

医薬薬審発 0619 第 3 号
令和 6 年 6 月 19 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

先駆的医薬品の指定について

医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和 35 年法律第 145 号）第 77 条の 2 第 2 項の規定に基づき、下記のとおり先駆的医薬品が指定されましたので、通知します。

なお、本通知の写しについて、別記の関係団体及び独立行政法人医薬品医療機器総合機構宛てに連絡するので、念のため申し添えます。

記

指 定 番 号	（R 6 先駆薬）第 8 号
医薬品の名称	キセビナパント
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果	局所進行の頭頸部癌
申 請 者	メルクバイオフーマ株式会社
指 定 理 由	① 本剤は、低分子アポトーシス阻害タンパク質阻害薬であり、本剤と同一の作用機序を有する薬剤は存在しない。 ② 対象疾患は局所進行の頭頸部癌であり、生命に重大な影響がある重篤な疾患及び根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患である。 ③ 局所進行頭頸部扁平上皮癌の治療法は過去 20 年間にわたり開発されておらず、対象疾患に対して既存の治療法に比べて極めて高い有効性が見込まれる。 ④ 現時点では、本邦を含め世界同時に承認申請を行う予定とされている。

指 定 番 号	(R 6 先駆薬) 第 9 号
医薬品の名称	tinlarebant
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果	スタルガルト病
申 請 者	Belite Bio, Inc.
指 定 理 由	<p>① 本剤は、レチノールのレチノール結合タンパク質 4 への結合を阻害することで、スタルガルト病患者における網膜色素上皮へのビスレチノイドの蓄積を抑制する薬剤であり、本剤と同一の作用機序を有する薬剤は存在しない。</p> <p>② 対象疾患はスタルガルト病であり、不可逆的な視力低下が生じて失明に至る場合もあることから、根治療法がなく症状（社会生活が困難な状態）が継続している疾患である。</p> <p>③ スタルガルト病を効能・効果として承認されている薬剤は存在しない。</p> <p>④ 現時点では、本邦を含め世界同時に承認申請を行う予定とされている。</p>

別記

日本製薬団体連合会

日本製薬工業協会

米国研究製薬工業協会在日執行委員会

一般社団法人欧州製薬団体連合会

独立行政法人医薬品医療機器総合機構