

日薬連発第96号  
平成20年2月18日

加 盟 団 体 殿

日本製薬団体連合会

未承認薬使用問題検討会議の検討品目に関する取組について

標記について、平成20年2月14日付医政研発 0214001 号／薬食審査発第 0214001 号にて厚生労働省医政局研究開発振興課長／医薬食品局審査管理課長より通知がありました。

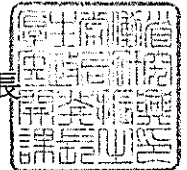
未承認薬使用問題検討会議で早期に国内への導入を図るべきとの検討結果の得られた医薬品に関し、開発に関心を有する会社への相談に応じる旨の案内です。

つきましては、本件につき貴会会員に周知いただきたく、ご配慮の程よろしく  
お願い申し上げます。

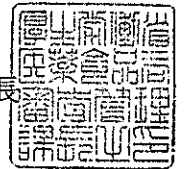
医政研発第 0214001 号  
薬食審査発第 0214001 号  
平成 20 年 2 月 14 日

日本製薬団体連合会 会長 殿

厚生労働省医政局研究開発振興課長



厚生労働省医薬食品局審査管理課長



#### 未承認薬使用問題検討会議の検討品目に関する取組について

欧米諸国で承認されているが国内では未承認の医薬品について、欧米諸国での承認状況及び学会・患者要望を把握し、臨床上の必要性と使用の妥当性の科学的な検証を行い、確実な治験実施につなげることにより、その使用機会の提供と安全確保を図ることを目的として、平成 17 年 1 月より未承認薬使用問題検討会議を設置し、検討を行っているところです。

下記医薬品については、未承認薬使用問題検討会議で早期に国内への導入を図るべきとの検討結果が得られたところではありますが、未だ国内で開発を行う企業等が確定していません。

これらの医薬品は医療上の必要性が高く、患者からの要望も多いことから、開発が早期に行われ、速やかに国内への患者に提供することができるよう、ご協力よろしく申し上げます。

なお、これらの医薬品の開発に関心を有する会社にあつては、厚生労働省及び医薬品医療機器総合機構において相談等に応じる所存ですので、念のため申し添えます。



## 記

1. 成分名：システアミン（販売名：Cystagon）  
対象疾病：シスチノーシス（シスチン蓄積症）  
欧米承認状況：米国（承認取得企業：Mylan）、  
EU（承認取得企業：Orphan Europe）
2. 成分名：ベタイン（販売名：Cystadane）  
対象疾病：ホモシスチン尿症  
欧米承認状況：米国（承認取得企業：Rare Dis）  
EU（承認取得企業：Orphan Europe）
3. 成分名：スチリペントール（販売名：Diacomit）  
対象疾病：乳児重症ミオクロニーてんかん  
欧米承認状況：EU（承認取得企業：Biocodex）
4. 成分名：経口リン酸塩製剤（販売名：K-Phos Neutral）  
対象疾病：原発性低リン血症クル病  
欧米承認状況：米国（承認取得企業：Beach）

(担当)

厚生労働省医政局研究開発振興課  
近藤

TEL 03-5253-1111(4163)

FAX 03-3503-0595

厚生労働省医薬食品局審査管理課  
廣元

TEL 03-5253-1111(2736)

FAX 03-3597-9535