

日薬連発第 831 号
2024 年 12 月 25 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 12 月 25 日付け医薬薬審発 1225 第 6 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 1225 第 7 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 1225 第 7 号
令和 6 年 12 月 25 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。



医薬薬審発 1225 第 6 号
令和 6 年 12 月 25 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 4 7 号
医 薬 品 の 名 称 : イネビリズマブ（遺伝子組換え）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgG4 関連疾患
氏 名 又 は 名 称 : 田辺三菱製薬株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該当

(2) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 4 8 号
医 薬 品 の 名 称 : R07434656
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgA 腎症
氏 名 又 は 名 称 : 中外製薬株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(3) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 4 9 号
医 薬 品 の 名 称 : velusetrag
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 慢性偽性腸閉塞症
氏 名 又 は 名 称 : Alfasigma S.p.A

優先審査・優先相談：非該当

(4)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 0 号

医 薬 品 の 名 称：Odevixibat

予定される効能又は効果：アラジール症候群

氏 名 又 は 名 称：ジェダイトメディスン株式会社

優先審査・優先相談：該当

(5)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 1 号

医 薬 品 の 名 称：JR-441

予定される効能又は効果：ムコ多糖症 IIIA 型

氏 名 又 は 名 称：J C R ファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(6)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 2 号

医 薬 品 の 名 称：フェニル酪酸グリセロール

予定される効能又は効果：尿素サイクル異常症

氏 名 又 は 名 称：株式会社オーファンパシフィック

優先審査・優先相談：非該当

(7)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 3 号

医 薬 品 の 名 称：Pitolisant

予定される効能又は効果：ナルコレプシー

氏 名 又 は 名 称：アキュリスファーマ株式会社

優先審査・優先相談：該当

(8)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 4 号

医 薬 品 の 名 称：セベトラルスタット

予定される効能又は効果：遺伝性血管性浮腫の急性発作

氏 名 又 は 名 称：KalVista Pharmaceuticals Japan 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 5 5 号

医 薬 品 の 名 称：ボラシデニブ クエン酸水和物

予定される効能又は効果：IDH1 又は IDH2 遺伝子変異陽性の神経膠腫

氏 名 又 は 名 称：日本セルヴィエ株式会社

優先審査・優先相談：該当（ただし、本剤単独投与に係る審査・相談に限る）

(10)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 6 号

医 薬 品 の 名 称：レボトレクチニブ
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：NTRK 融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌
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

(11)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 7 号

医 薬 品 の 名 称：ゾンゲルチニブ
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：日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当（ただし、HER2 遺伝子変異を有する切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌のうち、「がん化学療法後に増悪した HER2 遺伝子変異を有する切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌」に限る）

(12)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 8 号

医 薬 品 の 名 称：イフィナタマブ デルクステカン（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：第一三共株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当