

日薬連発第 148 号
2025 年 2 月 28 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 7 年 2 月 28 日付け医薬薬審発 0228 第 3 号にて厚生労働省 医薬局 医薬品審査管理課より通知がありました。（日薬連宛て：医薬薬審発 0228 第 4 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 0228 第 4 号
令和 7 年 2 月 28 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 0228 第 3 号
令和 7 年 2 月 28 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 7 薬) 第 6 5 9 号
医 薬 品 の 名 称：atrasentan
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：IgA 腎症
氏 名 又 は 名 称：ノバルティスファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当
- (2) 指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 0 号
医 薬 品 の 名 称：batoclimab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：活動性甲状腺眼症
氏 名 又 は 名 称：HanAll Biopharma Co., Ltd
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当
- (3) 指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 1 号
医 薬 品 の 名 称：efzimfotase alfa
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：低ホスファターゼ症
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：非該当

(4)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 2 号

医 薬 品 の 名 称：eneboparatide

予定される効能又は効果：副甲状腺機能低下症

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 7 薬) 第 6 6 3 号

医 薬 品 の 名 称：Nirogacestat

予定される効能又は効果：デスモイド腫瘍

氏 名 又 は 名 称：SpringWorks Therapeutics, Inc.

優先審査・優先相談：該当

(6)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 4 号

医 薬 品 の 名 称：ラブリズマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：IgA 腎症

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：非該当

(7)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 5 号

医 薬 品 の 名 称：BI 764198

予定される効能又は効果：デュシェンヌ型筋ジストロフィー

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：非該当

(8)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 6 号

医 薬 品 の 名 称：Lu AF82422

予定される効能又は効果：多系統萎縮症

氏 名 又 は 名 称：ルンドベック・ジャパン株式会社

優先審査・優先相談：該当

(9)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 7 号

医 薬 品 の 名 称：フェンフルラミン塩酸塩

予定される効能又は効果：CDKL5 遺伝子欠損症患者におけるてんかん発作の抑制

氏 名 又 は 名 称：ユーシービージャパン株式会社

優先審査・優先相談：該当

(10)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 8 号

医 薬 品 の 名 称：トラフェルミン（遺伝子組換え）
予 定 される 効 能 又 は 効 果：外耳道軟部組織欠損
氏 名 又 は 名 称：ノーベルファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(11)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 6 9 号
医 薬 品 の 名 称：seralutinib
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：GB002 Inc.
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(12)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 0 号
医 薬 品 の 名 称：Naxitamab
予 定 される 効 能 又 は 効 果：再発又は難治性の神経芽腫
氏 名 又 は 名 称：ノーベルファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(13)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 1 号
医 薬 品 の 名 称：サルグラモスチム（遺伝子組換え）
予 定 される 効 能 又 は 効 果：再発又は難治性の神経芽腫
氏 名 又 は 名 称：ノーベルファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(14)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 2 号
医 薬 品 の 名 称：ダロルタミド
予 定 される 効 能 又 は 効 果：アンドロゲン受容体陽性の根治切除不能な進行・
再発の唾液腺癌
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

(15)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 3 号
医 薬 品 の 名 称：レチファンリマブ（遺伝子組換え）
予 定 される 効 能 又 は 効 果：肛門管扁平上皮癌
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：該当

(16)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 4 号
医 薬 品 の 名 称：ロンカスツキシマブ テシリン（遺伝子組換え）
予 定 される 効 能 又 は 効 果：以下の再発又は難治性の大細胞型 B 細胞リンパ腫

(びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫、高悪性度 B
細胞リンパ腫)

氏 名 又 は 名 称：田辺三菱製薬株式会社

優先審査・優先相談：非該当