

日薬連発第658号

2019年8月22日

加 盟 団 体 殿

日 本 製 薬 団 体 連 合 会

希少疾病用医薬品の指定について

標記について、令和元年8月20日付け薬生薬審発0820第3号にて厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課長より各都道府県衛生主管部(局)長宛に通知した旨、通知がありましたのでお知らせします。

つきましては、本件につき貴会会員に周知徹底いただきたく、ご配慮の程よろしく
お願い申し上げます。



薬生薬審発 0820 第 3 号
令和元年 8 月 20 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 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

- (1) 指 定 番 号：(31薬) 第440号
医 薬 品 の 名 称：ビルトラルセン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：エクソン 53 スキッピングにより治療可能なジ
ストロフィン遺伝子の欠失が確認されている
デュシェンヌ型筋ジストロフィー
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：日本新薬株式会社
- (2) 指 定 番 号：(31薬) 第441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：中枢神経系原発リンパ腫
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：小野薬品工業株式会社