

## 新薬の効能追加（開発）の状況に関する調査

### 1. 目的

ひとたび承認された新薬（新有効成分）について、その後の効能追加に係る開発状況に関する基礎情報を得ることを目的とする。

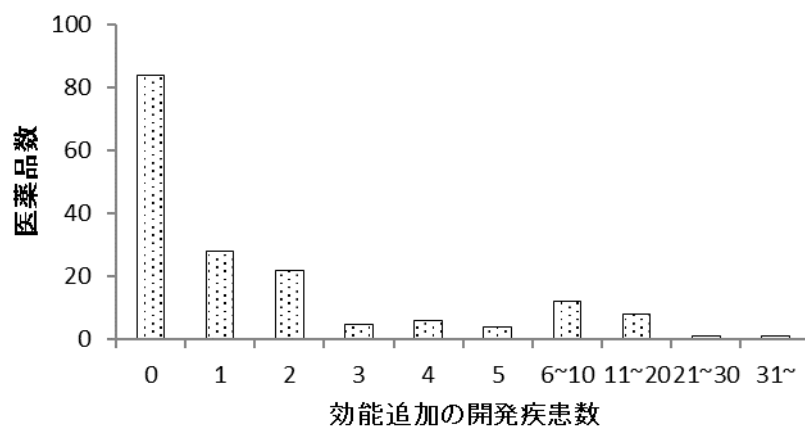
### 2. 方法

2015年～2019年の5年間に日本で承認された新有効成分含有医薬品について、Pharmaprojectsのデータを用いて、2019年12月末時点での効能追加に係る開発（承認に至っているものを含む）に関する情報を検索し、承認年、薬効領域により整理し集計した。効能（疾患）のカウントの仕方はPharmaprojectsでの疾患（Drug Disease）の分類・集計に従った。調査時点で、初回承認された疾患を除いて開発がPhase II以降に進んでいる対象疾患（承認に至っているものを含む）を効能追加の開発「あり」として取り扱い、集計の対象とした。

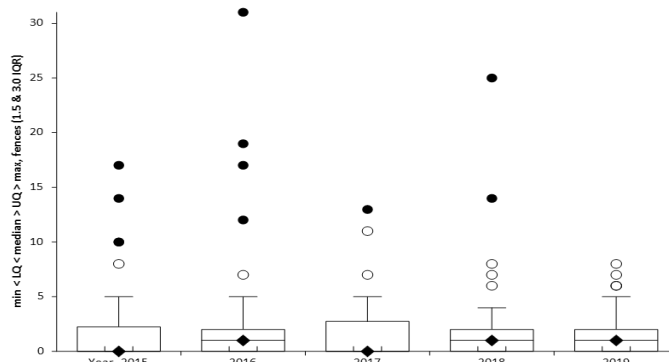
### 3. 結果

調査対象期間に承認された189の新有効成分含有医薬品のうち、Pharmaprojectsデータベースに適切な情報が登録されていない6医薬品、薬価基準に収載されていない又は販売されていない12医薬品を除いた171医薬品を集計対象とした。

調査対象171医薬品のうち87医薬品（50.9%）に、1疾患以上の効能追加の開発が行われていた。効能追加の開発疾患数は平均値2.30、中央値1（最小0～最大31）であった。1医薬品あたりの効能追加の開発疾患数の分布（ヒストグラム）を下の図に示す。

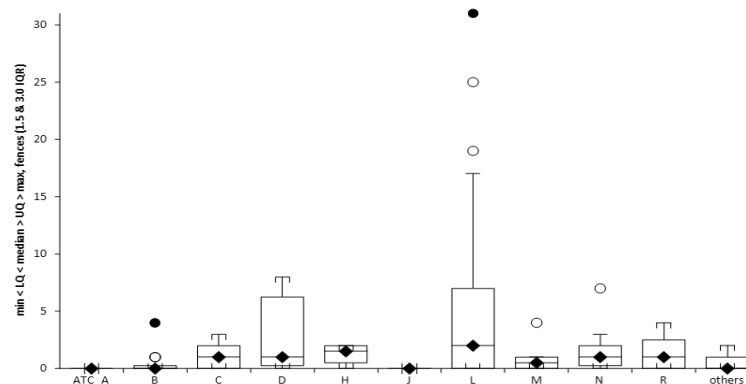


調査対象医薬品について、初回承認年ごとのその後の効能追加の開発疾患数を次の図及び表に示す。



| 初回承認年           | 2015       | 2016       | 2017       | 2018       | 2019      |
|-----------------|------------|------------|------------|------------|-----------|
| 医薬品数            | 33         | 45         | 23         | 33         | 37        |
| 効能追加開発疾患数<br>平均 | 2.52       | 2.71       | 1.96       | 2.55       | 1.62      |
| 中央値 (最小-最大)     | 0 (0 - 17) | 1 (0 - 31) | 0 (0 - 13) | 1 (0 - 25) | 1 (0 - 8) |

調査対象医薬品について、薬効領域（WHO ATC 分類）別に、1 医薬品あたりの効能追加の開発疾患数を下の図及び表に示す。（2 医薬品以下の分類については「その他」にまとめた）

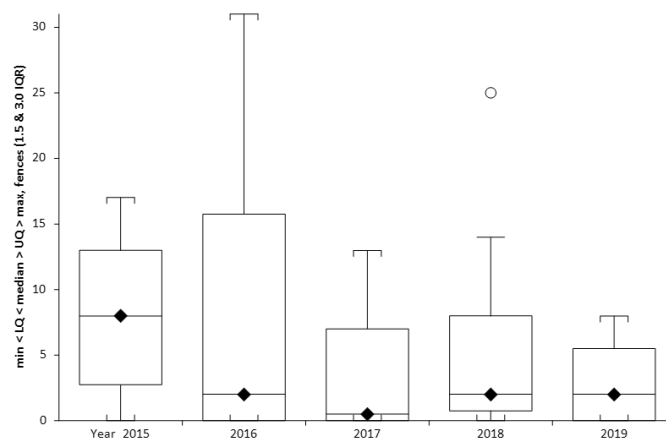


| ATC 分類         | 医薬品数 | 効能追加の開発疾患数  |      |
|----------------|------|-------------|------|
|                |      | 中央値 (最小-最大) | 平均値  |
| A 消化管と代謝作用     | 15   | 0 (0 - 5)   | 0.47 |
| B 血液と造血器官      | 17   | 0 (0 - 4)   | 0.59 |
| C 循環器系         | 10   | 1 (0 - 3)   | 1.20 |
| D 皮膚科用薬        | 3    | 1 (0 - 8)   | 3.00 |
| H 全身ホルモン製剤     | 4    | 1.5 (0 - 2) | 1.25 |
| J 全身用抗感染薬      | 23   | 0 (0 - 6)   | 0.52 |
| L 抗悪性腫瘍薬と免疫調節薬 | 59   | 2 (0 - 31)  | 4.97 |
| M 筋骨格系         | 6    | 0.5 (0 - 4) | 1.00 |
| N 神経系          | 15   | 1 (0 - 7)   | 1.47 |
| R 呼吸器系         | 9    | 1 (0 - 4)   | 1.33 |
| その他            | 10   | 0 (0 - 2)   | 0.60 |



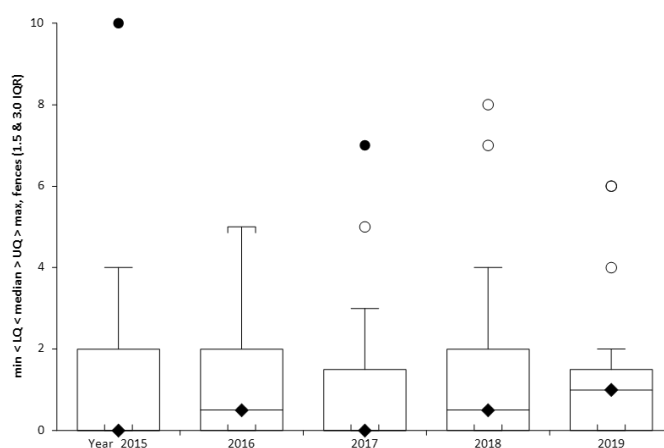
抗悪性腫瘍薬における効能追加の開発疾患数が他の領域薬に比べて極端に多かったことから、抗悪性腫瘍薬、抗悪性腫瘍薬以外の医薬品に分けて、初回承認年ごとのその後の効能追加の開発疾患数を集計した結果を下の図及び表に示す。

[抗悪性腫瘍薬]



| 初回承認年           | 2015     | 2016    | 2017       | 2018     | 2019    |
|-----------------|----------|---------|------------|----------|---------|
| 医薬品数            | 7        | 11      | 8          | 9        | 9       |
| 効能追加開発疾患数<br>平均 | 8.00     | 8.00    | 3.50       | 5.67     | 3.00    |
| 中央値 (最小-最大)     | 8 (0-17) | 2 (0-3) | 0.5 (0-13) | 2 (0-25) | 2 (0-8) |

[抗悪性腫瘍薬以外の医薬品]



| 初回承認年           | 2015     | 2016      | 2017    | 2018      | 2019    |
|-----------------|----------|-----------|---------|-----------|---------|
| 医薬品数            | 26       | 34        | 15      | 24        | 28      |
| 効能追加開発疾患数<br>平均 | 1.03     | 1.00      | 1.13    | 1.38      | 1.18    |
| 中央値 (最小-最大)     | 0 (0-10) | 0.5 (0-5) | 0 (0-7) | 0.5 (0-8) | 1 (0-6) |

#### 4. 考察

調査対象医薬品の約半数において、新薬（新有効成分）として承認された後に、1疾患以上の効能追加の開発が行われていた。効能追加の開発疾患数は、多くの医薬品で1又は2疾患であったが、31疾患の効能追加開発が行われていた医薬品（抗悪性腫瘍薬）もあった。一つの医薬品（有効成分）について、他の疾患に対する効能追加の開発が行われるか否かは、当該医薬品の作用機序等の特質に大きく依存することから、全ての医薬品を一様に扱って集計分析することは適切ではないかもしれない。本調査では、抗悪性腫瘍薬、抗悪性腫瘍薬以外に大きく分けて集計したが、この点については、今後、引き続き検討することとしたい。

一方、効能追加の開発疾患数は、医薬品の初回承認年によって大きな違いはなかった（つまり初回承認からの経過期間の長短によらなかった）。このことから、新有効成分としての承認取得を目指す開発と時間的に並行して、効能追加のための開発が行われているケースもあるものと推測できる。

今後、同様の作用機序を有する医薬品間での比較を含めて、効能追加開発の状況をさらに分析し、また、それに影響を与える要因の探索も行っていくこととしたい。