

薬生薬審発 0219 第 1 号
令和 3 年 2 月 19 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医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき下記 1. の希少疾病用医薬品の指定を取り消し、また、同法第 77 条の 2 第 1 項の規定に基づき、下記 2. について希少疾病用医薬品として指定したので、通知する。

記

1. 指定の取消し

(1) 指 定 番 号 : (R 2 薬) 第 4 8 3 号

医 薬 品 の 名 称 : ペミガチニブ

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : *FGFR2* 融合遺伝子陽性の局所進行又は転移性胆管癌
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称 : インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社

2. 指定

(1) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 0 1 号

医 薬 品 の 名 称 : アセノイラミン酸

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : GNE ミオパチーによる筋力低下の進行抑制
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称 : ノーベルファーマ株式会社

(2) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 0 2 号

医 薬 品 の 名 称 : concizumab

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : インヒビターを保有する先天性血液凝固第Ⅷ因子又は第Ⅸ因子欠乏患者の出血傾向の抑制

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

(3)指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 0 3 号

医 薬 品 の 名 称：E7090

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：*FGFR2* 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：エーザイ株式会社

(4)指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 0 4 号

医 薬 品 の 名 称：KMW-1

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：深達性Ⅱ度又はⅢ度熱傷における壊死組織の除去

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：科研製薬株式会社

(5)指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 0 5 号

医 薬 品 の 名 称：ペミガチニブ

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：*FGFR2* 融合遺伝子陽性の治癒切除不能な胆道癌

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社