

医薬薬審発 1127 第 3 号
令和 6 年 11 月 27 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 1. のとおり先駆的医薬品の指定を行いましたので、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

1. 指定

(1)

指 定 番 号	(R 6 先駆薬) 第 12 号
医薬品の名称	イクレペルチン
予定される 効能又は効果	統合失調症の認知機能障害
氏名又は名称	日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社
指 定 理 由	① 本剤は、グリシントランスポーター1 阻害剤であり、新作用機序を有する。 ② 対象疾患は統合失調症の認知機能障害であり、社会生活にかかる機能低下、生活場面での障害が生じ、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 統合失調症の認知機能障害を効能・効果として承認されている薬剤は存在しない。 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。

(2)

指 定 番 号	(R 6 先駆薬) 第 13 号
医薬品の名称	ブロギジルセン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果	エクソン 44 スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー
氏名又は名称	日本新薬株式会社
指 定 理 由	<p>① 本剤は、ジストロフィン遺伝子の mRNA 前駆体のエクソン 44 部分に配列特異的に結合し、エクソンスキッピング作用により機能するジストロフィンタンパク質を産生させる薬剤であり、既承認薬と異なる新作用機序を有する。</p> <p>② デュシェンヌ型筋ジストロフィーは、ジストロフィンタンパク質の欠損により進行性の筋破壊と線維化が認められる難治性かつ進行性の筋疾患であり、生命に重大な影響がある重篤な疾患である。</p> <p>③ 既存の治療薬としてビルトラルセン及びプレドニゾロンが存在するが、本剤は、エクソン 44 スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィーに対して、既存の治療薬に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる。</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