

2024 年に FDA 医薬品評価研究センター (CDER) 神経科学部から画期的
治療薬指定 (BTD) を受けた医薬品一覧 *

薬剤	治療領域	適応症	希少疾病 用医薬品 指定 (ODD) の 有無	BTD のエビデ ンス基盤	BTD 取得日	治験依頼者
ラトジネマブ プログラニューリンアゴニストモノクローナル抗体	神経学	プログラニューリン遺伝子変異による前頭側頭型認知症 (FTD-GRN)	○	第 II 相試験 (n=28) において、12 か月の解析期間全体を通じて血漿中および脳脊髄液中のプログラニューリン濃度が 2 倍上昇し、疾患進行の遅延傾向を観察。 ¹	2/7/24	Alector Inc./GSK
CYB003 重水素化シロシビンアナログ	精神医学	大うつ病性障害 (MDD) 補助療法	N/A	第 I/IIa 相試験 (n=34) において、3 週時点でモンゴメリー・アスベルグうつ病評価尺度 (MADRS) の統計学的に有意な改善を、6 週時点で漸増的かつ持続的なベネフィットを確認。 ²	3/7/24	Cybin Inc.
酒石酸リゼルギド LSD	精神医学	全般性不安障害 (GAD)	N/A	第 IIb 相試験 (n=198) において、ハミルトン不安評価尺度スコアの迅速で臨床的および統計学的に有意かつ持続的な低下を確認。 ³	3/7/24	Mind Medicine Inc.
ジアゾキシドコリン XR ATP 感受性カリウムチャネル活性化剤	神経学	プラダーウィリ症候群	○	第 III 相試験 (n=114) において、自然歴コホート (n=229) のマッチドコホートと比較して、治療を受けた患者の過食スコアが統計的に有意に減少。 ⁴	4/29/24	Soleno Therapeutics
デルパシバルトエテデシラン 抗体オリゴヌクレオチド複合体	神経学	筋強直性ジストロフィー 1 型	○	第 I/II 相延長試験 (n=37) において、自然歴データと比較して、すべての評価項目で 1 年時点での継続的な改善を確認。 ⁵	5/8/24	Avidity Biosciences
ベキシカセリン 5-HT2C スーパーアゴニスト	神経学	発達性てんかん性脳症 (DEE)	○ (1)	第 Ib/IIa 相試験 (n=52) において、計数可能な運動発作の中央値がプラセボの 17.4% に対し、ベキシカセリンは 59.8% の減少を記録。 ⁶	7/1/24	Longboard Pharmaceuticals
シチシニクリン 植物由来アルカロイド	精神医学	ニコチン入り電子タバコ (ベイピング) 禁煙	N/A	第 II 相試験 (n=160) において、プラセボと比較して継続的かつ統計的に有意な電子タバコの禁煙成功を確認。 ⁷	7/31/24	Achieve Life Sciences
エダラボンとデクスボルネオール 凍結保護併用療法	神経学	急性虚血性脳卒中	N/A	第 III 相試験 (n=914) において、90 日時点の神経障害の修正ランキンスコア (mRS) に関して統計的に有意な改善を確認。 ⁸	9/5/24	Simcere Pharmaceuticals Group
NTX-001 神経融合技術・デバイスキット	神経学	末梢神経損傷修復	○	第 IIa 相試験 (n=52) において、標準治療と比較して有害事象の減少、ならびに手の機能と症候の統計的に有意な改善を確認。 ⁹	9/11/24	Neuraptive Therapeutics Inc.

* この一覧には、2024 年 1 月 1 日から 9 月 30 日の間にパレクセルが確認した公表済みの BTD が掲載されています。FDA は未承認の製品に付与された BTD を公表しておらず、すべての企業が自社製品の BTD 状況を公表しているわけではないため、この一覧は不完全である可能性があります。また、弊社が発表を見落とした可能性もあります。FDA は、治験薬の BTD に関する集計データを開示していますが、個々の薬剤を特定することはありません。CDER の神経科学部 (ON) には、神経学第 1 部門、神経学第 2 部門、精神医学部門、および麻酔学・依存症医学・疼痛医学部門の 4 つの新薬審査部門があります。

N/A：希少疾病ではないため、ODD の適用外です。

(1) ベキシカセリンは、発達性てんかん性脳症 (DEE) であるドラベ症候群に対して ODD および希少小児疾患治療薬指定を受けています。

BTD のエビデンス基盤に関する注釈：¹ラトジネマブ：[BTD 発表](#)および[治験結果](#)。²CYB003：[BTD 発表](#)および[治験結果](#)。³酒石酸リゼルギド：[BTD 発表](#)および[治験結果](#)。⁴ジアゾキシドコリン XR：[BTD 発表](#)および[治験結果](#)。⁵デルパシバルトエテデシラン：[BTD 発表](#)および[治験結果](#)。⁶ベキシカセリン：[BTD 発表](#)および[治験結果](#)。⁷シチシニクリン：[BTD 発表](#)および[治験結果](#)。⁸エダラボンとデクスボルネオール：[BTD 発表](#)および[治験結果](#)。⁹NTX-001：[BTD 発表](#)および[治験結果](#)。BTD のエビデンス基盤に関する各社のプレスリリースは、表現が統一されていません。そのため、BTD の発表で言及された主要な有効性試験の結果へのリンクを掲載しました (入手可能な場合)。FDA は、「一つ以上の臨床的に重要な評価項目において、既存の治療法と比較し、当該薬剤の顕著な改善を示す予備的臨床エビデンスを有していること」を BTD の要件として定めています。