

日薬連発第 406 号
2022 年 5 月 27 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及び指定について

標記について、令和 4 年 5 月 26 日付け薬生薬審発 0526 第 14 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通知がありました。

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 0526 第 15 号
令和 4 年 5 月 26 日

日本製薬団体連合会会長 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指定について

今般、別添写しのとおり、各都道府県衛生主管部（局）長宛てに通知したので、御了
知願います。



薬生薬審発 0526 第 14 号
令和 4 年 5 月 26 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 127 号
医 薬 品 の 名 称： α -ガラクトシダーゼ A
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ファブリー病患者における諸症状の改善
氏 名 又 は 名 称：住友製薬株式会社

(2) 指 定 番 号：(23薬) 第 250 号
医 薬 品 の 名 称：オフアツムマブ（遺伝子組換え）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：慢性リンパ性白血病
氏 名 又 は 名 称：ノバルティスファーマ株式会社

2. 指定

(1) 指 定 番 号：(R4薬) 第 540 号
医 薬 品 の 名 称：ダウノルビシン塩酸塩・シタラビン配合リポソーム注射剤
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：急性骨髄性白血病
氏 名 又 は 名 称：日本新薬株式会社

(2)指 定 番 号：(R 4 薬) 第 5 4 1 号

医 薬 品 の 名 称：CNT-01

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：中性脂肪蓄積心筋血管症

氏 名 又 は 名 称：トーアエイヨー株式会社

(3)指 定 番 号：(R 4 薬) 第 5 4 2 号

医 薬 品 の 名 称：メコバラミン

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：筋萎縮性側索硬化症 (ALS) の病態及び機能障害の
進行抑制

氏 名 又 は 名 称：エーザイ株式会社

(4)指 定 番 号：(R 4 薬) 第 5 4 3 号

医 薬 品 の 名 称：バルガンシクロビル塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：症候性先天性サイトメガロウイルス感染症の治療

氏 名 又 は 名 称：田辺三菱製薬株式会社

(5)指 定 番 号：(1 1 薬) 第 1 2 7 号

医 薬 品 の 名 称： α -ガラクトシダーゼ A

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ファブリー病患者における諸症状の改善

氏 名 又 は 名 称：武田薬品工業株式会社