

医薬薬審発 0606 第 1 号
令和 6 年 6 月 6 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)

希少疾病用医薬品の指定取消し及び指定について

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：(11薬)第128号
医 薬 品 の 名 称：エファビレンツ
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：後天性免疫不全症候群並びに症候性及び無症候性
H I V - 1 感 染 症
氏 名 又 は 名 称：MSD 株式会社
- (2)指 定 番 号：(R3薬)第518号
医 薬 品 の 名 称：TransCon PTH
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：副甲状腺機能低下症
氏 名 又 は 名 称：Ascendis Pharma Bone Diseases A/S
- (3)指 定 番 号：(R5薬)第585号

医 薬 品 の 名 称 : Obixelimab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgG4 関 連 疾 患
氏 名 又 は 名 称 : Zenas BioPharma LLC

2. 指 定

(1) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 1 8 号
医 薬 品 の 名 称 : TransCon PTH
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 副 甲 状 腺 機 能 低 下 症
氏 名 又 は 名 称 : 帝 人 フ ァ ー マ 株 式 会 社

(2) 指 定 番 号 : (R 5 薬) 第 5 8 5 号
医 薬 品 の 名 称 : Obixelimab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgG4 関 連 疾 患
氏 名 又 は 名 称 : ブ リ ス ト ル ・ マ イ ヤ ー ズ ス ク イ ブ 株 式 会 社

(3) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 1 号
医 薬 品 の 名 称 : MSA-01
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 多 系 統 萎 縮 症
氏 名 又 は 名 称 : ノ ー ベ ル フ ァ ー マ 株 式 会 社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(4) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 2 号
医 薬 品 の 名 称 : ブ デ ソ ニ ド
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgA 腎 症
氏 名 又 は 名 称 : ヴ ィ ア ト リ ス 製 薬 株 式 会 社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(5) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 3 号
医 薬 品 の 名 称 : cannabidiol
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : Dravet 症 候 群 に お け る て ん か ん 発 作
氏 名 又 は 名 称 : ジ ャ ズ フ ァ ー マ シ ュ ー テ ィ カ ル ズ ジ ャ パ ン 株 式 会 社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(6) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 4 号
医 薬 品 の 名 称 : cannabidiol
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : Lennox-Gastaut 症 候 群 に お け る て ん か ん 発 作
氏 名 又 は 名 称 : ジ ャ ズ フ ァ ー マ シ ュ ー テ ィ カ ル ズ ジ ャ パ ン 株 式 会 社

優先審査・優先相談：該当

(7)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 0 5 号

医 薬 品 の 名 称：cannabidiol

予定される効能又は効果：結節性硬化症におけるてんかん発作

氏 名 又 は 名 称：ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会社

優先審査・優先相談：該当

(8)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 0 6 号

医 薬 品 の 名 称：イボシデニブ

予定される効能又は効果：IDH1 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病

氏 名 又 は 名 称：日本セルヴィエ株式会社

優先審査・優先相談：該当

(9)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 0 7 号

医 薬 品 の 名 称：KD-416

予定される効能又は効果：血液凝固第Ⅹ因子欠乏症患者の出血傾向の抑制

氏 名 又 は 名 称：KMバイオロジクス株式会社

優先審査・優先相談：該当