

2005

New Drug Approvals In 2004

PRESENTED BY AMERICA'S PHARMACEUTICAL COMPANIES

2004年に承認された新薬 がん治療薬、感染症治療薬など38種が新たに加わる

2004年、製薬会社およびバイオテクノロジー企業から患者のもとに38種の新治療薬が届けられた。これらは新規化合物薬剤31種、治療用生物製剤5種、生物製剤2種である。2004年から治療用生物製剤のレビューは、すべてFDAの生物製剤評価研究センター（CBER）から医薬品評価研究センター（CDER）に移管された。これらの薬剤、生物製剤には次のようなものがある。

- ・がん治療薬6種：結腸直腸がん用遺伝子組み換え薬、骨髄の通常機能を損なう障害群の最初の効果的な治療薬、骨髄移植を受けているがん患者の重度の口内炎用の初めての治療薬など。
- ・感染症治療薬3種：急性副鼻腔炎治療薬、性感染症治療薬1種、旅行者下痢治療薬1種など。
- ・透析を受けている慢性腎疾患患者向けの新しいクラスの最初の薬剤、末期腎不全患者用新薬剤。
- ・不動状態にあるパーキンソン病患者の初めての治療薬。
- ・疼痛治療薬2種：重度で慢性的な痛みを治療する斬新な治療法を提示する新クラスの薬剤第1号である海蛇の毒の合成型、糖尿病や帯状疱疹に関連する神経因性疼痛の最初の治療薬。
- ・特定の放射能汚染の治療薬2種：放射能物質を人体から取り除き、米国民を原発事故やテロ攻撃などから守る。

2004年の新規承認薬については11頁以降に詳述する。

全体として新規治療薬119種がFDAに承認された。これには新規化合物31種、生物製剤7種、新規薬剤81種がある。

タフツ大学新薬研究センターの報告によれば、新規承認薬1種類当たりの研究開発コストは平均8億2百万ドルである。これはわずか10年で薬剤開発コストが2.5倍上昇した計算となる。この数字は、新薬開発にはより多くの研究と、より複雑で大規模な臨床試験が必要であることを示している。

薬剤開発は依然として長い期間と費用のかかるものである。2004年のPhRMA会員企業による研究開発費は388億ド

ルに上ると見られる（研究開発および売り上げに関する詳細は20頁を参照のこと）。また、タフツ大学によれば、現在新薬が研究室から患者のもとに届くまでには平均して10年～15年を要する。これには製薬会社が新薬承認申請を提出し、FDAが審査を行う期間が含まれている。2004年に承認された新薬36種の審査には平均して18.1カ月を要した。さらに、2004年に新たに認可された生物製剤2種の審査期間は平均して19.8カ月であった。（詳細は19頁を参照のこと）。

PhRMA会員企業は新薬の開発に加え、薬剤をより手頃な値段で入手できるような方策を支持している。2003年に成立したメディケア改正法では処方薬を保険給付対象にすることが記されているが、これにより処方薬保険に未加入の米国人1,000万人がこれらの保険を手にすることができ、数百万人の処方薬保険加入者が、今以上に改善される処方薬の保険を受けることになる。2006年からの施行であるが、全メディケア受給者は昨年より割引プログラムの適用資格を手にした。

今日、PhRMA会員企業の新薬パイプライン上にある開発中の新規薬剤は1,000種を超え、ヒト遺伝子が解明されたことで、この数字はさらに増加するものと予測される。これらの新薬はさまざまな疾病に対し、より優れた予防法、治療法、治癒を約束するものであり、高齢化社会に伴って米国が直面するヘルスケア問題の解決の一部となるということも、同様に重要なこととして忘れてはならない。

米国の製薬各社が患者の力になるべく開発してきた膨大な薬剤に、昨年新たに承認を受けた薬剤が加わった。現在製薬会社の開発パイプライン上にある薬剤は、患者により健やかな未来を約束している。



ビリー・トーザン
PhRMA理事長

2004年に承認された新薬および治療用生物製剤*

Product	Company	Indication/Use	NDA/BLA Received	FDA Approved	Review Time
Alimta® pemetrexed (P) (Orphan Drug)	Eli Lilly <i>Indianapolis, IN</i>	treatment of malignant pleural mesothelioma (asbestos-related cancer)	9/30/03	2/4/04	4.2 months
<i>For more information contact: Judy Moore, (317) 277-6265; www.alimta.com</i>					
Amphadase™ hyaluronidase injection (P)	Amphastar Pharmaceuticals <i>Rancho Cucamonga, CA</i>	adjuvant to increase the absorption and dispersion of other injected drugs; for hypodermoclysis; and as an adjunct in subcutaneous urography for improving resorption of radiopaque agents	7/7/03	10/26/04	15.7 months
<i>For more information contact: (800) 423-4136; www.amphastar.com</i>					
Apidra® insulin glulisine [rDNA origin] injection (S)	Sanofi-aventis <i>Bridgewater, NJ</i>	treatment of adults with type 1 and type 2 diabetes (control of hyperglycemia)	6/18/03	4/16/04	10.0 months
<i>For more information contact: Terri Pedone, (908) 243-6578; www.apidra.com</i>					
Apokyn™ apomorphine HCl injection (P) (Orphan Drug)	Mylan Bertek Pharmaceuticals <i>Rsch. Triangle Park, NC</i>	acute, intermittent treatment of hypomobility "off" episodes associated with advanced Parkinson's disease	1/2/03	4/20/04	15.6 months
<i>For more information contact: www.apokyn.com</i>					
Avastin™ bevacizumab (P)	Genentech <i>South San Francisco, CA</i>	treatment of first-line or previously untreated metastatic colorectal cancer	9/30/03	2/26/04	4.9 months
<i>For more information contact: Corporate Relations, (650) 467-6800; www.avastin.com</i>					
Campral® acamprosate calcium (P)	Forest Laboratories <i>New York, NY</i> Merck KGaA <i>Darmstadt, Germany</i>	maintenance of abstinence from alcohol in patients with alcohol dependence who are abstinent at treatment initiation	12/27/01	7/29/04	31.1 months
<i>For more information contact: Professional Affairs (Forest), (800) 678-1605; www.campral.com</i>					
Clolar™ clofarabine (P) (Orphan Drug)	Genzyme Corporation <i>Cambridge, MA</i>	treatment of children with refractory or relapsed acute lymphoblastic leukemia	3/30/04	12/28/04	9.0 months
<i>For more information contact: Maria Foley, (617) 768-6690; www.genzymeoncology.com</i>					

*Approved by the Center for Drug Evaluation and Review.

(S)–Standard Approval

(P)–Priority Approval

Product	Company	Indication/Use	NDA/BLA Received	FDA Approved	Review Time
Cymbalta® duloxetine HCl (S)	Eli Lilly <i>Indianapolis, IN</i>	treatment of major depression	11/13/01	8/3/04	32.7 months
<i>For more information contact: David Shaffer, (317) 651-3710; www.cymbalta.com</i>					
Enablex® darifenacin (S)	Novartis Pharmaceuticals <i>East Hanover, NJ</i>	treatment of overactive bladder	12/3/02	12/22/04	24.7 months
<i>For more information contact: (888) NOW-NOVA (888-669-6682); www.enablex.com</i>					
Erbitux™ cetuximab (P)	Bristol-Myers Squibb <i>Princeton, NJ</i> Imclone Systems <i>New York, NY</i>	treatment of metastatic colorectal cancer	8/14/03	2/12/04	6.0 months
<i>For more information contact: Bristol-Myers Squibb, (800) 332-2056; Imclone, (212) 645-1405; www.erbitux.com</i>					
Fosrenol® lanthanum carbonate (S)	Shire Pharmaceuticals <i>Philadelphia, PA</i>	reduction of elevated blood levels of phosphate in end-stage renal disease (ESRD)	4/30/02	10/26/04	29.9 months
<i>For more information contact: Matt Cabrey, (484) 595-8248; mcabrey@us.shire.com; www.fosrenol.com</i>					
Human Secretin human secretin for injection (P)	ChiRhoClin <i>Burtonsville, MD</i>	stimulation of pancreatic secretions to aid in the diagnosis of pancreatic exocrine dysfunction, stimulation of gastrin secretion to aid in the diagnosis of gastrinoma, and stimulation of pancreatic secretion to facilitate the identification of the ampulla of Vater and accessory papilla during endoscopic retrograde cholangiopancreatography	6/14/01	4/9/04	33.9 months
<i>For more information contact: Skip Purich, (301) 476-8388 or (877) 272-4888; www.humansecretin.com</i>					
Kepivance™ palifermin (P)	Amgen <i>Thousand Oaks, CA</i>	treatment of severe oral mucositis (mouth sores) in patients undergoing chemotherapy	6/15/04	12/15/04	6.0 months
<i>For more information contact: (800) 77-AMGEN (800-772-6436); www.kepivance.com</i>					
Ketek™ telithromycin (S)	Sanofi-aventis <i>Bridgewater, NJ</i>	treatment of mild to moderate community-acquired respiratory tract infections	3/1/00	4/1/04	49.1 months
<i>For more information contact: Melissa Feltmann, (908) 243-7080; www.ketek.com</i>					
Lunesta™ eszopiclone (S)	Sepracor <i>Marlborough, MA</i>	treatment of insomnia	1/31/03	12/15/04	22.5 months
<i>For more information contact: Jonae R. Barnes, (508) 481-6700; www.lunesta.com</i>					

Product	Company	Indication/Use	NDA/BLA Received	FDA Approved	Review Time
Lyrica™ pregabalin (P)	Pfizer New York, NY	management of neuropathic pain associated with diabetic peripheral neuropathy and postherpetic neuralgia	10/31/03	12/30/04	14.0 months
<i>For more information contact: Mariann Caprino, (212) 733-4554; (800) TRY-FIRST (800-879-3477); www.lyrica.com</i>					
Macugen® pegaptanib sodium injection (P)	Eyetechn Pharmaceuticals New York, NY Pfizer New York, NY	treatment of neovascular (wet) age-related macular degeneration	6/17/04	12/17/04	6.0 months
<i>For more information contact: Loni da Silva (Eyetechn), (212) 824-3100; Daniel Watts (Pfizer), (212) 733-3835; (800) TRY-FIRST (800) 879-3477 (Pfizer); www.macugen.com</i>					
MultiHance® gadobenate dimeglumine (S)	Bracco Diagnostics New York, NY	imaging of the central nervous system to visualize lesions with abnormal blood brain barrier or abnormal vascularity of the brain, spine and associated tissues	4/27/01	11/23/04	42.9 months
<i>For more information contact: Bracco Diagnostics Legal Department, (609) 514-2200; www.multihance.com</i>					
NeuroSpec™ technetium 99m Tc fanolesomab (S)	Palatin Technologies Cranbury, NJ	diagnosis of appendicitis in patients with equivocal signs	11/22/99	7/2/04	55.4 months
<i>For more information contact: www.neutrospec.com. Marketed by Mallinckrodt Imaging.</i>					
NutreStore™ L-glutamine (S) (Orphan Drug)	Nutritional Restart Pharmaceutical Durham, NC	treatment of short bowel syndrome	8/11/03	6/10/04	10.0 months
<i>For more information contact: (919) 381-2311</i>					
Omacor® omega-3 acid ethyl esters (S)	Reliant Pharmaceuticals Liberty Corner, NJ Pronova Biocare AS Oslo, Norway	adjunct to diet for reduction of triglycerides in patients with very high triglycerides	1/12/04	11/10/04	10.0 months
<i>For more information contact: Linda Richardson (Reliant), (908) 580-1200; www.reliantrx.com</i>					
Pentetate Calcium Trisodium Injection Ca-DTPA (P) (Orphan Drug)	Hameln Pharmaceuticals Hameln, Germany	antiradiation	4/28/04	8/11/04	3.5 months
<i>For more information contact: Dr. Mathias Dewald, m.dewald@hm-ph.com; www.hameln-pharmaceuticals.com</i>					
Pentetate Zinc Trisodium Injection Zn-DTPA (P) (Orphan Drug)	Hameln Pharmaceuticals Hameln, Germany	antiradiation	4/28/04	8/11/04	3.5 months
<i>For more information contact: Dr. Mathias Dewald, m.dewald@hm-ph.com; www.hameln-pharmaceuticals.com</i>					

Product	Company	Indication/Use	NDA/BLA Received	FDA Approved	Review Time
Prialt® ziconotide (P)	Elan Corporation <i>Dublin, Ireland</i>	management of severe chronic pain	12/28/99	12/28/04	60.1 months
<i>For more information contact: Medical Information Services, (888) 638-7605; www.prialt.com</i>					
Sanctura™ trospium chloride (S)	Indevus Pharmaceuticals <i>Lexington, MA</i>	treatment of overactive bladder	4/29/03	5/28/04	13.0 months
<i>For more information contact: (877) 427-9068. Marketed by Odyssey Pharmaceuticals and Indevus Pharmaceuticals.</i>					
Sensipar™ cinacalcet HCl (P) (Orphan Drug)	Amgen <i>Thousand Oaks, CA</i> NPS Pharmaceuticals <i>Salt Lake City, UT</i>	treatment of secondary hyperparathyroidism in chronic kidney disease in patients on dialysis and for treatment of hypercalcemia in patients with parathyroid carcinoma	9/8/03	3/8/04	6.0 months
<i>For more information contact: (800) 77-AMGEN (800-772-6436); www.sensipar.com</i>					
Spiriva® HandiHaler® tiotropium bromide inhalation powder (S)	Boehringer Ingelheim Pharmaceuticals <i>Ridgefield, CT</i> Pfizer <i>New York, NY</i>	treatment of chronic obstructive pulmonary diseases (COPD)	12/13/01	1/30/04	25.6 months
<i>For more information contact: Lara Crissey (Boehringer Ingelheim), (203) 798-4740; Vanessa Aristide (Pfizer), (212) 733-3784; (800) TRY-FIRST (800-879-3477) (Pfizer); www.spiriva.com</i>					
Tarceva™ erlotinib (P)	Genentech <i>South San Francisco, CA</i> OSI Pharmaceuticals <i>Melville, NY</i>	treatment of advanced or metastatic non-small-cell lung cancer (NSCLC)	7/30/04	11/18/04	3.6 months
<i>For more information contact: Corporate Relations (Genentech), (650) 467-6800; Kathy Galante (OSI), (631) 962-2000; www.tarceva.com</i>					
Tindamax™ tinidazole (S)	Presutti Laboratories <i>Rolling Meadows, IL</i>	treatment of trichomoniasis, giardiasis, intestinal amebiasis, amebic liver abscess	7/17/03	5/17/04	10.0 months
<i>For more information contact: John Presutti, (888) 405-7800 or (847) 483-6050; www.tindamax.com; www.presuttilabs.com</i>					
Tysabri® natalizumab (P)	Biogen Idec <i>Cambridge, MA</i> Elan Corporation <i>Dublin, Ireland</i>	treatment of relapsing forms of multiple sclerosis to reduce the frequency of clinical relapses	5/24/04	11/23/04	6.0 months
<i>For more information contact: Amy Brockelman (Biogen Idec), (617) 914-6524 Biogen Idec and Elan voluntarily suspended marketing of Tysabri in March 2005.</i>					
Ventavis™ iloprost (P) (Orphan Drug)	CoTherix <i>South San Francisco, CA</i>	treatment of pulmonary arterial hypertension	6/30/04	12/29/04	6.0 months
<i>For more information contact: Anne Bowdidge, (650) 808-6500; www.cotherix.com</i>					

Product	Company	Indication/Use	NDA/BLA Received	FDA Approved	Review Time
Vesicare [®] solifenacin succinate (S)	Yamanouchi Pharma America Paramus, NJ GlaxoSmithKline Philadelphia, PA Rsch. Triangle Park, NC	treatment of overactive bladder	12/19/02	11/19/04	23.0 months
<i>For more information contact: Yamanouchi Pharma America Contact Center, (866) 972-4636; contactypa@yamanouchi-america.com; GlaxoSmithKline, (919) 483-2839; www.vesicare.com</i>					
Vidaza [™] azacitidine for injectable suspension (P) (Orphan Drug)	Pharmion Boulder, CO	treatment of myelodysplastic syndromes	12/29/03	5/19/04	4.7 months
<i>For more information contact: Breanna Burkart, (720) 564-9150; www.vidaza.com</i>					
VisionBlue [®] trypan blue ophthalmic solution (P)	D.O.R.C. International Zuidland, The Netherlands Dutch Ophthalmic USA Kingston, NH	staining the anterior lens capsule during cataract surgery	10/27/03	12/16/04	13.7 months
<i>For more information contact: Dutch Ophthalmic USA, (800) 75-DUTCH (800-642-8468)</i>					
Vitrase [®] hyaluronidase for injection, lyophilized, ovine (P)	Ista Pharmaceuticals Irvine, CA	a spreading agent to facilitate the disperion and absorption of other drugs	8/5/03	5/5/04	9.0 months
<i>For more information contact: Vince Anido, (949) 788-5311; www.istavision.com</i>					
Xifaxan [™] rifaximin (S)	Salix Pharmaceuticals Raleigh, NC	treatment of travelers' diarrhea caused by noninvasive strains of <i>E. coli</i>	12/26/01	5/25/04	29.0 months
<i>For more information contact: Mike Freeman, (919) 862-1000; www.xifaxan.com</i>					

2004年に承認された生物製剤*

Product	Company	Indication/Use	BLA Received	FDA Approved	Review Time
Octagam® immune globulin intravenous (human) (S)	Octapharma USA Centreville, VA	treatment of primary immunodeficiency diseases	6/21/02	5/21/04	23.0 months
<i>For more information contact: Pat Arzillo, (703) 766-4860; www.octapharma.com</i>					
Rhophylac® Rho(D) immune globulin intravenous (human) (S)	ZLB Behring King of Prussia, PA	routine antepartum and postpartum prevention of Rho(D) immunization in Rho(D) negative women	9/27/02	2/12/04	16.5 months
<i>For more information contact: (610) 878-4000; www.rhophylac.com; www.zlbbehring.com</i>					

*Approved by the Center for Biologics Evaluation and Review.

The content of this survey has been obtained through government and industry sources. The information may not be comprehensive. For more specific information about a particular product, contact the individual company directly.

PhRMA Internet address: www.phrma.org

Provided as a Public Service by PhRMA. Founded in 1958 as the Pharmaceutical Manufacturers Association.

Copyright © 2005 by the Pharmaceutical Research and Manufacturers of America. Permission to reprint is awarded if proper credit is given.

用語解説

補助の—他の薬物の作用を助長する物質または薬物。

アルコール依存症(アルコール中毒)—はっきりとした症状が現れる慢性疾患。3分の2のアルコール依存症者は5年後も依存症のままとなる。2001年、アルコール依存症者は推定540万人(12歳以上)。

アメーバ症—単細胞の寄生虫である赤痢アメーバに感染して生じる病気。貧弱な衛生状態に置かれている発展途上国などに多く見られる。米国では発展途上国からの移民に多く見られ、発展途上国への旅行経験者や貧弱な衛生状態下にある施設に生活している人にも見られる。平均して赤痢アメーバ感染者の10人に1人が発症。アメーバ症の重度の症状がアメーバ赤痢となる。まれに肝臓に入り込み、膿瘍を形成することがある。

虫垂炎—盲腸での急性炎で、一般的に子供や若年成人に発症し、腹痛や腹膜炎(腹腔内で起きる炎症)が生じる。米国では毎年10万人に約200人が発症。誰でも虫垂炎にかかる可能性があるが、幼児や高齢者ではあまり発症しない。米国では緊急腹部手術の最も多い原因だが、発展途上国では比較的少ない。

BLA—生物学的製剤申請書

慢性閉塞性肺疾患—慢性気管支炎と気腫の総称。徐々に呼吸機能が低下し、低酸素血症(血液の酸素濃度の少ない状態)をいずれ引き起こす。

結腸直腸がん—西洋諸国では二番目に多く見られるがんで、がんによる死の第2位に挙げられる。発生率は40歳から上昇し、60歳から75歳の間で最も高

い。大腸がんは女性により多く見られ、直腸がんは男性により多く見られる。

うつ病—親しい人の死など悲しい出来事の後には激しい悲しみが続くが、その度合いおよび期間が、常軌を逸しているもの。大うつ病性障害(大うつ病性症候群)とは、少なくとも2週間気分障害が継続し、次に挙げる症状のうち少なくとも4つの症状を伴うものである: 睡眠障害、精神活動の変化、関心や喜びの喪失、疲労感、無気力や罪悪感、集中困難、死への執着や渴望。大うつ病には、社会生活機能の欠如も伴う。

糖尿病—糖分の分解を行う通常のインスリンの作用の障害からくる慢性疾患。過度の喉の乾き、食欲、尿の回数や量、体重の減少などが症状として挙げられる。1型はより重度の症状となりインスリン治療が必要。2型は多くの場合食事療法、体重の減少、薬物療法の組み合わせでコントロール可能。

末期腎不全—原因のいかんを問わず肝組織の完全な破壊による腎機能の著しい低下。

ジアルジア症—小さな単細胞の寄生虫であるランブル鞭毛虫(ジアルジアランブリア)によって起こされる下痢の病気。ヒトまたは動物が経口感染した場合、腸内で生存し排泄される。外側を殻で覆われているため、体外環境でも長期間生存できる。ここ20年、米国ではジアルジア感染は最も多く見られる水系感染症(飲用水、親水施設ともに確認される)の一つとして認知されている。ジアルジアは世界および米国の各地域で確認されている。

新生児溶血性疾患(胎児赤芽球症)—母体と胎児の血液型が異なる場合に起こることがある重い病態。母体の抗体が

胎盤をわたり胎児の赤血球を破壊する可能性がある。重度の溶血性疾患は貧血や心不全を引き起こすことがある。軽度の症状では黄疸の発生もあり、治療をしなければ脳損傷を起こすこともある。誕生後輸血を行うことにより治療することが可能。

高脂血症—体内の脂肪質の物質で、脂質に分類されるコレステロールの血液内の移動は蛋白質と結合しリポ蛋白という粒子を形成して行う。リポ蛋白には主に二種類ある。低比重リポ蛋白(LDL:悪玉コレステロール)と高比重リポ蛋白(HDL:善玉コレステロール)である。悪玉コレステロールが血管壁に蓄積し動脈硬化を引き起こす原因となり、血液の流れを遅らせたり、止めることもある。高脂血症は心臓疾患の主要因の1つで米国では男女ともに最も多い死因。低いLDLコレステロール値、高いHDLコレステロール値、そして合わせて適度な合計値が最適な状態。

高カルシウム血症—カルシウムの血中濃度が高すぎる状態で筋衰弱、骨痛、高血圧、心機能の異常などを起こす。命にかかわる障害でがん患者において発症率は2割にまで達する。

造影剤—臓器や体内の空間のX線像をより鮮明なものにする物質。

黄斑変性—物を鮮明に見えるようにする網膜の中心にある黄斑部の劣化。加齢性黄斑変性の発症リスクは遺伝、喫煙、食生活、淡色の眼の色、年齢(55歳以上)である。加齢黄斑変性は滲出型と萎縮型に分けられる。9割は萎縮型となり、脂肪性粘着物(ドルーセン)が黄斑の下に蓄積するのが特徴。初期の段階では萎縮型の患者は線が波状に見えたり、文字が歪んで見えたりする。蓄積物が堆積するにつれ、視界の中心部

用語解説

分に障害が現れ、ものを読むことや手と視覚の連動した運動を行うのに支障を生じる。1割は滲出型で、黄斑の下に異常な血管を形成することによる。その血管から液体や血液が網膜に漏れ出し、重度で急速に視界の中心部分が失われていく。萎縮型は滲出型の前兆になることがある。萎縮型は現在のところ治療法はないが、滲出型は最近承認された光力学療法での治療が可能。早期発見が壊滅的な視力喪失の事態を防ぐ方法である。

中皮腫—肺または胸腔(胸膜)の内層にできる腫瘍。

転移/転移性—原発または初生巣部位から蔓延した二次がん。

粘膜炎—消化管を被覆する粘膜細胞の腫れ、炎症、潰瘍形成。粘膜炎は口から肛門までの消化管のどの部分でも発生する。化学療法の副作用として発生し、非常に厄介で痛みを伴うことがある。

多発性硬化症 (MS)—中枢神経の慢性病で、進行する場合が多い。脳と脊髄の神経線維の覆い(ミエリン)の部分的破壊が見られる疾患。しびれ、刺すような痛みから、麻痺、膀胱異常まで症状は広く、その重症度も人によって大きく異なる。

骨髄異形成症候群 (MDS)—致死に至る血液疾患。多くの場合、患者は感染または出血により死に至る。これらの疾患の説明には「前白血病」という用語が用いられる。

NDA—新薬承認申請。

神経因性疼痛—疾病や炎症、または中枢神経システム(脳や脊髄)と感覚器、

筋肉、腺、内臓を結ぶ末梢神経系の損傷が原因で起こる。

NME (新規化合物)—医薬品の有効成分が、作用物質あるいは配合剤としてもそれまでに米国で販売された医薬品に含まれていない場合、FDAよりNMEとして分類される。

非小細胞肺がん—肺がんには2種類あり、そのうちの1つが非小細胞肺がんとなる。非小細胞肺がんには5つの組織型があり、それぞれ異なった型のがん細胞がそれぞれ異なった方法で成長して広がる。非小細胞肺がんは全肺がんのうち約8割を占める。

希少疾病用医薬品 (オーファンドラッグ)—患者数が少ない疾病を対象とした開発リスクの高い医薬品。患者数が20万人以下あるいは20万人を超えるものの、米国内の売り上げでは開発費に届かない。

過活動膀胱—膀胱壁の突然の不随意収縮により起こる疾患。膀胱の突然の収縮で止められない排尿の必要(尿意逼迫)が生じる。尿失禁の一種で急性尿失禁とも呼ばれる。米国の成人の11人に1人が呈しており、高齢者に特に多いが、通常の老化現象と解釈するべきではない。

パーキンソン病—原因不明の慢性神経疾患。ふるえ、硬直、歩行障害などの症状を起こす。ドーパミン、アセチルコリンという脳内の神経伝達物質のバランスの崩れが起こる。パーキンソン病尾重度の患者では認知症に発展することもある。晩年に多く見られる慢性疾患。

末梢神経障害—脳や脊髄から体中へ情報を伝達する末梢神経の損傷が原因と

なり、その主要因として神経の疾患や全身性疾患が挙げられる。神経障害の多くは、糖尿病、尿毒症、AIDS、栄養不足などはっきりした原因を持つが、それでも原因不明な場合も存在する。末梢神経障害の原因はさまざまだが、痺れ、麻痺、腕、手、足などの痛みなどの症状が一般的(神経因性疼痛を参照のこと)。

帯状疱疹後神経痛—帯状疱疹に罹った部位に、焼けるような痛みが治癒の数カ月後、あるいは数年後に再発する。

原発性免疫不全症—免疫機構に先天的な欠陥がある場合、原発性免疫不全(PI症)または免疫不全があるとされる。PI症患者では免疫機構において先天的な細胞変化の異常が見られる。PI症の様態は細胞や欠陥の種類によって80以上に上る。症状は軽度なものから重篤なものまでであるが、いずれにおいても感染症や他の疾患に罹りやすくなる。女兒より男児の方が発症しやすく、幼少期またはその後の小児期に最初の症状が現れる。米国では2万5千から5万人もの患者が最も深刻なPI症に罹患しているが、専門家によると診断を受けていない軽度の症状を抱える者は、この数字を大きく上回る。

呼吸器感染症—気道は上気道(鼻、咽喉、喉頭、気管)と下気道(気管支、細気管支、肺)に分かれ、呼吸器感染症は非常に一般的で、特に上気道のものは多い。上気道感染症(風邪、扁桃炎、副鼻腔炎等)の大半はウイルス感染によるもので、ほとんどの場合、危険性は低い。下気道感染症(急性気管支炎、急性細気管支炎、さまざまな種類の肺炎等)は通常、より深刻なものである。

続発性副甲状腺機能亢進症—毎年、透析患者の12万5千人が罹患する、患者

用語解説

に深刻な結果をもたらし得る症状。腎機能の低下が原因で副甲状腺の異常な働きを見せる。

短腸症候群—小腸の相当な部分の切除から生じる吸収消化不全。成人では大腸クローン病、腸炎、タオラウマが最も一般的な原因と考えられる。

旅行者下痢—旅行者が発症する最も一般的な疾患。主な原因は汚染された水や食物の摂取。毎年2割から5割の海外旅行者（推定1,000万人）が下痢を発症。

トリコモナス症—原生物である膾トリコモナス症を起炎菌とする一般的な性感染症。男女ともに罹患するが、症状は女性でより多く見られる。米国の推定感染者数は年間300万人。

2004年に承認された新規化合物および生物製剤

2004年には、研究開発型製薬会社とバイオテクノロジー企業が開発した医薬品のうち米食品医薬品局 (FDA) の承認が下りた新規化合物と生物製剤は前年の35種から38種へ増加した。この新薬の承認により米国民がより長く、より健全でより活動的な暮らしを送ることが可能になり、この薬剤の多くは疾患の治療や疼痛の緩和に大きく貢献する。

昨年承認された新薬には次のようなものがある。

- ・がん治療薬6種：
 - 腫瘍に栄養素や酸素を送る新しい血管の形成を防ぐ、結腸直腸がん用の遺伝子組み換え薬
 - 体の他の部位に転移した進行性結腸直腸がんの新治療薬
 - 最も一般的な肺がんの治療薬
 - 骨髄機能が異常をきたす障害に対する初めての効果的な治療薬
 - 通常の白血病治療では効果が見られなかった小児や若年成人に対する治療薬
 - 骨髄移植を受けた癌患者の口内チフスに対する初めての治療薬
- ・真性糖尿病に罹患した成人患者の高血糖を制御する、即効性遺伝子組換え型ヒトインスリンアナログ
- ・新規造影剤3種
- ・感染症治療薬3種：急性副鼻腔炎の新治療薬、性感染症の新治療薬、旅行者下痢症の新規治療薬
- ・6時間の睡眠を促し、長期間の効果が期待される新しい錠剤
- ・透析を受けている慢性腎疾患患者の新しい種類の初めての治療薬、および末期腎不全 (ESRD) 患者向けの新治療薬
- ・米国の高年齢層における失明の主要因の新治療薬
- ・大うつ病の新治療薬
- ・パーキンソン病における無動症状期間の患者向け初めての治療薬
- ・重度の慢性疼痛の斬新で効果のある貝毒を合成した初めての新しいクラスの治療薬、および糖尿病や帯

状疱疹に関連した神経因性疼痛の新しい治療薬

- ・肺機能の著しく持続的な改善のための1日1回投与の初めての吸入治療と肺疾患のための吸入治療薬
- ・放射能汚染治療薬2種。放射性物質を体内から取り除き米国民を核事故やテロ攻撃から守ることを目指す。
- ・10年ぶりに登場したアルコール依存症の新治療薬
- ・過活動膀胱治療薬3種

アルコール依存症

10年振りにアルコール依存症の治療薬が承認された。

Campral® (アカンプロセート・カルシウム)：アルコール依存症患者の禁酒の継続または禁酒治療初期段階にある患者のための薬剤。

Campral® は心理社会的支援を含めた包括的治療プログラムの一環としての使用を目的とする。

アルコール依存症は一つの疾患であり、アルコールの乱用は深刻な結果をもたらし、生命を脅かすことが多い。過度の飲酒により肝臓、食道、咽喉、喉頭のがんの発症率を高める。

また、過度の飲酒は肝硬変、免疫機構の障害、脳障害を引き起こし、母体の胎児へ悪影響を及ぼし得る。慢性アルコール依存症は引き続き社会に広がり、治療費、失われた報酬、人的被害などの大きな負担を強いる。体力を衰弱させる疾患である。

開発元：メルク (ドイツ)

血液疾患

血液疾患の治療薬として1種が承認された。

Rhophylac® (抗D人免疫グロブリン点滴)：新生児溶血性疾患 (HDN) の予防に用いられる、筋肉注射や点滴により投与可能な初めての薬剤。

米国では長いこと、産婦人科医のHDNの予防の選択肢は、女性に痛みを強いる筋内注射の選択肢しかなかったが、Rhophylac_の登場により、簡単な筋肉投与や患者に優しい点滴法を選択することができるようになった。

HDNは深刻で、Rh陰性妊婦によって生成された抗体がRh陽性胎児の赤血球を攻撃する生命を奪うこともある障

害。母体には重大な悪影響を与えないものの、胎児には深刻な影響を与える。その症状は、治療可能な黄疸や貧血から、深刻な脳損傷、心不全や死と多岐にわたる。

開発元：ZLBベーリング

がん

がん治療薬として6種が承認された。

Avastin® (ベバシズマブ)：ヒトとマウスの両成分を保有する、遺伝子を組み換えたマウス抗体。転移性結腸直腸がん患者の第一線の治療法となり、従来の理論を実証した新しいがんの撃退法。

新脈管形成（腫瘍に栄養素や酸素を送る新しい血管の形成）を防ぐ初めて承認された薬剤。30年以上前から検討されていた手法を採用。1989年にジェネンテックの科学者がこの形成に影響する主たる成長要因を突き止め、Avastinの開発に繋がった。

薬剤は他の内臓器官に転移している結腸直腸がん患者向けに承認された。結腸直腸がんの一般的な化学療法剤と併用して静脈投与することで5カ月間の延命が実証されている。

米疾病対策センターによると、結腸直腸がんは米国では3番目に多く見られるがんで、がんの死因では2番目となる。また、結腸直腸がんは米国では最も多く診断されるがんの一つであり、毎年約14万7千人が新たに診断されている。

開発元：ジェネンテック

Erbix® (セツキシマブ)：がんが体の他の部位に転移している進行性結腸直腸がん患者向けの治療薬。この種の癌の治療薬として認可された初めてのモノクローナル抗体。他の結腸直腸がん治療の承認薬と併用して静脈へ投与する。また患者の許容性がない場合には単独で投与する。

延命の証拠はないものの、一部の患者では、特に併用治療を行った場合に、腫瘍が縮んだり、腫瘍の形成を遅らせたりすることが実証されている。

結腸がん患者の会のケビン・ルイス会長は「結腸がん患者の会は、進行性結腸がん患者に新たな治療の選択肢を提供する新薬の登場を喜ばしく思っている。Erbixの登場により、進行性結腸がん患者の状況の改善されるかもしれない」と語る。

開発元：イムクローン・システムズ、プリストル・マイヤーズ・スクイブ

Alimta® (ペメトレキセド)：シスプラチンと併用する珍しい種類のがんである悪性胸膜中皮腫の治療薬で、その使用で2月に承認された。悪性胸膜中皮腫に対して初めて承認された治療薬。FDAから優先審査を受け、オーファン・ドラッグとして指定される。

悪性胸膜中皮腫は体内の内部器官の多くを覆い守る膜である中皮における、珍しい種類のがんで、米国では毎年新規診断数は約2,000件。通常このがんはアスベスト暴露歴に関連する。

8月に進行性非小細胞肺がんの化学療法後の患者のための治療薬として承認された。臨床試験では他の抗がん剤と同様のレベルで腫瘍を縮小させることができ、副作用がより少ないことが実証された。その副作用には脱毛、手足の指のヒリヒリする痛み、血球数の減少、などその後の感染による入院がある。

米国がん協会によると非小細胞肺がんはがん死の主要因となっている。毎年、肺がんと診断される17万4千人の80%が非小細胞肺がんである。Alimtaは腫瘍を形成する3種の酵素に作用することで効果を発揮する。

開発元：イーライリリー

Tarceva® (エルロチニブ)：少なくとも1つの標準的化学療法剤の投与計画が失敗した局所進行または転移性非小細胞肺がん患者を対象とした優先審査を受けて承認された薬剤。毎日投与する錠剤で、上皮細胞の成長の因子受容体クラスとして臨床試験で進行性の疾患に対し延命が実証された唯一の治療薬。

ヴァンダービルト大学医療部助教授および胸部腫瘍学部アラン・サンドラー医療部長は「エルロチニブのFDA認可により米国の患者に大切な新治療薬の選択が提供された。医師は従来の細胞障害性化学療法とは一線を画す、延命効果が実証された新しい治療薬を処方することが可能となった」と語る。

開発元：OSIファーマスーティカルズ
販売元：ジェネンテック

Vidaza® (注射用懸濁液 アザシチジン)：骨髄異形成症候群(MDS)患者の初めての治療薬。優先審査の対象となった。

MDSは骨髄が正常に機能せず、十分な血球数が造られない疾患群。MDSは他の疾患を対象とした薬物療法や放射線療法に起因することがあり、原因不明な場合もある。MDSの中には白血球が多く作られてしまうがんの一種、急性骨髄性白血病に発展することもある。

米国におけるMDSの推定新規症例数は毎年7千~1万2千

件。年齢にかかわらず罹患する可能性があるが、60歳以上の高齢者に特に多く見られる。典型的な症状としては衰弱、疲労、感染、痣がしやすいこと、出血、発熱など。MDS患者は感染症治療のため抗生物質療法に加え、赤血球輸血や血小板輸血が必要な場合がある。

開発元：ファーミオン

Clolar® (クロフォラビン)：通常の治療法で効果の見られない子供や若年成人の白血病を対象にした治療薬。

Clolarは長期持続療法を目的としていないが、がんの症状の緩和を目指して患者に1回または2回投与し、長期的な回復となる骨髄移植を行うことを可能にする。

この薬剤は70%から80%が一般的な化学療法での治療が可能な急性リンパ性白血病のうち約500~1000人の患者に需要があると見られる。急性リンパ性白血病は年間推定症例2,700件といわれている。

販売元：ジェンザイム

Ke pivance® (パリフェルミン)：骨髄移植の前処置の高用量化学療法(放射線療法の有無を問わず)を行っている血液がんを抱えている患者における重度の口内炎に対する最初で唯一の治療薬。

米ロヨラ大学ベルナルダンガン・キャンサー・センターのディレクターおよび米ロヨラ大学シカゴストリッチ医学校の血液学・病理学教授であるパトリック・スティフ医師は「深刻な痛みを伴う口腔粘膜炎の治療は未だ満たされていない医療ニーズとして考えられ、これまで、その発生または回復に関する効果的な治療法は存在しなかった。医師がこの合併症の症状を治療していただくのではなく、血管悪性腫瘍患者のこの合併症の予防に取り掛かるようになったことは喜ばしい」と語る。

毎年約1万1,000人の非ホジキンリンパ腫、ホジキン病、白血病、多発性骨髄腫などの血管悪性腫瘍に苦しんでいる成人米国民が骨髄移植を行っている。

開発元：アムジェン

うつ病

大うつ病の治療に新たに薬剤1種が承認された。

Cymbalta® (塩酸デュロキセチン)：安定した高い効果を持つ選択的SNRI(セロトニン・ノルエピネフリン再取り込み阻害薬)。大うつ病の治療法。

現在、臨床調査で治療を受けているうつ病患者のうち、全症状からの改善が見られるのは25%~35%のみ。完全

に回復しない患者では、多くの場合うつ病を再発する可能性が高い。

世界保健機関(WHO)によると1,900万人近くの米国民がうつ病を罹患している。そのため、障害の最も多い原因の一つになる。現在の医学文献は、精神的または苦痛な身体的なうつ病の症状すべての治療に成功した患者は、身体的な症状が回復しない患者よりも回復に向かい易いということを指摘している。

Cymbaltaは腹圧性尿失禁や糖尿病性神経因性疼痛の治療薬としての研究も行われている。

開発元：イーライリリー

糖尿病

糖尿病(1型と2型)のため新治療薬1種が承認された。

Apidra® (インスリン・グラルギン[rDNAオリジン]注射)：糖尿病を患っている成人患者の高血糖の治療用として開発された即効性の遺伝子組換えヒトインスリンアナログ製剤。

1型・2型の成人糖尿病患者において血糖値の急上昇を抑えるために食事時に使用。遺伝子組換えヒトインスリンアナログ製剤では、通常の皮下注射後のヒトインスリンに比べて、即効性を持ち、より短い効果時間となるよう設計。

市販後のコミットメントとして、2007年12月までに5歳児から7歳児に関する研究を提出。

開発元：アベンティス

目の疾患

加齢性黄斑変性症と白内障手術のための2種類の目の疾患の新治療薬が認可された。

Macugen® (ペガブタニブ・ナトリウム注射剤)：加齢性黄斑変性症(AMD)の中で眼を損傷または破壊する異常な血管新生を伴う滲出型AMSを治療する薬剤。約1,500万人の米国民が罹患するAMDの2種類(滲出型、萎縮型)のうち発生が少ないが、深刻な失明をより多く引き起こす。

血管新生のため必要なタンパク質を抑制する。臨床データでは偽薬を投与した患者に比べ、患者は失明を2年間遅らせるとの結果が出ている。6週ごとに患者の眼に投与する。

開発元：アイテック・ファーマシューティカルズ、ファイザー

VisionBlue® (トリパンプルー点眼液) : 白内障手術の際、水晶体前嚢を染色するように承認された薬剤。VisionBlue_は眼科医が眼科手術の際、嚢の摘出時にはつきりと識別できるようにし、進行した成熟白内障である白色白内障の摘出を可能にする。正確な切断により白内障の摘出手術に伴う危険性を軽減することができる。米国では毎年140万人が白内障手術を受けており、そのうち成熟の白色白内障はごく少数。

開発元：ドルク・インターナショナル (オランダ)

胃腸障害

胃腸障害の治療に新たな薬剤1種が承認された。

NutreStore® (L-グルタミン) : この治療に認可されている遺伝子組換えヒト成長ホルモンとともに特別な栄養補給を受けている短腸症候群 (SBS) 患者の治療薬。

胃腸細胞の成長・機能・再生を調整する。

開発元：ヌトリショナル・リスタート、リライアント・ファーマシューティカルズ

高脂血症

高コレステロール値の患者の治療に新たに薬剤1種が承認された。

Omacor_i (オメガ3酸エチルエステル) : 特に高い中性脂肪値 (4500 mg/dl) の成人患者の中性脂肪値を下げる補助治療薬。食餌療法とともに服用。

開発元：プロノバ・バイオケア
販売元：リライアント・ファーマシューティカルズ

造影剤

新たに3種類の造影剤が承認された。

MultiHance® (ガドベン酸ジメグルミン) : 成人の中枢神経の磁気共鳴画像法 (MRI) において使用される注射剤。脳、脊椎またはその関連組織における異常な血液脳関門または異常な血管増生を鮮明に描くためのもの。

MultiHanceは他の常磁性造影剤とは異なり、血清タンパク質を含む造影剤と比べて緩和度に強い上昇を明示する。これにより信号強度の強化につながり、より鮮明な映像を得ることができる可能性がある。

開発元：ブラック・ディアクツスティックス

Amphadase® (ヒアルロニダーゼ注射) : 他の注射された薬剤の吸収や離散を強化する補助剤、持続皮下注射として、放射線不透過性物質の吸収を向上させる、皮下尿

路造影の補助剤である。

開発元：アンファスター・ファーマシューティカルズ

NeuroSpec® (technetium 99m Tc fanolesomab) : 虫垂炎の疑いを示す徴候のある患者の診断に使用する薬剤。

開発元：パラティン・テクノロジーズ

免疫不全

1種類の免疫不全の治療薬が承認された。

Octagam® (免疫イムノグロブリン点滴製剤、ヒト) : 原発性免疫不全症候群の治療薬。液体でそのまま使用できる溶剤溶剤処理済みの免疫イムノグロブリン点滴製剤。

開発元：オクタファーマ

感染症

感染症の治療薬として薬剤3種 (急性副鼻腔炎、性感染症、旅行者下痢用) が承認された。

Ketek® (テリスロマイシン) : 他の抗生物質に対して抵抗を示す菌に起因する疾患を含めた、軽度から中度の肺炎の治療薬。急性副鼻腔炎、慢性気管支炎における急性増悪期の治療薬としても承認を受けている。

菌のタンパク質生成を妨げるケトライド系と呼ばれる新しい分類の抗生物質で、特に市中感染呼吸器感染症の治療のために開発。

開発元：アベンティス

Tindamax® (チニダゾール) : トリコモナス症、ランブル鞭毛虫症、腸アメーバ症、アメーバ肝膿症のための第2世代治療薬。

トリコモナス症は治療可能な性感染症では最も一般的に見られ、米国では毎年の推定新規病例数740万。この疾患は男女問わず受精率の低下に繋がる可能性があり、さらにはHIV感染および伝染を高める可能性がある。

ランブル鞭毛虫症は米国では最も一般的な腸管寄生虫で、米疾病対策センターに国定届出伝染病として最近認可された。

アメーバ症は寄生虫である赤痢アメーバを原因とし、世界で寄生虫症の死因の2番目に挙げられる。アメーバ症はアメーバ肝膿症を引き起こす可能性を持ち、ひいては死に繋がる恐れがある。

開発元：プレスッティ・ラボラトリーズ

Xifaxan® (リファキシミン) : 12歳以上の非侵襲性大腸

菌株による旅行者下痢症の治療薬。消化器官でのみ活動する非体身・経口抗生物質。

米ヒューストンのテキサス大学医療部の感染症センター長およびセントルークエピスコパル病院内科長ハバート・デュボン医師は「これは非常に喜ばしいことだ。この問題への取り組み方法がこれで変わる。毎年1,700万人もの米国民がメキシコを訪れているが、通常、700万人までもが発病している。彼らを守ることで非常に大きな成果が得られる」と語る。

米国の学生がメキシコで2週間勉強するという実験では、Xifaxanを摂取した学生の85%が旅行者下痢の予防に成功した。一方、偽薬を摂取した学生では下痢にかからなかったのはわずか49%。

開発元：サリックス・ファーマシューティカルズ

不眠症

新しい睡眠薬1種が承認された。

Lunesta® (エソピクロン) 6時間の睡眠を提供する不眠症の治療薬。長期的な使用でも効果が持続することが始めて実証された睡眠補助。

Lunestaを6カ月間投与した臨床試験では、効果が薄れることはなかった。FDAは他の睡眠薬では7日から10日以上以上の投与を控えるよう勧告している。

デトロイトのヘンリーフォード病院のトーマス・ロス睡眠障害研究センター長は、「この薬品の効果は長期間継続し、このことは当分野の専門家や医師に重大な意味を与える」と語る。

デューク大学睡眠研究者アンドリュー・D・クリスタル氏は約15%の米国民が深刻な不眠症に罹患していると指摘する。

開発元：セプラコア

腎障害

慢性腎疾患で透析を受けている患者の治療薬1種、末期腎不全患者のための治療薬1種が承認された。

Sensipar® (塩酸シナルカセット)：カルシウム擬態薬として知られる新しい化合物種類で、透析を受けている慢性腎疾患患者における二次性副甲状腺機能亢進症 (HPT)、および副甲状腺癌患者の治療薬。

米国では透析を受けている患者のその大半である30万人以上が二次性HPTに罹患している。この疾患は慢性腎疾患の初期段階で罹患することがあり、腎機能が低下するにつれ病状は悪化する。二次性HPTを治療しないとカ

ルシウム値、リン値に異常が見られ、心血管系合併症を含む深刻な結果を招くこともある。

Sensiparはさらに珍しいがんで血清カルシウム値の上昇を促す、副甲状腺がん患者の高カルシウム血症の治療薬としても承認。血清カルシウム値の上昇は精神錯乱、倦怠感、脱水症、吐き気や嘔吐、便秘、そして腎損傷を招くことがある。

デンバーネフロロジストで臨床研究のディレクターを務め、臨床試験第Ⅲ層の治験責任者であるジェフリー・ブロック医師は「シナルカセットが入手できるようになった今、迅速にこの治療を必要とする患者は大勢いることは間違いない」と語る。

開発元：NPSファーマシューティカルズ

販売元：アムジェン

Fosrenol® (炭酸ランタン)：末期腎不全患者の上昇した血中のリン値を低下させるリン吸着薬。

世界では100万人以上もの患者が透析を受けており、その数は毎年約8%増加している。その中の患者で高いリン値があるのは推定80%にも上る。高いリン値は治療せずに放置した場合、致命的な心臓や血管の疾患に繋がることがある。

ノースカロライナ大学チャペルヒル校ウィリアムF・フィン薬学教授は「Fosrenolは臨床研究でリン値を下げるのに効果的で良好な耐容性を示し、患者や医師に高リン血症の治療を簡単にすることに貢献するだろう」と語る。

開発元：シャイア・ファーマシューティカルズ・グループ

神経障害

神経障害の治療薬2種 (パーキンソン病用、多発性硬化症用) が承認された。

Apokyn™ (塩酸アポモルヒネ注射剤)：パーキンソン病患者が動けなくなったり日常的な活動を行えなくなったりする「低運動」(すなわち「オフ」期)時に治療するための注射剤。オーファン・ドラッグに指定されているが、オフ期治療の薬剤としては初めて承認された製品であるため、優先審査が行われた。

パーキンソン病は、震え、硬直、姿勢保持障害、動作緩慢、動作困難を引き起こす疾病であり、米国では推定150万人が罹患している。

標準薬での治療を3年~5年続けるうちに、パーキンソン病患者の多くに、椅子から立ち上がることができない、話すことができない、歩けないといったオフ期の症状が

現れる。Apokynは、標準的な薬剤では反応が見られない患者の10%以上に相当な効果が現れると推定される。

開発元：パーテック・ファーマスーティカルズ

Tysabri®（ナタリズマブ）：再発性の多発性硬化症（MS）患者における症状再燃や疾病の悪化を軽減する目的で製造された新しい生物的製剤の取組法。MS治療用のヒト化モノクローナル抗体として初めて承認された。MSは脳と脊髄の疾患であり、障害をもたらす場合が多い。

2005年3月に、バイオジェン・アイデックとエランは販売を自主的に中止した。

疼痛

慢性的な激しい疼痛で苦しむ患者に新しい治療方法を提供する新薬1種、神経因性疼痛を治療する新薬1種が承認された。

Prialt®（ジコノチド）：N型カルシウムチャンネルブロッカーという新しいクラスの薬剤の第1号。疼痛信号を伝える神経チャンネルを選択的に阻害する。がん、AIDS、神経障害に伴う治療困難な疼痛に対しての使用が認められた。ジコノチドは、南太平洋のイモ貝が捕食に用いる毒物から発見された化合物を基にしたもので、モルヒネのおよそ1,000倍も強力。疼痛治療における第一選択薬ではなく、長期にわたり苦しんできた患者に対する最終手段と見なされている。

Prialtの大きな利点は、摂取量を増やすことなく長期的に使用できる点である。ウェイク・フォレスト大学メディカルセンターおよび北南カロライナ州立疼痛協会のリチャードL・ラウック氏は、「Prialtは麻酔薬ではないものの非常に強力な鎮痛剤であり、大いに期待を寄せている」と語る。

本薬剤は脊髄液に直接注入され、他の臓器に影響を与えずに脳まで運ばれる。

開発元：エラン・コーポレーション

Lyrica™（プレガバリン）：糖尿病性末梢神経障害と帯状疱疹後神経痛に伴う、関節炎や筋関節痛とは明確に異なる両方の神経因性疼痛に使用できる初の治療薬。新しく定義された作用機序を有する。

神経因性疼痛は、患者を最も衰弱させる類の痛みの一つに数えられる。糖尿病や帯状疱疹などの基礎症状に由来する神経障害を原因とする。米国では1,800万人が糖尿病に罹患しており、そのうち半分近くが何らかの糖尿病

性神経障害を発症する。さらに、糖尿病患者の約6人に1人が痛みを伴う糖尿病性神経障害に悩むことになる。この疼痛は、焼けるような痛み、チクチクする痛み、鋭い痛み、突き刺すような痛み、または足、脚、手、腕にピンや針が刺さっているようだと表現されることが多い。

FDAでは現在、成人の部分発作に対する補助療法への使用を審査中。

開発元：ファイザー

肺疾患

肺疾患の治療薬として新しい薬剤2種が承認された。

Spiriva®/HandiHaler®（臭化チオトロピウム粉末吸入剤）：新しい種類の抗コリン剤で、1日1回の投与で肺機能を著しくかつ持続的に向上させるものとしては、初めての吸入治療薬。慢性閉塞性肺疾患（COPD）に伴う気管支痙攣に対する、1日1回型の長期的な維持療法である。

COPDは主に喫煙に由来する肺疾患で、慢性気管支炎および肺気腫を含む。

ケンタッキー大学医療学部教授およびメディカルセンターの呼吸器医療長、ならびに米国肺疾患啓発プログラムの会長を務めるデニスE・ドハーティ教授は「スピリーバは肺機能の主要な測定分野の数字を大きく改善させ、あらゆる段階のCOPD治療にとって大きな進歩を意味する」と語る。

狭窄した気管を拡張させ、24時間これを維持することでCOPD患者の呼吸を楽にする。

開発元：ペーリンガーインゲルハイム

販売元：ペーリンガーインゲルハイム（米国ではファイザーと共同）

Ventavis™（イロプロスト）：肺疾患治療用の吸入液。本剤は肺動脈性肺高血圧の治療に用いることが承認された。この疾病は患者を衰弱させる上、致命的になることもあり、肺動脈における高血圧を特徴とする。

カリフォルニア大学サンディエゴ校で肺高血圧症過程を率いるルイスJ・ルービン医師は「治療を簡便にすることは、患者の処方遵守を高め疾病をより良く管理させる上で非常に重要である」と語る。

販売元：コセリックス

放射能汚染

起こり得るテロ攻撃による放射線降下物に対して、米国民を守るために新薬2種が承認された。これらはある種の放射能汚染を対象にしている。

FDAは「これらの薬剤は米国民に核事故やテロ攻撃に対して現状で最善の防御を提供する計画的な方針の一環として承認された」と語る。

ペンテテートカルシウム酸3ナトリウム注射剤 (Ca-DTPA) およびペンテテート亜鉛酸3ナトリウム注射剤 (Zn-DTPA) : 何十年もの間、放射能汚染を伴う緊急時の患者を治療する目的で治験薬として使用されてきた。これらは、プルトニウム、アメリシウム、またはキュリウムによる内部汚染を治療するものである。これらの物質は、研究事故や産業災害、または「汚い爆弾」として一般に知られる放射能散布兵器 (RDD) を用いたテロ攻撃によって、放出される可能性がある。

プルトニウム、アメリシウム、またはキュリウムによる内部汚染は様々な経路を通じて起こる可能性があり、摂食、吸入、傷口からの直接の接触などが挙げられる。Ca-DTPAおよびZn-DTPAによる治療の目的は、これら汚染物質の除去を高め、ひいては将来起こり得る生物学的影響の危険性を引き下げることにある。これには、汚染の数年後に発生しかねない一定のがんの進行を防ぐことも含まれる。

開発元：ハーメルン・ファーマスーティカルズ

泌尿器障害

過活動膀胱について、新しい治療薬3種が承認された。

米国で過活動膀胱に苦しむ人は2,000万人にまで達する。45才以上の女性の17%はこの疾病に苦しんでおり、75才以上の女性では27%に急上昇する。過活動膀胱を発症した人々の多くは、この症状を通常の老化現象の一つだと考えて、医療を求めることがない。

この疾病は巨額な財政的損害を及ぼす上、患者を衰弱させることで身体的、社会的、感情的な影響をもたらす。米国における2000年の過活動膀胱の関連費用は、およそ140億ドルだったと推定されているが、これは乳がん、骨粗しょう症、関節炎の費用と大体同じ数字である。

Sanctura™ (塩化トロスピウム) : 過活動膀胱の尿失禁、尿意逼迫、頻尿の症状の治療薬。

Sancturaは4級アンモニウムの化合物で、ムスカリン性受容体拮抗薬として知られる抗コリン化合物に分類される。膀胱にある平滑筋組織の緊張を和らげることで、膀

胱の収縮を抑える。過活動膀胱は、筋組織の機能が過剰または不安定なことに起因すると考えられる。

ニューヨーク・プレスビテリアン病院の排尿障害部門を主幹し、コーネル大学ウェイル医学校において泌尿器科、産婦人科の助教授を務めるデイビッドR・スタスキン医師は、「Sancturaの導入は、増え続けている過活動膀胱患者ならびにその医師たちに恩恵をもたらす」と語る。

開発元：インデバス・ファーマスーティカルズ

Vesicare® (コハク酸ソリフェナシン) : Sanctura同様に、尿失禁、尿意逼迫、頻尿の症状を伴う過活動膀胱の治療薬。

また、1週間の治験期間のうちに、患者による尿失禁の回数の著しい低下が見られた薬剤。

開発元：山之内ファーマアメリカ

販売元：山之内ファーマアメリカおよびグラクソ・スミスクライン

Enablex® (ダリフェナシン) : この薬剤も同様に、切迫尿失禁、尿意逼迫、頻尿の症状を伴う過活動膀胱の治療薬。Enablexは1日1回投与。

ニューヨーク病院コーネル医療センターの泌尿器科臨床助教授、デイビッド・チェイキン医師は「過活動膀胱のあらゆる治療薬の中でも、Enablexの特徴は他に類を見ない。持続作用に加えて中枢神経系に与える影響や心血管系副作用が少なく、Enablexは過活動膀胱に対する新たな治療選択肢として有用となる」と語る。

開発元：ノバルティス・ファーマスーティカルズ

その他

上記以外に、主として眼科手術中に使用される展着剤および診断用薬の2種が承認された。

Vitrace® (羊由来の注射用ヒアルロニダーゼ、凍結乾燥品) : 他剤の拡散と吸収を容易にする展着剤。眼科手術中に局部麻酔と併せて使用されることが最も一般的で、眼の硝子体に注入される。

米国では過去3年にわたりヒアルロニダーゼが入手不能であった。これは、いままでの製薬会社が1970年に薬効再評価によって査定・承認された薬剤の製造中止を決定したことによる。その薬効再評価では、承認される上で安全性のみを重視した1938年~1962年にFDAが販売を許可した医薬品に対し、その有効性を遡及的に評価するものであった。

開発元：イスタ・ファーマスーティカルズ

ヒトセクレチン：以下の3つの使用目的に対して適用が承認された診断用薬。

- ・重炭酸塩などの膵外分泌を亢進し、膵外分泌機能不全の診断に役立つ。
- ・ガストリンの分泌を亢進し、ガストリノーマ診断の一助となる。
- ・膵臓の分泌を亢進し、内視鏡逆行性胆道造影（ERCP）におけるファーター膨大部および副乳頭の特定を容易にする。

開発元：シロクリン

処方薬ユーザーフィー：患者に便宜を図る

処方薬ユーザーフィー法（PDUFA）は1992年に初めて施行された。FDA（米食品医薬品局）に資金提供を行い、安全かつ効果的な新薬を患者の元に届ける期間を短縮することを支援するものである。PDUFAは2度公布・改正された。まず1997年にFDA近代化法（FDAMAあるいはPDUFA II）が交付され（2002年9月30日に終了）、次いで2002年公衆の健康安全保障ならびにバイオテロへの準備および対策法（バイオテロ法）を受けた処方薬ユーザーフィー法改正（PDUFA III）に従い、改正された。

PDUFA IIIにおいては、新薬および生物製剤申請を提出する企業は、FDAにユーザーフィーを支払う。2003年から2007年までに、各社がFDAに支払うユーザーフィーは総額約12億ドルに達すると見られる。FDAは安全基準を下げることなく新薬や生物製剤の承認審査を整備し、審査期間の短縮を図るために審査官を増員することになる。

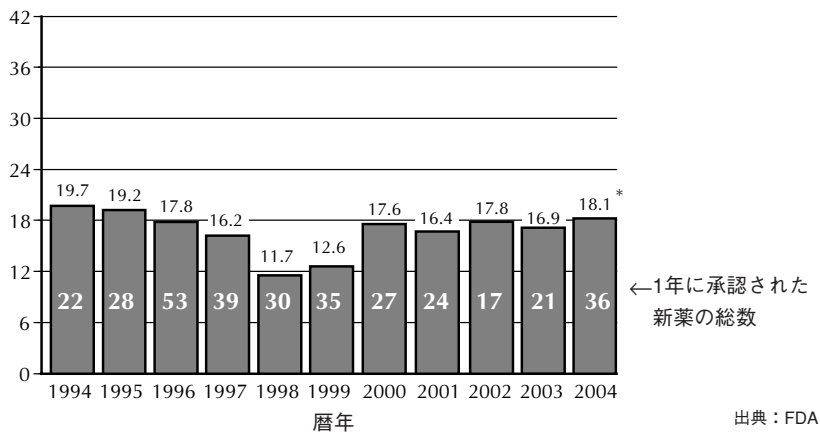
PDUFAが初めて制定されてから、FDAはユーザーフィーにより1,000名を超す優秀な審査官を採用することができた。また、1991年には30.2カ月かかった新薬の審査期間を2004年には18.1カ月まで短縮することができた。

同法に従って、FDAは、「優先対象」薬（きわめて治療効果の高い薬剤）の審査を6カ月以内に行うように努めなければならない。製薬会社とFDAは両者間のコミュニケーションを向上させるためにさまざまな実施目標を盛り込み、長年にわたりPDUFAの充実を図ってきた。さらに、ユーザーフィーの一部をFDAのITインフラ改善に充て、FDAが各社に提出を求めている書類の提出を電子書類として処理することを推進している。PDUFAでも、一定のリスク管理やリスク評価活動に資金拠出する規定を設けている。

同法に従い、FDAは実施目標達成の進捗状況の報告書を毎年提出することが求められている。FDAの目標の進捗状況に関する報告とともに、実施目標の一部を本頁に記載する。

新薬の平均承認期間：1994年～2004年（暦年）

平均承認期間（単位：月）



*2004年から、これらの数字にはCBERからCDERへ移った生物製剤の生物製剤承認申請を含む

出典：FDA

PDUFAの目標：1999年～2003年（年度）

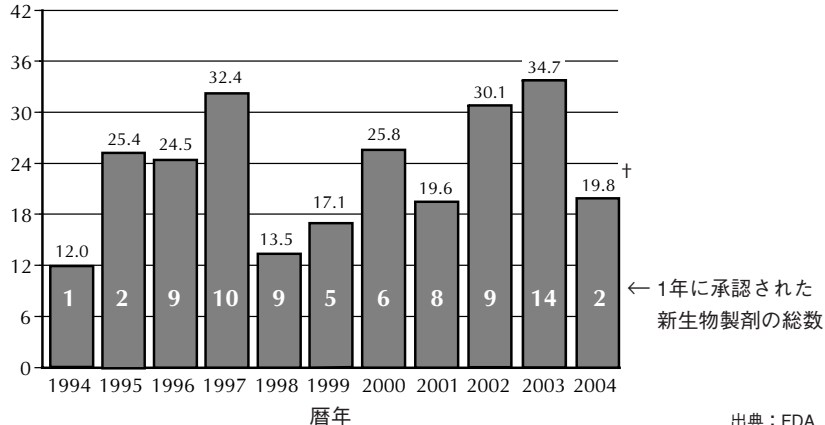
FDAの実施目標の一部

	FY99	FY00	FY01	FY02	FY03
12カ月以内に審査された、標準新薬承認申請（NDA）NDA/生物製剤承認申請（BLA）の割合（%）、（効用の追加を含む）	90% (100%)*	90% (97%)	90% (98%)	N/A	N/A
10カ月以内に審査された、標準NDA/BLAの割合（%）、（効用の追加を含む）	30% (68%)	50% (81%)	70% (90%)	90% (100%)	90% (100%)
6カ月以内に審査された、優先的NDA/BLAの割合（%）、（効用の追加を含む）	90% (100%)	90% (97%)	90% (100%)	90% (100%)	90% (100%)
6カ月以内に審査された製造法の追加の割合（%）	90% (98%)	90% (97%)	90% (97%)	90% (98%)	90% (99%)
4カ月以内に再審査された製造法の追加の割合（%）	30% (76%)	50% (79%)	70% (86%)	90% (95%)	90% (99%)

* 括弧内の数字は実際の結果
N/A：同年にはパフォーマンス標準がない

他の新生物製剤の平均承認期間*：1994年～2004年（暦年）

平均承認期間（単位：月）



*造形剤、ワクチンを含む
†2004年から、これらの数字にはCBERからCDERへ移った生物製剤の生物製剤承認申請を含まない

出典：FDA

医薬品の開発と承認プロセス

新薬が米国の患者の治療に利用されるまでには平均して10年から15年の期間が必要である。また、5,000種類の化合物が研究開発されても、わずか5種類の化合物だけが臨床前試験用として選択され、ヒト試験に供される。これら5種類の中で承認されるのは1種類だけである。

初期研究／ 臨床前試験		臨床試験			FDA	第IV相 臨床試験
		第I相 臨床試験	第II相 臨床試験	第III相 臨床試験		
年	6.5	1.5	2	3.5	1.5	
試験対象	研究室での試験と動物試験	20～100名の健康被験者	100～500名の志願患者	1,000～5,000名の志願患者	プロセスの再検討/承認	追加試験としてFDAが医薬品市販後試験の実施を指示
目的	安全性、生物学的活性および製剤処方の評価	安全性および用量を明らかにする	有効性、副作用の有無を検討	有効性の確認、長期使用による有害反応のモニター		
成功率	化合物5,000種類を検討	化合物5種類が治験に入る			承認を受けるのは1種類	

新薬の開発と承認過程

米国における新薬承認制度は、おそらく世界で最も厳格なものである。

タフツ大学新薬研究センター (Tufts Center for the Study of Drug Development) によれば、1994年から1998年に承認された新薬が、研究室から米国人患者の手に届くまでには平均して10～15年を要しているとのことである。前臨床試験からヒトを対象にした治験に入るのは、5,000種類もの化合物のうち5種類だけである。さらに、この5種類のうち1種のみが承認され市販される。

タフツ大学新薬研究センターの2001年11月の報告によれば、研究室から米国人患者に新薬が提供されるまでには、新薬1種類あたり8億200万ドルを要するとのことだ。

研究室で新化合物が同定されると、新薬は次のような経過で開発される。

前臨床試験：製薬会社では実験室での試験および動物実験を実施し、対象となる疾病に対する化合物の生物活性を立証し、次にその化合物について安全性を検討する。

新薬臨床試験開始届 (IND)：前臨床試験の終了後、製薬会社では米国食品医薬品局 (FDA) に対して新薬臨床試験開始届 (IND) を申請し、目的とする薬剤の試験をヒトを対象に開始する。30日以内にFDAから不承認がなければ、INDは有効となる。このINDの段階では、これまでの実験結果、新薬の試験方法、研究機関、実施者、また、化合物の化学構造、体内での考えられる作用機序、動物実験での毒性の有無、およびその化合物の製造方法について明らかにする。全ての臨床試験は、治験が実施される施設内治験審査委員会 (IRB) により、審査を受け承認されなければならない。臨床試験に関する進捗状況報告書をFDA及びIRBに、少なくとも年に一度は提出するように求められる。

臨床試験、第I相：この段階の試験には、約20人から100人のボランティア健康者が選ばれる。この試験では安全投与量範囲をはじめ、薬剤の安全性の概要が試験される。また、薬剤の吸収、分布、代謝、排泄に関する機序並びに薬効の持続期間を試験する。

臨床試験、第II相：この段階では、約100人から500人の被験者 (対象とする疾病に罹患しているボランティア患者) を使った対象試験により、薬剤の有効性を評価する。

臨床試験、第III相：この段階の試験では、病院および医療機関において、通常1,000人から5,000人の患者を対象とする。治験担当医師により厳密に患者のモニターが行われ、薬効の確認と有害事象の同定が実施される。

新薬承認 (NDA) 申請：臨床試験の第III相までの全試験の終了後、全ての治験データを分析し、データから安全性と有効性のいずれもが立証されれば、FDAに対してNDAを申請する。このNDAには、その製薬会社が収集した全ての科学情報が含まれる。通常、NDA申請書類は10万ページにも及ぶ。2003年に承認された21の新規化合物の平均NDA審査期間は、16.9カ月であった。

承認：NDAがFDAにより承認されれば、新薬が提供され医師による処方が可能となる。製薬会社は、副作用に関する全ての症例および適切な品質管理記録を含めた報告書を引き続き定期的にFDAに提出しなければならない。薬剤によっては、長期効果を検討するために追加試験 (第IV相) がFDAによって求められることもある。

安全で効果的な新薬を発見開発することは、長く険しく費用のかかる過程である。2003年、PhRMA会員企業が投じた研究開発費は332億ドルに達したと見られる。

PhRMA加盟企業による研究開発費は380億ドル超

長年の間に製薬企業の研究開発費は着実に増加の一途をたどってきた。これは医薬品の革新には必要不可欠である。製薬業界は米国のその他の業界を抑え、最も研究を重視している業界となっている。1990年までは欧州が世界の製薬業界をリードしていた。しかし現在では、米国は研究開発において欧州を遥かに凌いでいる。

現在、新薬1剤を開発するには平均して8億ドルの費用がかかる。各社が複雑な慢性疾患への注力を増すのに従い、より複雑で長期化する臨床試験により多くの患者が参加している。

2004年、PhRMA会員企業による研究開発費は388億ドルに達するものと見られる。これは2003年の支出を12.6%上回るものであり、1990年と比較して実に4.5倍以上になる。PhRMA会員企業と会員以外のバイオテクノロジー企業の研究開発費を合算すると、2004年は495億ドルに達したと見られる。PhRMA会員企業は、米国内の売り上げのうち推定18.8%を国内の研究開発に費やしたのである。

この研究開発費レベルの高さからも、米国の製薬業界は他業界、米国立衛生研究所（NIH）、海外の製薬業界よりも研究開発に多く費やしていることが窺える。

PhRMA会員企業による国内および国外の研究開発費^{**}：1970年～2004年

暦年	国内研究 開発費 (単位：10億ドル)	年変化 (%)	国外研究 開発費 (単位：10億ドル)	年変化 (%)	総研究 開発費 (単位：10億ドル)	年変化 (%)
*2004	\$30.6 B	13.2%	\$8.2 B	10.3%	\$38.8 B	12.6%
2003	27.1	5.5%	7.4	37.9%	34.5	11.1%
2002	25.7	9.2%	5.4	-13.9%	31.0	4.2%
2001	23.5	10.0%	6.2	33.3%	29.8	14.4%
2000	21.4	15.7%	4.7	10.6%	26.0	14.7%
1999	18.5	7.4%	4.2	9.9%	22.7	8.2%
1998	17.1	11.0%	3.8	9.9%	21.0	10.8%
1997	15.5	13.9%	3.5	6.5%	19.0	12.4%
1996	13.6	14.8%	3.3	-1.6%	16.9	11.2%
1995	11.9	7.0%	3.3	***	15.2	***
1994	11.1	6.0%	2.3	3.8%	13.4	5.6%
1993	10.5	12.5%	2.3	5.0%	12.7	11.1%
1992	9.3	17.4%	2.2	21.3%	11.5	18.2%
1991	7.9	16.5%	1.8	9.9%	9.7	15.3%
1990	6.8	13.0%	1.6	23.6%	8.4	14.9%
1985	3.4	13.3%	0.7	17.2%	4.1	13.9%
1980	1.5	16.7%	0.4	42.8%	2.0	21.5%
1975	0.9	13.9%	0.2	7.0%	1.1	12.8%
1970	0.6	—	0.05	—	0.6	—

* 推定

** 国外研究開発費には、PhRMA会員企業のうち米国企業による国外支出および外資系PhRMA会員企業の米国支社が国外で行った研究開発費を含む。外資系PhRMA会員企業の国外支社による研究開発費は除く。ただし、国内研究開発費には、全PhRMA会員企業が米国内で行った研究開発費を含める。

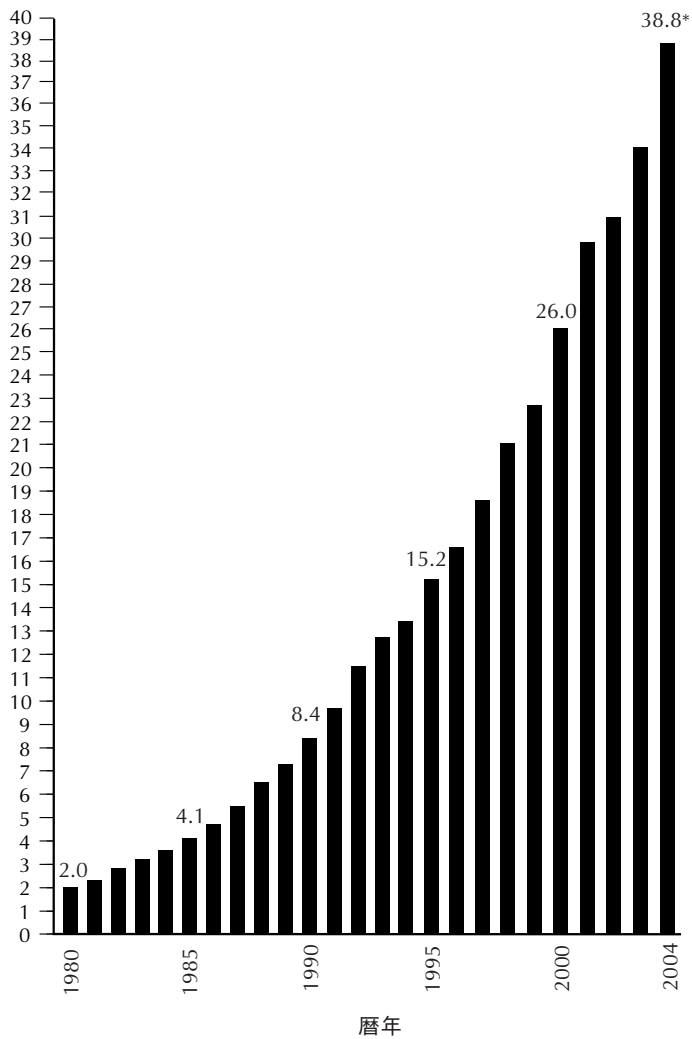
*** 国外研究開発費は吸収合併活動の影響を受けている。

注：数字はすべて、各社が出資した研究開発費のみ。総額は四捨五入の関係で一致しない場合がある。

出典：米国研究製薬工業協会、2005年PhRMA会員調査

PhRMA会員企業による研究開発投資

支出（単位：10億ドル）



* 推定

出典：米国研究製薬工業協会、2005年PhRMA会員調査

PhRMA会員企業による売り上げに対する研究開発費の割合：1970年～2004年（％）

暦年	国内売り上げに占める 国内研究開発の割合 (%)	総売り上げに占める 研究開発費の割合 (%)
*2004	18.8%	15.9%
2003	18.3%	15.7%
2002	18.4%	16.1%
2001	18.3%	16.7%
2000	18.4%	16.2%
1999	18.2%	15.5%
1998	21.1%	16.8%
1997	21.6%	17.1%
1996	21.0%	16.6%
1995	20.7%	16.7%
1994	21.9%	17.3%
1993	21.6%	17.0%
1992	19.4%	15.5%
1991	17.9%	14.6%
1990	17.7%	14.4%
1985	16.3%	12.9%
1980	13.1%	8.9%
1975	12.5%	9.0%
1970	12.3%	9.3%

* 推定

出典：米国研究製薬工業協会、2005年PhRMA会員調査

PhRMA

New Medicines. New Hope.®

Pharmaceutical Research and Manufacturers of America

1100 Fifteenth Street, NW

Washington, DC 20005

www.phrma.org

2005