

新薬の効能追加（承認）の状況に関する調査

1. 目的

本邦で承認された新有効成分含有医薬品について、その後の一部変更承認の状況に関して調査する。

2. 方法

対象医薬品：本邦で2008年度から2018年度まで（2008.4.1～2019.3.31）に新有効成分含有医薬品として承認された431医薬品（再審査期間中の同一成分に関する新有効成分含有医薬品としての1承認を除く）。

対象医薬品のうち、承認事項一部変更承認が行われた医薬品について、薬効分類、一部変更承認の時期、申請区分、希少疾病用医薬品等の該当の有無を（独）医薬品医療機器総合機構ウェブサイトの審査報告書等から調査した。

本邦での新有効成分含有医薬品としての承認時（初回承認）から、直近の一部変更承認時（最初の一部変更承認）までの期間は、

初回承認年月 - 最初の一部変更承認年月
により、期間（か月）を算出。

3. 結果

(1) 一部変更承認の回数

対象医薬品431医薬品のうち、2020年1月31日までに、138医薬品に一部変更承認が、のべ224回行われていた（表1）。

表1 一部変更承認の回数（138医薬品）

一変承認の回数	品目数
1回	92
2回	25
3回	14
4回	4
5回	1
6回	0
7回	0
8回	0
9回	1
10回	1
	138

のべ 224 回の一部変更承認（一変）の背景情報を表 2 に示した。

表 2 一部変更承認の背景情報（延べ 224 一変承認）

	一変すべて(N=224)		1回目の一変(N=138)		2回目の一変(N=46)		3回目の一変(N=21)	
	N	%	N	%	N	%	N	%
希少疾病用医薬品	55	24.6%	32	23.2%	14	30.4%	4	19.0%
通常品目	169	75.4%	106	76.8%	32	69.6%	17	81.0%
優先審査	70	31.3%	39	28.3%	18	39.1%	6	28.6%
通常審査	154	68.8%	99	71.7%	28	60.9%	15	71.4%
審議	117	52.2%	75	54.3%	20	43.5%	14	66.7%
報告	107	47.8%	63	45.7%	26	56.5%	7	33.3%
3 新投与経路	7	3.1%	3	2.2%	4	8.7%	0	0.0%
4 新効能	171	76.3%	103	74.6%	37	80.4%	18	85.7%
5 新剤型	4	1.8%	3	2.2%	0	0.0%	1	4.8%
6 新用量	149	66.5%	94	68.1%	32	69.6%	11	52.4%
8 剤型追加	30	13.4%	14	10.1%	2	4.3%	3	14.3%
10 その他	10	4.5%	6	4.3%	2	4.3%	0	0.0%

希少疾病用医薬品、優先審査品目、申請区分別（延べ数：224 一部変更承認、1 つの一部変更承認に対して複数の申請区分が該当する場合がある）、審議／報告の別

※優先審査品目には希少疾病用医薬品も含む。

224 回の一部変更承認が行われた 138 医薬品の薬効群を表 3 に示した。

表 3 一部変更承認の薬効群

		承認品 目数	一変すべて (N=224)		1回目の一変 (N=138)		2回目の一変 (N=46)		3回目の一変 (N=21)	
			N	%	N	%	N	%	N	%
11	中枢神経系用薬	42	23	54.8%	12	28.6%	6	14.3%	4	9.5%
12	末梢神経系用薬	4	3	75.0%	3	75.0%	0	0.0%	0	0.0%
13	感覚器官用薬	13	9	69.2%	4	30.8%	2	15.4%	2	15.4%
21	循環器官用薬	23	9	39.1%	8	34.8%	1	4.3%	0	0.0%
22	呼吸器官用薬	10	5	50.0%	3	30.0%	1	10.0%	1	10.0%
23	消化器官用薬	13	7	53.8%	5	38.5%	1	7.7%	1	7.7%
24	ホルモン剤	19	11	57.9%	9	47.4%	2	10.5%	0	0.0%
25	泌尿生殖器官及び肛門用薬	3	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
26	外皮用薬	6	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
29	その他の個々の器官系用医薬品	1	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
31	ビタミン剤	2	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
32	滋養強壮薬	2	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
33	血液・体液用薬	11	3	27.3%	3	27.3%	0	0.0%	0	0.0%
39	その他の代謝性医薬品	75	51	68.0%	30	40.0%	10	13.3%	4	5.3%
42	腫瘍用薬	81	72	88.9%	36	44.4%	19	23.5%	7	8.6%
43	放射性医薬品	4	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
44	アレルギー用薬	10	4	40.0%	4	40.0%	0	0.0%	0	0.0%
61	抗生物質製剤	8	3	37.5%	3	37.5%	0	0.0%	0	0.0%
62	化学療法剤	33	12	36.4%	9	27.3%	2	6.1%	1	3.0%
63	生物学的製剤	38	10	26.3%	7	18.4%	2	5.3%	1	2.6%
64	寄生動物用薬	5	1	20.0%	1	20.0%	0	0.0%	0	0.0%
72	診断用薬	4	1	25.0%	1	25.0%	0	0.0%	0	0.0%
79	その他の治療を主目的としない医薬品	1	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
81	アルカロイド系麻薬	1	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
82	非アルカロイド系麻薬	2	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%	0	0.0%
		411	224		138		46		21	

※未発売・発売中止・プロトタイプワクチンを除いた 411 品目

その他の代謝性医薬品、腫瘍用薬は、一部変更承認を繰り返していることがわかる。

(2) 一部変更承認までの期間の分析

(2) -1 初回承認の属性による分析

初回承認の承認年度による一部変更承認までの期間を表 4 に示した。

表 4 承認年度別の一部変更承認までの期間

承認年度	NME承認品目数(N)	一変承認のあった品目数(N)	最初の一部変更承認までの期間(平均値±S.D., 月)			中央値	最小値	最大値
2008	31	19	61.29	54.95	± 29.44	52.00	21.00	119.00
2009	24	9	37.50	39.44	± 21.81	37.00	9.00	79.00
2010	37	19	51.35	41.16	± 29.21	35.00	2.00	101.00
2011	39	18	46.15	43.67	± 18.72	45.50	11.00	72.00
2012	43	13	30.23	37.62	± 21.60	36.00	5.00	79.00
2013	34	12	35.29	46.33	± 22.35	57.50	12.00	67.00
2014	47	9	19.15	22.56	± 12.53	17.00	8.00	43.00
2015	41	15	36.59	29.33	± 12.75	29.00	9.00	53.00
2016	39	11	28.21	22.73	± 11.03	25.00	3.00	38.00
2017	38	11	28.95	15.27	± 8.60	14.00	2.00	27.00
2018	38	2	5.26	10.50	± 0.71	10.50	10.00	11.00
all	411	138	33.58	36.91	± 23.75	34.00	2.00	119.00

※未発売・発売中止・プロトタイプワクチンを除いた 411 品目

初回承認の希少疾病用医薬品、優先審査の別による一部承認までの期間を表 5 に示した。

表 5 初回承認医薬品の背景別解析

		最初の一部変更承認までの期間(平均値±S.D., 月)			中央値	最小値	最大値	P値
希少疾病用医薬品	36	38.39	± 28.50	33.50	2.00	119.00		
それ以外	102	36.39	± 21.96	34.50	4.00	111.00	0.70	
優先審査品目	15	38.53	± 29.04	31.00	5.00	111.00		
それ以外	123	36.72	± 23.15	34.00	2.00	119.00	0.82	

※優先審査品目：希少疾病用医薬品を除く。

T test

参考 5 - 1 優先審査品目に希少疾病用医薬品を含めた場合 (参考)

		最初の一部変更承認までの期間(平均値±S.D., 月)			中央値	最小値	最大値	P値
優先審査品目	51	38.43	± 28.37	33.00	2.00	119.00		
それ以外	87	36.02	± 20.69	35.00	4.00	104.00	0.60	

※優先審査品目：希少疾病用医薬品を含む。

T test

表 6 に、初回承認時の薬効分類別の解析を示した。

表 6 初回承認時の薬効分類別解析

薬効分類	度数	最初の一部変更承認までの期間(平)			中央値	最小値	最大値
11 中枢神経系用薬	12	36.33	±	27.20	33.50	2.00	104.00
12 末梢神経系用薬	3	47.67	±	16.07	41.00	36.00	66.00
13 感覚器官用薬	4	43.50	±	20.40	50.50	14.00	59.00
21 循環器官用薬	8	46.75	±	22.87	44.00	13.00	85.00
22 呼吸器官用薬	3	40.00	±	14.53	39.00	26.00	55.00
23 消化器官用薬	5	25.40	±	18.27	20.00	10.00	54.00
24 ホルモン剤	9	43.78	±	25.91	42.00	10.00	79.00
33 血液・体液用薬	3	40.33	±	4.04	41.00	36.00	44.00
39 その他の代謝性医薬品	30	41.23	±	27.53	31.50	4.00	111.00
42 腫瘍用薬	36	31.92	±	21.71	25.50	2.00	79.00
44 アレルギー用薬	4	29.25	±	10.97	32.00	14.00	39.00
61 抗生物質製剤	3	23.67	±	12.06	25.00	11.00	35.00
62 化学療法剤	9	38.44	±	33.88	31.00	8.00	119.00
63 生物学的製剤	7	27.43	±	20.84	20.00	9.00	66.00
64 寄生動物用薬	1	39.00	±		39.00	39.00	39.00
72 診断用薬	1	54.00	±		54.00	54.00	54.00
合計	138	36.91	±	23.75	34.00	2.00	119.00

(2)-2 最初の一部変更承認の属性による分析

一部変更承認に係る内容が、希少疾病用医薬品か否か(表 7)、優先審査か否か(表 8)、申請区分別(表 9)、審議/報告の別(表 10)による、最初の一部変更承認までの期間の分析を示した。

表 7 希少疾病用医薬品か否か

	度数	最初の一部変更承認までの期間(平均値±S.D.,月)			中央値	最小値	最大値	P値
希少疾病用医薬品	32	40.72	±	27.16	40.50	2.00	119.00	
それ以外	106	35.76	±	22.63	33.00	3.00	111.00	0.35

T test

表 8 優先審査品目か否か

	度数	最初の一部変更承認までの期間(平均値±S.D.,月)			中央値	最小値	最大値	P値
優先審査品目	7	20.86	±	16.50	17.00	5.00	53.00	
それ以外	131	37.77	±	23.81	35.00	2.00	119.00	0.04*

※優先審査品目：希少疾病用医薬品をのぞく

* : P<0.05, T test

参考 8-1 優先審査品目に希少疾病用医薬品を含めた場合(参考)

	度数	最初の一部変更承認までの期間(平均値±S.D.,月)			中央値	最小値	最大値	P値
優先審査品目	39	37.15	±	26.54	34	2	119	
それ以外	99	36.82	±	22.70	34	3	111	0.95

※優先審査品目：希少疾病用医薬品を含む

T test

表 9 申請区分別 (のべ数：1 承認に複数の申請区分が該当する品目があるため)

申請区分別	度数	最初の一部変更承認までの期間(平			中央値	最小値	最大値
3 新投与経路	3	48.33	±	22.23	36.00	35.00	74.00
4 新効能	103	35.39	±	22.27	33.00	2.00	104.00
5 新剤型	3	54.33	±	49.89	35.00	17.00	111.00
6 新用量	94	38.19	±	22.76	35.00	2.00	119.00
8 剤型追加	14	54.21	±	27.57	47.50	18.00	119.00
10 その他	6	20.67	±	12.23	19.00	9.00	41.00

表 10 審議/報告の別

審議/報告別	度数	最初の一部変更承認ま			中央値	最小値	最大値	P値
審議品目	75	42.53	±	24.10	39.00	3.00	119.00	
報告品目	63	30.22	±	21.66	25.00	2.00	111.00	0.002*
	138	36.91	±	23.75	34.00	2.00	119.00	

* : P<0.05, T test

以上