

薬生薬審発 0605 第 1 号
令和 2 年 6 月 5 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)

希少疾病用医薬品の指定取消し及び希少疾病用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 5 の規定に基づき試験研究等の中止届が提出された下記の希少疾病用医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき指定が取り消され、また、同法第 77 条の 2 第 1 項の規定に基づき、希少疾病用医薬品が下記のとおり指定されたので、通知する。

記

1. 指定の取消し

- (1) 指 定 番 号：（10 薬 A）第 111 号
医 薬 品 の 名 称：ドラニダゾール
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：膵癌に対する術中放射線治療の効果増強
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称：サンファーマ株式会社
- (2) 指 定 番 号：（16 薬）第 170 号
医 薬 品 の 名 称：ペガプタニブナトリウム
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：中心窩下脈絡膜新生血管を伴う加齢黄斑変性症
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称：ファイザー株式会社
- (3) 指 定 番 号：（19 薬）第 201 号
医 薬 品 の 名 称：ガルスルファーゼ（遺伝子組換え）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ムコ多糖症Ⅵ型
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称：アンジェス株式会社
- (4) 指 定 番 号：（24 薬）第 262 号
医 薬 品 の 名 称：パシレオチドパモ酸塩

予定される効能又は効果：クッシング病

届け出た者の氏名又は名称：ノバルティスファーマ株式会社

(5)指 定 番 号：(25薬)第320号

医 薬 品 の 名 称：ヒトC1インヒビター

予定される効能又は効果：遺伝性又は自然突然変異によるC1インヒビター
(C1-INH)欠損症患者における血管性浮腫発作の予
防及び治療

届け出た者の氏名又は名称：武田薬品工業株式会社

(6)指 定 番 号：(30薬)第416号

医 薬 品 の 名 称：Caplacizumab

予定される効能又は効果：血栓性血小板減少性紫斑病

届け出た者の氏名又は名称：Ablynx N.V.

2. 指定

(1)指 定 番 号：(19薬)第201号

医 薬 品 の 名 称：ガルスルファーゼ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：ムコ多糖症Ⅵ型

申請者の氏名又は名称：BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社

(2)指 定 番 号：(24薬)第262号

医 薬 品 の 名 称：パシレオチドパモ酸塩

予定される効能又は効果：クッシング病

申請者の氏名又は名称：レコルダティ・レア・ディジーズ・ジャパン株式
会社

(3)指 定 番 号：(30薬)第416号

医 薬 品 の 名 称：Caplacizumab

予定される効能又は効果：血栓性血小板減少性紫斑病

届け出た者の氏名又は名称：サノフィ株式会社

(4)指 定 番 号：(R2薬)第466号

医 薬 品 の 名 称：リツキシマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：視神経脊髄炎及び視神経脊髄炎関連疾患

申請者の氏名又は名称：全薬工業株式会社

(5)指 定 番 号：(R2薬)第467号

医 薬 品 の 名 称：Efgartigimod

予定される効能又は効果：全身型重症筋無力症

申請者の氏名又は名称：アルジェニクス ジャパン株式会社

(6)指 定 番 号：(R 2 薬) 第 4 6 8 号

医 薬 品 の 名 称：lanadelumab

予定される効能又は効果：遺伝性血管性浮腫の発作抑制

申請者の氏名又は名称：武田薬品工業株式会社

(7)指 定 番 号：(R 2 薬) 第 4 6 9 号

医 薬 品 の 名 称：レンバチニブメシル酸塩

予定される効能又は効果：切除不能な胸腺癌

申請者の氏名又は名称：エーザイ株式会社

(8)指 定 番 号：(R 2 薬) 第 4 7 0 号

医 薬 品 の 名 称：ギボシランナトリウム

予定される効能又は効果：急性肝性ポルフィリン症

申請者の氏名又は名称：Alnylam Japan 株式会社