・難治小児頭蓋内胚細胞腫瘍	日本小児血液・がん学会	約15人	あり エルブラット	あり
74	Liposomal cytarabine	小児悪性脳腫瘍髄膜播種の予防・治療	日本小児血液・がん学会	約140人	なし	あり
75	Selinexor	小児高悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約30人	なし	あり
76	vismodegib	ソニックヘッジホッグ経路異常を有する小児髄芽腫	日本小児血液・がん学会	年間約30人	なし	あり
77	エヌトレクチニブ	ROS1融合遺伝子陽性の小児脳腫瘍 ALK融合遺伝子陽性の小児脳腫瘍	日本小児血液・がん学会	約10～20人	あり ロズリートレク	あり
78	エペロリムス	小児低悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約23人	あり アフィニートール	あり
79	セルメチニブ	低悪性度神経腫瘍(小児型)	日本小児血液・がん学会	約70人(年間発生数)	なし	あり
80	エンザスタウリン	小児高悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約30人	なし	なし
81	ベパシジマブ(BEV・	小児低悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約234人	あり アバステン	あり
82	イリノテカン(BEV・CPT11)	小児低悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約234人	あり イリノテカン塩酸	あり
83	ロムスチン	髄芽腫、神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約100人	なし	あり
84	ベネトクラクス	KMT2A遺伝子再構成陽性の乳児期発症急性リンパ性白血病	日本小児血液・がん学会	約14人/年	あり ベネクレクスタ	あり
85	ダラツマブ	再発・難治(初期治療反応不良、微小残存病変陽性)の小児T細胞性急性リンパ性白血病	日本小児血液・がん学会	約9(年間新規発生)人	あり ダラザレックス	あり
86	ダサチニブ水和物	再発・難治性小児T細胞性急性リンパ性白血病	日本小児血液・がん学会	約6-9人	あり スプリセル	あり
87	バルボシクリブ	再発または難治性小児T細胞性急性リンパ性白血病及びTリンパ芽球性	日本小児血液・がん学会	約15-20人	あり イブランス	あり
88	トラメチニブ	再発もしくは難治性小児・若年成人T細胞性急性リンパ性白血病	日本小児血液・がん学会	約6-9人	あり メキニスト	あり
89	トラメチニブ	小児低悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約25人(200人)	あり メキニスト	あり
90	ルキシリチニブリン酸塩錠	再発・難治性小児急性リンパ性白血病(Ph-like B細胞性ALL、early T-cell precursor ALL)	日本小児血液・がん学会	約60人	あり ジャカビ	あり
91	カルボプラチン	小児低悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約50人	あり パラプラチン	あり
92	カルボプラチン	小児悪性固形腫瘍における造血幹細胞移植時の前処置	日本小児血液・がん学会	約50人/年	あり カルボプラチン	あり
93	ピンクリスチン硫酸塩	小児低悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約50人	あり オンコピン	あり
94	エトボシド点滴静注液	小児悪性脳腫瘍	日本小児血液・がん学会	約100人	あり ベブシド	あり
95	エトボシド 経口	小児悪性脳腫瘍	日本小児血液・がん学会	約70人	あり ラステット	あり
96	シクロフォスファミド	小児髄芽腫、非定型奇形腫様ラブroid腫瘍等	日本小児血液・がん学会	約110～130人	あり エンドキサン	あり
97	ダブラフェニブ	小児低悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約25人	あり タフィンラー	あり
98	テセルバツレブ	小児悪性神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約30人	あり デリタクト注	なし
99	パノピノスタット	小児脳幹神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	約60人	あり ファリーダック	あり
100	ビンブラステン	小児低悪性度神経腫瘍	日本小児血液・がん学会	年間約50人	あり エグザール	あり