

厚生労働行政推進調査事業費補助金（厚生労働科学特別研究事業）  
総括研究報告書

ドラッグ・ロスの実態調査と解決手段の構築に関する研究

研究代表者 佐藤 潤

（国立研究開発法人国立がん研究センター 中央病院先端医療科・医員）

研究要旨

本研究班は、欧米等で承認されているものの国内で未承認・未開発の医薬品（いわゆるドラッグ・ロス品目）について、学会等への調査と海外での使用状況の情報収集を通じて当該医薬品の国内開発ニーズと優先度を評価した。その結果に基づき、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」に提出する要望書及び評価書（案）を作成し、国内開発を促す方針を取りまとめた。これにより、国が主体的にドラッグ・ロス問題の解決に取り組む体制を示し、緊急に開発促進が必要な医薬品を特定して製薬企業への働きかけを開始した。本研究の取り組みは、未承認薬解消に向けた継続的評価手法の構築につながり、将来的なドラッグ・ロスの発生抑制にも寄与するものである。

## A. 研究目的

欧米等の海外諸国では薬事承認されているものの国内では承認されておらず、かつ承認申請に向けた開発が行われていない医薬品（以下、「ドラッグ・ロス品目」という。）について、その実態を把握し開発促進の方策を検討することを本研究の目的とした。具体的には、国内で医療上の必要性が高いと考えられるドラッグ・ロス品目に関して、既存の有効性・安全性等のデータを収集・整理し、開発の必要性の有無を評価し、開発が必要な場合はその優先度の決定および市場性の調査を行った上で、「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」（以下、「未承認薬検討会議」という。）に提出するための資料（要望書および評価書）の作成を行うことである。また、本研究により国が能動的に未承認薬情報を収集・評価し開発を促進する方針を示すことで、今後の新たなドラッグ・ロス品目の発生を抑制することも目的とした。従来、未承認薬の開発要望は関連学会や患者会からの申請に基づき検討されてきたが、本研究を通じて国主導で情報整理と優先度評価を実施する体制の構築を目指した。

## B. 研究方法

本研究は、日本製薬工業協会が公表したドラッグ・ロス品目リスト（国内未承認かつ国内開発未着手の医薬品として定義された 86 品目）<sup>1</sup>を基盤資料とし、医薬品ごとに以下の手順で評価および解消方策の検討を行った。

### 1) 開発要望の聴取と開発優先順位の決定

まず、ドラッグ・ロス品目に関する国内の開発ニーズを把握するため、当該医薬品を扱う関連学会に対してアンケート調査を実施した。1 品目につき専門領域の異なる 2～3 学会を対象とし、各医薬品の臨床現場における必要性（標準治療に位置づけられる可能性、既承認の類薬との有用性や緊急性など）について意見を収集した。同時に、業

務委託により各ドラッグ・ロス品目の海外での承認状況、使用実績、副作用情報等を収集した。さらに、国内で当該医薬品の開発権を有する製薬企業が存在する場合には開発意向の有無を照会し、得られた回答も情報として整理した。これら収集情報を基に、本研究班の研究分担者（各領域の専門家）および臨床専門医による協議を行い、各ドラッグ・ロス品目について「国内で開発が必要か否か」と「開発が必要な場合の優先度」を決定した。ドラッグ・ロス品目の必要性評価と優先度の決定作業は、関連領域の専門家で構成される本研究班内で合議の上、最終的な分類結果を取りまとめた。

### 2) 要望書・評価書（案）の作成

上記の評価結果のうち、緊急に医薬品開発を行う必要が高いと判断された品目について、未承認薬検討会議に提出する要望書および同会議用の評価書（案）の作成を行った。要望書・評価書（案）の作成にあたっては、必要なデータ収集や文書案の作成を専門機関へ業務委託し、本研究班の研究代表者および分担者がその内容の妥当性・現実性を精査した上で提出版を完成させた。作成した要望書（案）には当該医薬品の臨床上の有用性や必要性、既存データの評価、開発に必要な試験等の検討内容を盛り込み、開発促進の必要性を関係当局へ訴える内容とした。

### 3) 市場規模の調査

ドラッグ・ロス品目の開発促進にあたり、その市場性や開発採算性の把握も重要であることから、国内で当該医薬品のドラッグ・ロスが解消された場合の想定市場規模を調査した。具体的には、欧米諸国における薬価情報を基に各品目の想定薬価を算出し、想定される国内患者数と組み合わせて年間売上規模を見積もった。国内患者数の推計には、公的統計や学会データベースに加え、民間医療データベース（レセプトデータ等）である JMDC 社の協力を得て算出した。これら市場予見性の調

査業務についても一部を専門企業へ委託し、本研究班で結果の検証・確定を行った。本市場規模の情報は、未承認薬検討会議から企業への開発要請等を行う際に、開発の実現可能性や優先度を判断する参考資料として活用できる。

#### (倫理面への配慮)

本研究に関係するすべての研究者は、ヘルシンキ宣言および「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」(平成26年文部科学省・厚生労働省告示第3号)に従い本研究を実施した。収集した個人情報や診療情報等のプライバシーに関する情報は個人の人格尊重の理念の下に厳重に保護し慎重に取り扱った。また、必要な管理対策を講じてプライバシー保護に努めた。

### C. 研究結果

#### 1) ドラッグ・ロス品目の実態把握

本研究の対象としたドラッグ・ロス品目リスト全86品目のうち、調査の過程で8品目は既に国内で開発着手済み、あるいは海外で承認取消し済みであることが判明した。残る78品目について学会アンケート調査と情報収集を実施し、評価対象とした。アンケートでは、各品目ごとに設問項目(参考資料1)を設定し、専門学会から臨床上の必要性等に関する回答を得た。その結果、78品目中61品目で全対象学会からの回答が揃い、16品目は一部の学会から回答が得られ、1品目については回答が得られなかった。並行して行った企業への照会では、国内開発企業が存在する品目について開発が困難である理由・背景等が提示された。以上の情報を統合し、本研究班は各品目の開発必要性の有無と優先度について評価を行った。

#### 2) 開発必要性に基づく品目分類結果

本研究班による評価の結果、78品目は以下の5つのグループに分類された。

・グループ A「開発の必要性が特に高い医薬品」

(14品目):国内に同等またはより高い有用性を有する代替医薬品が存在せず、標準的治療法が確立していない疾患に対する重要な治療薬、あるいは既存類薬より臨床的有用性が明らかに高く可及的速やかな開発が望まれる医薬品。最優先で開発を行うべきもの。

・グループ B「開発の必要性が高い医薬品」(41品目):グループ A ほどの優先度ではないものの、選択肢が増えることで臨床上有用と期待される医薬品。できるだけ早期に開発を行うことが望ましいもの。

・グループ C「開発の必要性が低い医薬品」(11品目):国内に既に同程度の有用性を持つ類似薬が存在するなど、現時点では開発緊急度が低いと判断される医薬品。現状では無理に開発を推進する必要は低いもの。

・グループ D「開発の必要性がない医薬品」(12品目):国内に患者が存在しない、または既に国内に複数の代替薬があり新規開発の必要が認められない医薬品。国内導入の必要性がないもの。

・「その他(既にドラッグ・ロスが解消されている医薬品)」(8品目):本研究の調査開始以前に既に国内で開発着手済み、あるいは海外で承認取消し等の理由でドラッグ・ロス問題が解消済みであった医薬品。

各グループに分類された具体的な品目名や適応疾患等の一覧は参考資料2のとおりである。グループ A に分類された14品目には、希少疾病の治療薬など緊急開発が求められるものが多く含まれていた。一方で、グループ A 品目の中にも既に海外で代替薬の開発が進行しており緊急性が低いと評価されたものや、国内で他企業により開発が開始されたものが含まれていた。そのため、実際に最優先で開発要請等の対応を急ぐ必要がある品目は、グループ A 14品目の内さらに絞り込まれる結果となった。グループ B の41品目については有用性が期待されるものの開発の緊急度は相対的に低く、グループ C・D の計23品目は現状で開発の

必要性が乏しいと判断された。

### 3) 市場予見性の評価結果

上記の分類結果と並行して実施した市場規模の試算では、開発要請等が優先される品目について推定患者数および想定薬価（米国の WAC:卸売取得価格）に基づく国内市場規模を算出した（参考資料3）。米国の WAC が不明な場合は算出不能とした。本研究で得られた市場規模の情報は、開発要望を行う際に企業側が開発投資の判断を行う材料として提供する予定であり、限られた資源の中で公的関与による開発を促す品目を選定する上でも重要な参考となる。

## D. 考察

本研究により、国主導でドラッグ・ロス品目のリストアップから必要性評価・優先度付けまでを一貫して行う手法を確立し、その結果を具体的な行政的対応（開発要請等資料の作成）につなげることができた。従来は学会や医療現場からの要望に依存していた未承認薬の開発促進プロセスにおいて、行政が積極的にデータ収集と評価を行い優先順位を示す意義は大きい。実際に、本研究の結果として抽出されたグループ A 品目については、厚生労働省が当該品目の開発促進に向けた検討を開始する運びとなっており、研究成果が政策に直結した形で反映されつつある。

一方で、ドラッグ・ロス問題の完全な解消には引き続き長期的な取り組みが必要であることも明らかになった。グループ A として抽出された品目の中でも既に他の手段で対応が進んでいるものがあり、真に対応が急務な品目は限定的であった。また、グループ B に分類された多数の品目については重要性は認められるものの、本研究期間内に十分な情報収集や評価を完了できなかったものもあり、今後の継続的な解決に向けた施策が必要となる。本研究によって得られた「アカデミア主導の臨床的有用性評価に基づき必要な未承認薬を選

定する」というアプローチは、今後の未承認薬問題への対処モデルとして社会的意義が大きい。さらに、今回対象としたのは「国内未承認かつ開発未着手の医薬品」であったが、国内で承認済み医薬品の適応外の効能効果（効能効果のドラッグ・ロス）についても同様に評価・対策が必要であるとの指摘が得られた。本研究の枠組みを応用し、適応外薬の有用性評価や開発促進策を検討することも、今後の課題として挙げられる。

加えて、本研究の過程で収集した各品目の有効性・安全性に関する情報や国内外の患者数データは、今後の学術的研究や政策立案に資する貴重なエビデンスとなる。例えば希少疾患領域における医薬品開発の現状や障壁について、本研究成果を通じて具体的な事例が示されたことで、学術的にも未承認薬問題への理解が深まった。今後は本研究で確立した評価手法を発展させ、定期的なドラッグ・ロス品目のモニタリングと必要度評価を継続することで、新たな医療上のニーズの早期発見と対応につなげていく必要がある。

## E. 結論

本研究により、国内未承認薬の中から医療上の必要性が高いものを体系的に抽出し、開発促進の優先順位を明らかにする手法が確立された。研究班が取りまとめた評価結果と資料は、厚生労働省における未承認薬開発促進の具体的施策に直結し、いくつかの重要医薬品について開発要請等へと結実しつつある。国が主導してドラッグ・ロス問題に取り組む意義は大きく、今回のモデルは今後の未承認薬解消に向けた標準的な枠組みとなり得る。引き続き、本研究で構築した評価・優先付けの枠組みを発展させ、継続的なドラッグ・ロス品目の監視と必要性評価を行うことで、患者の治療選択肢拡大と医療アクセスの向上に寄与していきたい。

## F. 健康危険情報

該当なし。

## G. 研究発表

該当なし。

## H. 知的財産権の出願・登録状況

該当なし。

## 引用文献)

- 1) 国内未承認薬リスト（厚生労働省公開資料：  
<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001147784.pdf>)

(参考資料1) 学会アンケート調査の設問項目

大分類	小分類	No.	質問内容	回答	注釈	
基礎情報		1	貴学会名を記載ください。	自由記述		
		2	回答対象の品目を記載ください。	自由記述		
医薬品開発の必要性	学会としての必要性	3	日本における医療上の必要性がある(国内で薬事承認されるための開発が行われる必要性を含む) →回答がDの場合は、No.4を回答の上、No.5からNo.41までの質問はスキップしてください。		A.「特に高い」は可及的速やかに開発や審査を優先すべきと考えられる場合 B.「高い」は開発や審査は行うべき品目だと考える場合 C.「低い」は国内から能動的な開発や審査の働きかけをする必要性が低いと考えられる場合	
		4	(No.3の回答がDの場合)可能でしたら、前問の回答を選択した理由を記載ください。 →No.3の回答がDの場合は、No.4を回答の上、No.5からNo.41までの質問はスキップしてください。	自由記述		
		5	国内臨床試験を実施した上で、その結果に基づいて承認されることが適切と考える		国内臨床試験の実施(既に試験結果がある品目については追加の臨床試験の実施)が必要かという観点でお答えください。	
		6	可能でしたら、前問の回答を選択した理由を記載ください。	自由記述		
		7	(No.5の回答がNoの場合)国内臨床試験を実施しなくとも、海外臨床試験の結果に基づいて承認されることは可能と考える		既存の海外臨床試験の結果を用いることで、国内臨床試験の実施は不要となるかという観点でお答えください。	
		8	(No.5の回答がNoの場合)可能でしたら、前問の回答を選択した理由を記載ください。	自由記述		
		9	小児用医薬品として開発を行う必要性がある			
	有効性及び安全性	類薬(既承認薬)との比較	10	国内既承認の類薬(同種同効薬と同義であり、同じ作用機序で同じ効能効果を有する医薬品)はない、又は標準的治療が本剤以外に存在しない。		*未承認・適応外使用されている医薬品を除く *合剤は、構成する全ての成分に既承認薬が存在する場合には「類薬あり」とし、それ以外は類薬なしと考える
			11	(No.10の回答がYesの場合)同種同効薬はないと回答したものの、同じ疾患に既に承認薬が存在する場合には、可能でしたら、当該承認薬が同種同効薬でないか判断した理由を、作用機序/効能効果/臨床上の位置付けの観点からご説明ください。	自由記述	
12			(No.10の回答がNoの場合)類薬がある場合は、可能でしたら、類薬の品目名を記載ください。	自由記述		
13			国内未承認だが海外既承認の類薬がある			
14			(No.13の回答がYesの場合)類薬がある場合は、可能でしたら、類薬の品目名を記載ください。	自由記述		
15			(国内既承認の類薬、国内未承認/海外既承認の類薬を含めても)本剤がBest in classである、又はBestな治療レジメン(併用療法/合剤)に不可欠である。		*Best in classとは類薬(同種同効薬)の中で臨床的有用性が最も高いと考えられている医薬品のこと。	
16			(No.15の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述		
17			(No.15の回答がNoまたはNAの場合)Best in classではないが、選択肢として有用性が期待できる			
18			(No.17の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述		
19			(No.15の回答がNoまたはNAの場合)Best in classではないが、安全性プロファイルが類薬と異なり、類薬を投与可能な対象において本剤は使用可能な患者が一定数存在する			
20			(No.19の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述		
有用性を期待する根拠			21	類薬(又は既存レジメン/合剤)との適切に設計された直接比較試験(原則治験)で有用性が示されている		
			22	(No.21の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述	
			23	(No.21の回答がNoまたはNAの場合)類薬(又は既存レジメン/合剤)との直接比較試験「以外」の前向き臨床試験(原則治験)により有用性が示されている		
			24	(No.23の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述	
	25	国内又は国際的に認められている主要ガイドラインで類薬(又は既存レジメン/合剤)又は既存治療と比較して高い優先度位置付けられている		*既存治療は既存の承認薬が存在せず、本剤以外に治療薬が存在しない場合も含む。		
	26	(No.25の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述			
改善するアウトカムの臨床的意義	27	生命予後の延長が期待できる		*期待できると判断する目安 ・前向き比較臨床試験(原則治験)で統計的に有意な、生命予後の延長が期待できる結果が得られていること。		
	28	(No.27の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述			
	29	(No.27の回答がNoまたはNAの場合)生命予後改善の期待は低いが、著しい生活の質の向上が期待できる		*期待できると判断する目安 ・前向き比較臨床試験(原則治験)で統計的に有意な、生活の質の向上が期待できる結果が得られていること。		
	30	(No.29の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述			
	31	(No.29の回答がNoまたはNAの場合)上記(「生命予後の延長」又は「著しい生活の質の向上」)以外の臨床的意義がある				
	32	(No.31の回答がYesの場合)可能であれば、臨床的意義と回答の根拠となる情報を記載ください	自由記述			
対象となる疾患	疾患の重篤性	33	治療介入しないと致死的である			
		34	(No.33の回答がNoまたはNAの場合)治療介入しないと著しく生活の質を落とす状態が長期に継続する			
	35	(No.34の回答がNoまたはNAの場合)治療介入しないと程度は低いが生活の質を落とす状態が長期に継続する				
	疾患の頻度	36	本邦において稀である(希少疾病である)(目安:医薬品使用対象が5万人未満である)			
		37	可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述		
バイオマーカー(有効性又は安全性)	38	(No.36の回答がYesまたはNAの場合)本邦では稀だが国外では比較的高頻度である				
	39	(No.38の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述			
	40	治療選択に必要なバイオマーカーが日常的に測定されている				
その他	41	(No.40の回答がYesの場合)可能であれば、前問の回答の根拠となる情報を記載ください。	自由記述			
	42	提示の品目以外に、貴学会でドラッグ・ロスと考えている品目はありますか?				
	43	(No.42の回答がYesの場合)前問でYesと回答した場合、その品目名を記載ください。	自由記述			

(参考資料2) ドラッグ・ロス品目の情報の整理結果

グループA「開発の必要性が特に高い医薬品」：14品目

(国内で類薬が承認されていない、標準的治療法がない疾患に対する医薬品、又は類薬が承認されている場合は類薬の中でも臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品など、可及的速やかに開発を行うべき医薬品)

品目番号	販売名	成分名(一般名)	効能・効果	備考
1	OXLUMO (オクスルモ)	ルマンランナトリウム	原発性高シュウ酸尿症 I 型	類薬 (Nedosiran) が開発中であり、本品目の至急の開発は不要という評価
2	DETECTNET (ディテクトネット)	銅-64 ドータテート	神経内分泌腫瘍の診断における陽電子放射断層撮影 (PET)	類薬 (NETSPOT) が開発中であり、本品目の至急の開発は不要という評価
3	DOJOLVI (ドジョルビ)	トリヘプタノイン	長鎖脂肪酸酸化障害	既に国内で開発を行っている企業あり
4	ARTESUNATE (アルテスネイト)	アルテスネイト	成人および小児の重症マラリアの治療	
5	AYVAKIT (アイバキット)	アバプリチニブ	成人の切除不能または転移性の消化管間質腫瘍 (GIST) で、血小板由来増殖因子受容体 $\alpha$ (PDGFRA) エクソン 18 に特定の変異 (D842V) を有する症例	
6	AKLIEF (アクリーフ)	トリファロテン	顔や体幹の尋常性ざ瘡	
7	GA-68-DOTATOC (ガリウム-68 ドタトック)	ガリウム-68 エドトレオチド	陽電子放射断層撮影 (PET) によるソマトスタチン受容体陽性神経内分泌腫瘍造影	類薬 (NETSPOT) が開発中であり、本品目の至急の開発は不要という評価
8	XENLETA (ゼンレタ)	レファムリン酢酸塩	細菌性の市中肺炎 (CABP) の治療	

9	PRETOMANID (プレトマニド)	プレトマニド	多剤耐性結核	既に医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望募集において、要望提出あり
10	ZULRESSO (ズルレッソ)	ブレキサノロン	産後うつ病 (PPD)	学会からの医療ニーズに関する回答提出が遅れたため、「ドラッグ・ロスの解消に向けた実態の把握及び情報の整理に関する調査事業」において情報を整理
11	NUZYRA (ヌジラ)	オマダサイクリン トシル酸塩	細菌性肺炎、急性細菌性皮膚・皮膚組織感染症	
12	OMEGAVEN (オメガヴェン)	精製魚油	非経口栄養関連胆汁うっ滞	既に医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の要望募集において、要望提出あり
13	NETSPOT (ネットスポット)	ガリウム-68 ドー タテート	陽電子放射断層撮影 (PET) によるソマトスタチン受容体 陽性神経内分泌腫瘍造影	既に国内で開発を行っている企業あり
14	ANTHIM (アンシム)	オビルトキサキシ マブ	吸入炭疽の治療	

グループB「開発の必要性が高い医薬品」：41品目

(臨床的な重要性の観点で最も優れる医薬品ではないが選択肢として有用性が期待できる医薬品など、開発を行うべき医薬品)

品目番号	販売名	成分名(一般名)	効能・効果
15	OLINVIK	オリセリジン	急性疼痛
16	CERIANNA	フルオロエストラジオール F 18	PET イメージング診断薬
17	EMFLAZA	デフラザコート	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
18	TRULANCE	プレカナチド	慢性特発性便秘、IBS
19	EBANGA	アンスビマブ	ザイールエボラウイルスによる感染
20	MARGENZA	マルゲツキシマブ	HER2 乳がん
21	DANYELZA	ナキシタマブ	神経芽細胞腫
22	INMAZEB	アトルティビマブ、マフティビマブ、オデシビマブ	ザイールエボラウイルスによる感染
23	LAMPIT	ニフルチモックス	シャーガス病
24	XEGLYZE	アバメタピル	アタマジラミの局所治療
25	QINLOCK	リプレチニブ	進行性消化管間質腫瘍
26	BARHEMSYS	アミスルプリド	悪心・嘔吐
27	UBRELVY	ウブロゲパント	片頭痛
28	CAPLYTA	ルマテペロントシル酸塩	統合失調症
29	EXEM FOAM KIT		超音波造影剤
30	TRIKAFTA	エレキサカフトール、テザカフトール、イバカフトール	嚢胞性線維症
31	FLUORODOPA	フルオロドパ (18F)	PET イメージング診断薬(dopa)
32	VYLEESI	ブレメラノタイド酢酸塩	性的欲求低下障害 (HSDD)
33	SUNOSI	ソルリアムフェトル	閉塞性睡眠時無呼吸症候群 (OSA)
34	EGATEN	トリクラベンダゾール	肝蛭症

35	ASPARLAS	カラスパルガーゼペゴル	急性リンパ性白血病 (ALL)
36	SEYSARA	サレサイクリン塩酸塩	尋常性ざ瘡
37	XERAVA	エラバサイクリン二塩酸塩	腹腔内感染 (症)
38	ANNOVERA	セゲステロン酢酸エステル、エチ ニルエストラジオール	避妊薬
39	YUPELRI	レベフェナシン	閉塞性肺疾患 (COPD)
40	ORILISSA	エラゴリクスナトリウム	子宮内膜症への痛み
41	ZEMDRI	プラゾマイシン硫酸塩	尿路感染症
42	LUCEMYRA	ロフェキシジン塩酸塩	オピオイド離脱症状緩和薬
43	LAMZEDE	ベルマナーゼアルファ	$\alpha$ -マンノシドーシス
44	SYMDEKO	テザカフトール、アイバカフトール	嚢胞性線維症
45	GIAPREZA	アンジオテンシン II	敗血症患者への血管収縮剤
46	MACRILEN	マシモレリン酢酸塩	成人成長ホルモン欠乏症の診断
47	SOLOSEC	セクニダゾール	細菌性膣炎
48	BENZNIDAZOLE	ベンズニダゾール	シャーガス病
49	VOSEVI	ソホスブビル、ベルパタスビル、 ボキシラプレビル	HCV, 代償性肝硬変
50	BEVYXXA	ベトリキサバン	静脈血栓塞栓症
51	AUSTEDO	デューテトラベナジン	ハンチントン病、遅発性ジスキネジア
52	XERMELO	テロトリスタットエチプレート	カルチノイド症候群下痢
53	EXONDYS 51	エテプリルセン	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
54	XIIDRA	リフィテグラスト	ドライアイ
55	NUPLAZID	ピマバンセリン酒石酸塩	パーキンソン病

グループC「開発の必要性が低い医薬品」：11品目

(国内に同程度又はより高い有用性を有する類薬が存在する医薬品など、開発の必要性は低い医薬品)

品目番号	販売名	成分名（一般名）	効能・効果
56	HEPCLUDEX	ブレビルチド酢酸塩	代償性肝疾患
57	RUKOBIA	ホステムサビルトロメタミン	HIV-1 感染症
58	VYONDYS 53	ゴロジルセン	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
59	WAYLIVRA	ボラネソルセンナトリウム	家族性高カイロミクロン血症症候群 (FCS)
60	AEMCOLO	リファマイシン	旅行者下痢
61	MOXIDECTIN	モキシデクチン	オンコセルカ症の駆虫薬
62	TROGARZO	イバリズマブ	HIV-1 感染症
63	TOOKAD	パデリポルフィン	前立腺がん
64	VABOMERE	メロペネム、バボルバクタム	尿路感染症
65	BAXDELA	デラフロキサシンメグルミン	急性細菌性皮膚感染症 (ABSSSI)
66	IDEFIRIX	イムリフィダーゼ	腎臓移植に伴う脱感作

グループD「開発の必要性がない医薬品」：12品目

(国内に患者が存在しない又は国内に複数の類薬が存在する医薬品など、国内への導入は不要な医薬品)

品目番号	販売名	成分名（一般名）	効能・効果
67	OXBRYTA	ボキセロートル	鎌状赤血球症
68	ADAKVEO	クリザンリズマブ	鎌状赤血球症による血管閉塞軽減
69	ZYNQUISTA	ソタグリフロジン	1型糖尿病
70	JEUVEAU	プラボツリヌス毒素 A-xvfs	眉間のしわ
71	LUMOXITI	モキセツモマブ パストトクス	有毛細胞白血病（HCL）
72	DELSTRIGO	ドラビリン、ラミブジン、テノホビル ルジソプロキシル	HIV-1 感染症
73	KRINTAFEL	タフェノキンコハク酸塩	マラリア
74	SEGLUROMET	エルツグリフロジン、シタグリプチン、 ハイドロクロライド	2型糖尿病
75	STEGLUJAN	エルツグリフロジン、シタグリプチン	2型糖尿病
76	DUZALLO	レシヌラド、アロプリノール	高尿酸血症
77	ACCRUFER	マルトール第二鉄	鉄欠乏症
78	ZEPATIER	エルバスビル、グラゾプレビル	HCV

