

日薬連発第 231 号
2025 年 3 月 31 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 3 月 31 日付け医薬薬審発 0331 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 0331 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 0331 第 2 号
令和 7 年 3 月 31 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 0331 第 1 号
令和 7 年 3 月 31 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 7 5 号
医 薬 品 の 名 称：BI 764198
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：単状分節性糸球体硬化症
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
- (2) 指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 7 6 号
医 薬 品 の 名 称：Setmelanotide
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：後天性視床下部性肥満
氏 名 又 は 名 称：Rhythm Pharmaceuticals Inc.
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当
- (3) 指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 7 7 号
医 薬 品 の 名 称：triheptanoin
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：長鎖脂肪酸代謝異常症
氏 名 又 は 名 称：Ultragenyx Japan 株式会社

優先審査・優先相談：該当

(4)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 7 8 号
医 薬 品 の 名 称：アプラグルチドナトリウム
予定される効能又は効果：短腸症候群
氏 名 又 は 名 称：旭化成ファーマ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(5)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 7 9 号
医 薬 品 の 名 称：delpacibart etedesiran
予定される効能又は効果：筋強直性ジストロフィー1 型
氏 名 又 は 名 称：Avidity Biosciences Inc.,
優先審査・優先相談：非該当

(6)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 8 0 号
医 薬 品 の 名 称：Plozasiran
予定される効能又は効果：家族性高カイロミクロン血症症候群
氏 名 又 は 名 称：Arrowhead Pharmaceuticals, Inc.
優先審査・優先相談：該当

(7)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 8 1 号
医 薬 品 の 名 称：LY3537982
予定される効能又は効果：がん化学療法後に増悪した KRAS G12C 変異陽性の
治癒切除不能な膵癌
氏 名 又 は 名 称：日本イーライリリー株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(8)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 8 2 号
医 薬 品 の 名 称：mirvetuximab soravtansine
予定される効能又は効果：葉酸受容体 α 陽性の再発卵巣癌
氏 名 又 は 名 称：武田薬品工業株式会社
優先審査・優先相談：該当（ただし、「葉酸受容体 α 陽性の再発卵巣癌」
のうち「葉酸受容体 α 陽性の白金系抗悪性腫瘍剤
抵抗性の再発卵巣癌」に限る）

(9)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 8 3 号
医 薬 品 の 名 称：raludotatug deruxtecan
予定される効能又は効果：白金系抗悪性腫瘍剤抵抗性の卵巣癌
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

(10)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 8 4 号

医 薬 品 の 名 称：アテゾリズマブ（遺伝子組換え）

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：切除不能な胸腺癌

氏 名 又 は 名 称：中外製薬株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(11)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 8 5 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：再発又は難治性の濾胞性リンパ腫

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：該当

(12)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 8 6 号

医 薬 品 の 名 称：デュピルマブ（遺伝子組換え）

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：水疱性類天疱瘡

氏 名 又 は 名 称：サノフィ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当