

日薬連発第 754 号
2024 年 11 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について

標記について、令和 6 年 11 月 27 日付け医薬薬審発 1127 第 4 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 1127 第 5 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 1127 第 5 号
令和 6 年 11 月 27 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。



医薬審発 1127 第 4 号
令和 6 年 11 月 27 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、下記 1. 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

- (1) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 3 2 号
医 薬 品 の 名 称 : sparsentan
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgA 腎症
氏 名 又 は 名 称 : レナリスファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該当
- (2) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 3 3 号
医 薬 品 の 名 称 : パロパロテン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 進行性骨化性線維異形成症
氏 名 又 は 名 称 : IPSEN 株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該当
- (3) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 3 4 号
医 薬 品 の 名 称 : マシテンタン
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 : ヤンセンファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(4)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 3 5 号

医 薬 品 の 名 称：ALXN2220

予定される効能又は効果：トランスサイレチン型心アミロイドーシス

氏 名 又 は 名 称：アレクシオンファーマ合同会社

優先審査・優先相談：該当

(5)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 3 6 号

医 薬 品 の 名 称：サトラリズマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：自己免疫介在性脳炎

氏 名 又 は 名 称：中外製薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(6)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 3 7 号

医 薬 品 の 名 称：サトラリズマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質抗体
関連疾患

氏 名 又 は 名 称：中外製薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(7)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 3 8 号

医 薬 品 の 名 称：ニポカリマブ（遺伝子組換え）

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：ヤンセンファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(8)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 3 9 号

医 薬 品 の 名 称：プロギジルセン

予定される効能又は効果：エクソン 44 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

氏 名 又 は 名 称：日本新薬株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(9)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 0 号

医 薬 品 の 名 称：BMS-986278

予定される効能又は効果：特発性肺線維症

氏 名 又 は 名 称：ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(10)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 1 号

医 薬 品 の 名 称：Nacubactam

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：グラム陰性桿菌感染症に対するセフェピム又はアズトレオナムとの併用療法

セフェピム/ナキュバクタム併用療法における適応菌種、適応症は以下のとおり。

<適応菌種>

セフェピム/ナキュバクタムに感性の腸内細菌目細菌、緑膿菌、その他のグラム陰性桿菌（アシネトバクター属を除く）

ただし、カルバペネム系抗菌薬に耐性が考えられる菌株に限る。

<適応症>

各種感染症

アズトレオナム/ナキュバクタム併用療法における適応菌種、適応症は以下のとおり。

<適応菌種>

アズトレオナム/ナキュバクタムに感性の腸内細菌目細菌、緑膿菌、その他のグラム陰性桿菌（アシネトバクター属を除く）

ただし、カルバペネム系抗菌薬に耐性が考えられる菌株に限る。

<適応症>

各種感染症

氏 名 又 は 名 称：Meiji Seika ファルマ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(11)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 2 号

医 薬 品 の 名 称：BAY 2927088

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：HER2 遺伝子変異陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌

氏 名 又 は 名 称：バイエル薬品株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(12)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 3 号

医 薬 品 の 名 称：lomustine

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：神経膠腫

氏 名 又 は 名 称：日本メダック株式会社

優先審査・優先相談：該当

(13)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 4 号

医 薬 品 の 名 称：taletrectinib

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ROS1 融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非
小細胞肺癌

氏 名 又 は 名 称：日本化薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(14)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 5 号

医 薬 品 の 名 称：TP-3654

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：骨髄線維症

氏 名 又 は 名 称：住友ファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(15)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 6 号

医 薬 品 の 名 称：タファシタマブ（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

氏 名 又 は 名 称：インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会
社

優先審査・優先相談：非該当