

日薬連発第 871 号

2019 年 11 月 20 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取消しおよび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 11 月 19 日付け薬生薬審発 1119 第 1 号にて厚生労働省 医薬・生活衛生局 審査管理課長より各都道府県 衛生主管部（局）長宛に通知した旨連絡がありましたので、お知らせいたします。

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 1119 第 1 号  
令和元年 11 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：(29薬) 第 399 号  
医 薬 品 の 名 称：バルプロ酸ナトリウム  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：脊髄性筋萎縮症  
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称：興和株式会社

(2) 指 定 番 号：(30薬) 第 425 号  
医 薬 品 の 名 称：BCX7353  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：遺伝性血管性浮腫の発作抑制  
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称：BioCryst, Inc.

### 2. 指定

(1) 指 定 番 号：(30薬) 第 425 号  
医 薬 品 の 名 称：BCX7353  
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：BioCryst Pharmaceuticals, Inc.

- (2)指 定 番 号：(31薬)第445号  
医 薬 品 の 名 称：andexanet alfa  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：直接作用型第Xa因子阻害剤（アピキサバン、リバーロキサバン又はエドキサバン）投与中の患者における、生命を脅かす出血又は止血困難な出血の発現時の抗凝固作用の中和  
申 請 者 の 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：(31薬)第446号  
医 薬 品 の 名 称：システアミン塩酸塩  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：シスチン症における角膜シスチン結晶の溶解  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：マイランEPD合同会社
- (4)指 定 番 号：(31薬)第447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：原発性マクログロブリン血症及びリンパ形質細胞リンパ腫  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：小野薬品工業株式会社
- (5)指 定 番 号：(31薬)第448号  
医 薬 品 の 名 称：ポラツズマブ ベドチン（遺伝子組換え）  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：びまん性大細胞型B細胞リンパ腫  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：中外製薬株式会社
- (6)指 定 番 号：(31薬)第449号  
医 薬 品 の 名 称：テポチニブ塩酸塩水和物  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：MET遺伝子変異陽性の非小細胞肺癌  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：メルクバイオフーマ株式会社