

薬生薬審発 1126 第 1 号
令和 3 年 11 月 26 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 2 号
医薬品の名称	バリシチニブ
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果	I 型インターフェロン関連自己炎症性疾患（中條-西村症候群、乳児発症性 STING 関連血管炎、エカルディ・グティエール症候群）
申 請 者	日本イーライリリー株式会社
指 定 理 由	① 本剤は、JAK1/2 のリン酸化を阻害することにより、JAK/STAT シグナル伝達経路を阻害する JAK 阻害薬であり、本剤と同一の作用機序を有する既承認薬は存在するが対象疾患への適応は初めての医薬品である。 ② 対象疾患では、炎症によって進行する間質性肺疾患や中枢神経障害、筋炎等の臓器障害は不可逆的であり、臓器障害の進行により患者の生命が脅かされることから、生命に重大な影響がある重篤な疾患である。 ③ 海外で実施された臨床試験の結果に基づき本剤の有効性は一定程度期待できると考えられ、また、対象疾患に対する既承認薬が存在しない。 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。