

日薬連発第 185 号
2024 年 3 月 21 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 3 月 21 日付け医薬薬審発 0321 第 1 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 0321 第 2 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。

医薬薬審発 0321 第 2 号
令和 6 年 3 月 21 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 0321 第 1 号
令和 6 年 3 月 21 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：(26薬)第349号
医 薬 品 の 名 称：パノビノスタット乳酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：再発又は難治性の多発性骨髄腫
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：(R5薬)第598号
医 薬 品 の 名 称：talquetamab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ヤンセンファーマ株式会社
氏 名 又 は 名 称：多発性骨髄腫
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(2) 指 定 番 号：(R5薬)第599号

医薬品の名称：sotatercept
予定される効能又は効果：肺動脈性肺高血圧症
氏名又は名称：MSD 株式会社
優先審査・優先相談：該当

(3)指 定 番 号：(R5薬)第600号
医薬品の名称：エフガルチギモド アルファ（遺伝子組換え）・ボ
ルヒアルロニダーゼ アルファ（遺伝子組換え）配合
注射剤
予定される効能又は効果：慢性炎症性脱髄性多発根神経炎
氏名又は名称：アルジェニクスジャパン株式会社
優先審査・優先相談：該当