

薬生薬審発 0824 第 7 号
令和 3 年 8 月 24 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生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。

記

指 定 番 号	(R 3 先駆薬) 第 1 号
医薬品の名称	ペボネジスタット塩酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果	骨髄異形成症候群(骨髄芽球比率が 20~30%の急性骨髄性白血病を含む)
申 請 者	武田薬品工業株式会社
指 定 理 由	① 本剤は、neural precursor cell expressed, developmentally down-regulated 8 活性化酵素に対する阻害作用を有する低分子化合物であり既承認薬と異なる新作用機序を有する ② 対象疾患である骨髄異形成症候群 (MDS) は、前白血病状態等を含む疾患群の総称である(骨髄芽球比率が 20~30%の急性骨髄性白血病 (AML) を含む)。前白血病状態からは高率に AML へ進展する予後不良かつ難治性の疾患であることから、これらの疾患は生命に重大な影響がある重篤な疾患である。 ③ 対象疾患に対する標準的な治療として投与が推奨されているアザシチジンと本剤を併用した場合の有効性・安全性を検討した海外第Ⅱ相試験において、アザシチジン単剤と比較して全生存期間の延長傾向が認められたことから、本剤は既存の治療薬に比べて極めて高い有効性が見込まれる。 ④ 現時点では、世界に先駆けて又は同時に本邦で承認申請を行う予定とされている