

日薬連発第 381 号
2025 年 5 月 30 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 7 年 5 月 30 日付け医薬薬審発 0530 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 0530 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 0530 第 2 号
令和 7 年 5 月 30 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 0530 第 1 号
令和 7 年 5 月 30 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下記 1.（1）及び（2）の医薬品並びに同法第 77 条の 2 第 1 項各号のいずれかに該当しなくなった下記 1.（3）の医薬品について、それぞれ同法第 77 条の 6 第 1 項及び第 2 項の規定に基づき、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. の医薬品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：(R 2 薬) 第 4 5 7 号
医 薬 品 の 名 称：フェニル酢酸ナトリウム・安息香酸ナトリウム中
心静脈投与用製剤
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：尿素サイクル異常症における急性の高アンモニア
血症及び脳症
氏 名 又 は 名 称：武田薬品工業株式会社

(2)指 定 番 号：(R 5 薬) 第 5 6 5 号
医 薬 品 の 名 称：Leniolisib
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：活性化 PI3K δ 症候群
氏 名 又 は 名 称：Pharming Technologies B.V.

(3)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 3 8 号
医 薬 品 の 名 称 : ニボカリマブ (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

2. 指定

(1)指 定 番 号 : (R 5 薬) 第 5 6 5 号
医 薬 品 の 名 称 : Leniolisib
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 活性化 PI3K δ 症候群
氏 名 又 は 名 称 : 株式会社オーファンパシフィック

(2)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 8 7 号
医 薬 品 の 名 称 : elafibranor
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 原発性胆汁性胆管炎
氏 名 又 は 名 称 : IPSEN 株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(3)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 8 8 号
医 薬 品 の 名 称 : navepegritide
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症
氏 名 又 は 名 称 : 帝人ファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(4)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 8 9 号
医 薬 品 の 名 称 : umedaptanib pegol
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症
氏 名 又 は 名 称 : 株式会社リボミック
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(5)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 9 0 号
医 薬 品 の 名 称 : シベプレニリマブ (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 : 大塚製薬株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(6)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 9 1 号
医 薬 品 の 名 称 : シロリムス
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 脈管異常に伴う皮膚病変
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 : 非該当

- (7)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 9 2 号
医 薬 品 の 名 称 : ペグセタコプラン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : C3 腎症、一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎
氏 名 又 は 名 称 : Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (8)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 9 3 号
医 薬 品 の 名 称 : mezagitamab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 慢性特発性血小板減少性紫斑病
氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該 当
- (9)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 9 4 号
医 薬 品 の 名 称 : Trofinetide
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : レット症候群
氏 名 又 は 名 称 : Acadia Pharmaceuticals Inc.
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (10)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 9 5 号
医 薬 品 の 名 称 : ネランドミラスト
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 特発性肺線維症
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
- (11)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 9 6 号
医 薬 品 の 名 称 : ネランドミラスト
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 進行性肺線維症
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
- (12)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 9 7 号
医 薬 品 の 名 称 : カナキヌマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : シュニッツラー症候群
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 : 該 当