

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2019年度まで(2008.4.1~2020.3.31)に新有効成分含有医薬品として承認された468医薬品から、未発売又は発売中止の品目、ワクチン等保険給付対象外の品目、再審査期間中の同一成分に係る新有効成分含有医薬品としての承認品目を除いた433医薬品。

対象医薬品のうち、一部変更承認申請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。

次いで、効能追加(申請区分4.新効能)に該当する一部変更承認に焦点を絞り、全承認品目に占める効能追加承認品目の割合、品目ごとの効能追加承認の回数を薬効分類別に集計した。さらに、新有効成分含有医薬品としての承認(初回承認)から、1回目の一部変更承認(新効能)までの期間(か月)を、

初回承認年月 - 1回目の一部変更承認(新効能)年月

により、算出し、承認年度別、薬効分類別及び希少疾病用医薬品等への該当別に集計した。

効能追加承認品目の薬価に関して、2020年4月までの市場拡大再算定(類似品を除く。)の実施の有無を中央社会保険医療協議会の公開資料から調査し、薬効分類別に集計した。また市場拡大再算定該当品目と非該当品目別に新有効成分含有医薬品としての承認(初回承認)から、1回目の一部変更承認(新効能)までの期間(か月)を算出した。

3. 結果

(1) 一部変更承認の回数

2020年12月31日までに、対象医薬品433医薬品のうち158医薬品に、一部変更承認がのべ270回行われていた(表1)。

表1 対象医薬品の一部変更承認(一変)の回数(433医薬品のうち158医薬品)

一変承認の回数	品目数 N	%
1回	106	67.1%
2回	23	14.6%
3回	19	12.0%
4回	5	3.2%
5回	1	0.6%
6回	2	1.3%
7回	0	0.0%
8回	0	0.0%
9回	0	0.0%
10回	0	0.0%
11回	0	0.0%
12回	2	1.3%
合計	158	100.0%

のべ 270 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 270 一変承認）

	一部変更承認すべて (N=270)		1回目の一部変更承認(N=158)		2回目の一部変更承認(N=52)		3回目の一部変更承認(N=29)	
	N	%	N	%	N	%	N	%
3 新投与経路	4	1.5%	3	1.9%	1	1.9%	0	0.0%
4 新効能	214	79.3%	125	79.1%	42	80.8%	25	86.2%
5 新剤型	5	1.9%	4	2.5%	0	0.0%	1	3.4%
6 新用量	180	66.7%	107	67.7%	35	67.3%	16	55.2%
8 剤型追加	22	8.1%	15	9.5%	2	3.8%	3	10.3%
10 その他	12	4.4%	7	4.4%	2	3.8%	0	0.0%
希少疾病用医薬品	66	24.4%	35	22.2%	15	28.8%	7	24.1%
優先審査品目*	19	7.0%	9	5.7%	5	9.6%	2	6.9%
通常審査品目**	185	68.5%	114	72.2%	32	61.5%	20	69.0%
審議	136	50.4%	85	53.8%	25	48.1%	15	51.7%
報告	134	49.6%	73	46.2%	27	51.9%	14	48.3%

申請区分別、希少疾病用医薬品、優先審査品目、審議／報告の別（延べ数：270 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）158 医薬品

* 希少疾病用医薬品を除く。

**希少疾病用医薬品及び優先審査品目以外

270 の一部変更承認が行われた 158 医薬品の薬効群を表 3 に示す。

表 3 一部変更承認の薬効群

		承認品目数 (N=433)	一変品目数 (N=158)	承認品目数に 対する一変品 目の割合
		N	N	%
11	中枢神経系用薬	48	12	25.0%
12	末梢神経系用薬	5	3	60.0%
13	感覚器官用薬	14	4	28.6%
19	その他の神経系及び感覚器官用医薬品	1	0	0.0%
21	循環器官用薬	25	8	32.0%
22	呼吸器官用薬	12	3	25.0%
23	消化器官用薬	13	5	38.5%
24	ホルモン剤	18	9	50.0%
25	泌尿生殖器官及び肛門用薬	3	0	0.0%
26	外皮用薬	7	0	0.0%
29	その他の個々の器官系用医薬品	1	0	0.0%
31	ビタミン剤	2	0	0.0%
32	滋養強壯薬	2	0	0.0%
33	血液・体液用薬	11	3	27.3%
39	その他の代謝性医薬品	81	33	40.7%
42	腫瘍用薬	91	51	56.0%
43	放射性医薬品	4	0	0.0%
44	アレルギー用薬	10	4	40.0%
61	抗生物質製剤	9	3	33.3%
62	化学療法剤	35	10	28.6%
63	生物学的製剤	28	8	28.6%
64	寄生動物用薬	5	1	20.0%
72	診断用薬	4	1	25.0%
79	その他の治療を主目的としない医薬品	1	0	0.0%
81	アルカロイド系麻薬	1	0	0.0%
82	非アルカロイド系麻薬	2	0	0.0%
		433	158	36.5%

※433 医薬品

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) 効能追加 131 医薬品のべ 214 回の一変（新効能）に関する分析

表 4 薬効群別の一部変更承認（新効能）の状況

	承認品目数 (N=433)	一変(新効能)品目数 (N=131)	承認品目数 に対する一 変(新効能) 品目の割合	一変(新効能) のべ回数 (N=214)	一品目当たり の平均一変 (新効能)回 数(回)
	N	N	%	N	%
11 中枢神経系用薬	48	11	22.9%	21	0.44
12 末梢神経系用薬	5	3	60.0%	3	0.60
13 感覚器官用薬	14	2	14.3%	8	0.57
19 その他の神経系及び感覚器官用医薬品	1	0	0.0%	0	0.00
21 循環器官用薬	25	8	32.0%	10	0.40
22 呼吸器官用薬	12	3	25.0%	4	0.33
23 消化器官用薬	13	3	23.1%	4	0.31
24 ホルモン剤	18	6	33.3%	7	0.39
25 泌尿生殖器官及び肛門用薬	3	0	0.0%	0	0.00
26 外皮用薬	7	0	0.0%	0	0.00
29 その他の個々の器官系用医薬品	1	0	0.0%	0	0.00
31 ビタミン剤	2	0	0.0%	0	0.00
32 滋養強壯薬	2	0	0.0%	0	0.00
33 血液・体液用薬	11	3	27.3%	3	0.27
39 その他の代謝性医薬品	81	30	37.0%	55	0.68
42 腫瘍用薬	91	46	50.5%	79	0.87
43 放射性医薬品	4	0	0.0%	0	0.00
44 アレルギー用薬	10	2	20.0%	3	0.30
61 抗生物質製剤	9	1	11.1%	1	0.11
62 化学療法剤	35	6	17.1%	6	0.17
63 生物学的製剤	28	6	21.4%	9	0.32
64 寄生動物用薬	5	0	0.0%	0	0.00
72 診断用薬	4	1	25.0%	1	0.25
79 その他の治療を主目的としない医薬品	1	0	0.0%	0	0.00
81 アルカロイド系麻薬	1	0	0.0%	0	0.00
82 非アルカロイド系麻薬	2	0	0.0%	0	0.00
	433	131	30.3%	214	-

※433 医薬品

表 5-1 承認年度別の一部変更（新効能、1回目）までの期間

承認年度	承認品目数 (N=433)	一変(新効能) 品目数(N=131)	承認品目数 に対する一 部変更(新効 能)品目の割 合	1回目的一部変更(新効能)までの期間			中央値	最小値	最大値
	N	N	%	平均値±S.D.(か月)			か月	か月	か月
2008	29	15	51.7	52.1	±	25.9	52.0	21.0	104.0
2009	24	5	20.8	35.2	±	14.0	37.0	19.0	55.0
2010	36	17	47.2	47.6	±	31.9	41.0	2.0	101.0
2011	36	14	38.9	44.3	±	20.3	45.5	11.0	72.0
2012	40	10	25.0	33.6	±	20.3	32.5	5.0	62.0
2013	32	13	40.6	53.9	±	21.8	60.0	12.0	83.0
2014	47	12	25.5	34.5	±	24.2	29.5	8.0	75.0
2015	40	11	27.5	30.7	±	12.7	29.0	9.0	53.0
2016	38	9	23.7	26.0	±	14.7	27.0	3.0	52.0
2017	37	12	32.4	19.3	±	11.9	20.0	2.0	41.0
2018	38	8	21.1	15.9	±	6.1	13.0	10.0	25.0
2019	36	5	13.9	8.6	±	4.6	7.0	4.0	14.0
合計	433	131	30.3	36.7	±	24.1	33.0	2.0	104.0

※433 品目

表 5-2 薬効群別 一部変更（新効能、1回目）までの期間

		一部変更 (新効能) 品目数	1回目的一部変更(新効能)までの期間			中央値	最小値	最大値
		N	平均値±S.D.(か月)			か月	か月	か月
11	中枢神経系用薬	11	36.9	±	28.7	33.0	2.0	104.0
12	末梢神経系用薬	3	47.7	±	16.1	41.0	36.0	66.0
13	感覚器官用薬	2	34.5	±	29.0	34.5	14.0	55.0
21	循環器官用薬	8	46.8	±	22.9	44.0	13.0	85.0
22	呼吸器官用薬	3	54.3	±	38.4	39.0	26.0	98.0
23	消化器官用薬	3	13.7	±	5.5	11.0	10.0	20.0
24	ホルモン剤	6	45.0	±	24.1	48.5	17.0	77.0
33	血液・体液用薬	3	40.3	±	4.0	41.0	36.0	44.0
39	その他の代謝性医薬品	30	41.6	±	26.1	38.0	4.0	101.0
42	腫瘍用薬	46	32.5	±	23.7	24.0	2.0	83.0
44	アレルギー用薬	2	24.5	±	14.8	24.5	14.0	35.0
61	抗生物質製剤	1	11.0	±		11.0	11.0	11.0
62	化学療法剤	6	32.2	±	16.5	32.0	8.0	58.0
63	生物学的製剤	6	29.0	±	22.3	23.5	9.0	66.0
72	診断用薬	1	54.0	±		54.0	54.0	54.0
	合計	131	36.7	±	24.1	33.0	2.0	104.0

一部変更承認（新効能）があった 131 品目

表 6 初回承認医薬品の背景別の一部変更（新効能、1回目）までの期間

	品目数	1回目の一部変更(新効能)までの期間		中央値	最小値	最大値
	N	平均値±S.D.(か月)		か月	か月	か月
希少疾病用医薬品	38	37.1	± 26.7	28	2	101
優先審査品目*	12	39.5	± 25.3	37	5	83
通常審査品目**	81	36.1	± 23.0	33	4	104

* 希少疾病用医薬品を除く。

**希少疾病用医薬品及び優先審査品目以外

表 7 一部変更（新効能）の属性別 一部変更（新効能、1回目）までの期間

	品目数	最初の一部変更(新効能)までの期間		中央値	最小値	最大値	P value
	N	平均値±S.D.(か月)		か月	か月	か月	
希少疾病用医薬品	30	39.6	± 25.8	43.0	2.0	85.0	
優先審査品目*	8	24.1	± 15.6	22.0	5.0	53.0	
通常審査品目**	93	36.9	± 24.0	33.0	3.0	104.0	
審議品目	76	41.8	± 23.8	39.5	3.0	104.0	0.002*
報告品目	55	29.8	± 23.1	25.0	2.0	98.0	

* 希少疾病用医薬品を除く。

**希少疾病用医薬品及び優先審査品目以外

P value: Mann-Whitney-U test

表 8 拡大再算定と一部変更（新効能）
市場拡大再算定 25 品目（27 回）（類似品を除く）

		一部変更 (新効能) 品目数	市場拡大再算定品目	
		N	N	%
11	中枢神経系用薬	11	5	45.5%
12	末梢神経系用薬	3	1	33.3%
13	感覚器官用薬	2	2	100.0%
21	循環器官用薬	8	2	25.0%
22	呼吸器官用薬	3	0	0.0%
23	消化器官用薬	3	1	33.3%
24	ホルモン剤	6	0	0.0%
33	血液・体液用薬	3	1	33.3%
39	その他の代謝性医薬品	30	4	13.3%
42	腫瘍用薬	46	5	10.9%
44	アレルギー用薬	2	0	0.0%
61	抗生物質製剤	1	0	0.0%
62	化学療法剤	6	3	50.0%
63	生物学的製剤	6	1	16.7%
72	診断用薬	1	0	0.0%
		131	25	19.1%

表 9 再算定対象の別 一部変更（新効能、1 回目）までの期間

	品目数	最初の一部変更(新効能)までの期間		中央値	最小値	最大値	P value
	N	平均値±S.D.(か月)		か月	か月	か月	
再算定対象外品目	106	36.3	± 23.0	33.0	2.0	101.0	1.00
再算定対象品目	25	38.4	± 29.1	33.0	2.0	104.0	

P value: Mann-Whitney-U test

表 10 再算定対象の別による一部変更承認（新効能）の状況

	品目数	のべ変回数 (新効能)	1品目あたり のべ変回数 (新効能)
再算定対象品目	25	56	2.2
再算定対象外品目	106	158	1.5