

日薬連発第 87 号
2024 年 2 月 9 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 6 年 2 月 9 日付け医薬薬審発 0209 第 2 号にて厚生労働省 医薬局 医薬品審査管理課長より通知がありました。（日薬連宛て：医薬薬審発 0209 第 3 号）

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。

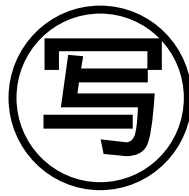
医薬審発 0209 第 3 号
令和 6 年 2 月 9 日

日本製薬団体連合会会長 殿
各 地 方 厚 生 局 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

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



医薬薬審発 0209 第 2 号
令和 6 年 2 月 9 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 : (9 薬 A) 第 1 0 7 号
医 薬 品 の 名 称 : クロトリマゾール
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : HIV 感染者の口腔カンジダ症
氏 名 又 は 名 称 : バイエル薬品株式会社

2. 指定

- (1) 指 定 番 号 : (R 5 薬) 第 5 9 4 号
医 薬 品 の 名 称 : Encaleret
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 常染色体顕性 (優性) 低カルシウム血症 1 型
氏 名 又 は 名 称 : Calcilytix Therapeutics, Inc., a BridgeBio
Company
- (2) 指 定 番 号 : (R 5 薬) 第 5 9 5 号
医 薬 品 の 名 称 : tinlarebant
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : スタルガルト病

氏名又は名称：Belite Bio, Inc.

(3)指 定 番 号：(R5薬)第596号

医 薬 品 の 名 称：ベルズチファン

予定される効能又は効果：フォン・ヒッペル・リンドウ（VHL）病関連の腫瘍
性病変

氏名又は名称：MSD株式会社

(4)指 定 番 号：(R5薬)第597号

医 薬 品 の 名 称：タルラタマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：小細胞肺癌

氏名又は名称：アムジェン株式会社