

医薬薬審発 0518 第 5 号
令和 8 年 5 月 18 日

各 都 道 府 県 衛 生 主 管 部 (局) 長 殿
独立行政法人医薬品医療機器総合機構 理事長 殿
国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所 理事長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
(公 印 省 略)

希少疾病用医薬品における指定取消し、指定等について

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 1. の医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき、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. の医薬品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。

また、下記 3. の医薬品について、今般、『「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について』(令和 6 年 1 月 16 日医薬薬審発 0116 第 1 号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長、医薬機審発 0116 第 1 号医療機器審査管理課長連名通知)に基づき、優先審査及び優先相談の該当性に変更があったので、通知する。

記

1. 指定の取消し

(1)指 定 番 号 : (2 8 薬) 第 3 8 3 号

医 薬 品 の 名 称 : パチシラン

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : トランスサイレチン型家族性アミロイドポ
リニューロパチー

氏 名 又 は 名 称 : Alnylam Japan 株式会社

(2)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 2 2 号

医薬品の名称：TAR-200
予定される効能又は効果：BCG 不応性の上皮内癌を有する高リスク筋
層非浸潤性膀胱癌
氏名又は名称：ヤンセンファーマ株式会社

2. 指定

- (1) 指定番号：(R 8薬) 第788号
医薬品の名称：Lu AG13909
予定される効能又は効果：先天性副腎過形成症
氏名又は名称：ルンドベック・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：非該当
- (2) 指定番号：(R 8薬) 第789号
医薬品の名称：Lu AG13909
予定される効能又は効果：クッシング病
氏名又は名称：ルンドベック・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：非該当
- (3) 指定番号：(R 8薬) 第790号
医薬品の名称：velmanase alfa
予定される効能又は効果： α -マンノシドーシス
氏名又は名称：キエジ・ファーマ・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：該当
- (4) 指定番号：(R 8薬) 第791号
医薬品の名称：felzartamab
予定される効能又は効果：IgA 腎症
氏名又は名称：バイオジェン・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：非該当
- (5) 指定番号：(R 8薬) 第792号
医薬品の名称：felzartamab
予定される効能又は効果：原発性膜性腎症
氏名又は名称：バイオジェン・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：非該当

- (6)指 定 番 号：(R 8薬) 第793号
医 薬 品 の 名 称：ポボルシチニブリン酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：化膿性汗腺炎
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
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当
- (7)指 定 番 号：(R 8薬) 第794号
医 薬 品 の 名 称：Daraxonrasib
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：治癒切除不能な腭癌
氏 名 又 は 名 称：Revolution Medicines, Inc.
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当
- (8)指 定 番 号：(R 8薬) 第795号
医 薬 品 の 名 称：ニボルマブ（遺伝子組換え）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：根治切除不能な甲状腺未分化癌
氏 名 又 は 名 称：小野薬品工業株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当
- (9)指 定 番 号：(R 8薬) 第796号
医 薬 品 の 名 称：チラブルチニブ塩酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：悪性リンパ腫の中樞神経系への浸潤（既存
治療が効果不十分又は不適當な場合に限
る）
氏 名 又 は 名 称：小野薬品工業株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当
- (10)指 定 番 号：(R 8薬) 第797号
医 薬 品 の 名 称：ramantamig
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：多発性骨髄腫
氏 名 又 は 名 称：ヤンセンファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当
- (11)指 定 番 号：(R 8薬) 第798号
医 薬 品 の 名 称：TAR-200
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：BCG 療法後に再発した上皮内癌を有する高

リスク筋層非浸潤性膀胱癌

氏名又は名称：ヤンセンファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(12)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 9 9 号

医薬品の名称：NXT007

予定される効能又は効果：先天性血友病 A 患者における出血傾向の抑制

氏名又は名称：中外製薬株式会社

優先審査・優先相談：非該当

3. 優先審査及び優先相談の該当性に変更のあった品目

(1)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 3 6 号

医薬品の名称：イプタコパン塩酸塩水和物

予定される効能又は効果：IgA 腎症

氏名又は名称：ノバルティスファーマ株式会社

指 定 日：令和 7 年 11 月 27 日

優先審査・優先相談：該当

(2)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 0 号

医薬品の名称：Odevixibat

予定される効能又は効果：アラジール症候群

氏名又は名称：IPSEN 株式会社

指 定 日：令和 6 年 12 月 25 日

優先審査・優先相談：非該当