

日薬連発第 441 号  
2025 年 6 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取消し及び指定について**

標記について、令和 7 年 6 月 27 日付け医薬薬審発 0627 第 2 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 0627 第 3 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 0627 第 3 号  
令和 7 年 6 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 0627 第 2 号  
令和 7 年 6 月 2 7 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. の医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 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 : ( 3 1 薬 ) 第 4 2 9 号  
医 薬 品 の 名 称 : sutimlimab  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 寒冷凝集素症患者における溶血抑制  
氏 名 又 は 名 称 : サノフィ株式会社

#### 2. 指定

(1) 指 定 番 号 : ( 3 1 薬 ) 第 4 2 9 号  
医 薬 品 の 名 称 : sutimlimab  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 寒冷凝集素症患者における溶血抑制  
氏 名 又 は 名 称 : レコルダティ・レア・ディジーズ・ジャパン株式会社

(2) 指 定 番 号 : ( R 7 薬 ) 第 6 9 8 号  
医 薬 品 の 名 称 : setrusumab

予定される効能又は効果：骨形成不全症  
氏名又は名称：Ultragenyx Japan 株式会社  
優先審査・優先相談：非該当

(3)指 定 番 号：(R7薬)第699号  
医薬品の名称：タミバロテン  
予定される効能又は効果：常染色体顕性（優性）多発性嚢胞腎  
氏名又は名称：リジェネフロ株式会社  
優先審査・優先相談：非該当

(4)指 定 番 号：(R7薬)第700号  
医薬品の名称：ラブリズムブ（遺伝子組換え）  
予定される効能又は効果：造血幹細胞移植後血栓性微小血管症  
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

(5)指 定 番 号：(R7薬)第701号  
医薬品の名称：リツキシマブ（遺伝子組換え）  
予定される効能又は効果：頻回再発型あるいはステロイド依存性のネフローゼ  
症候群  
氏名又は名称：全薬工業株式会社  
優先審査・優先相談：非該当  
備 考：今回の申請における対象疾患は、成人期発症の頻  
回再発型あるいはステロイド依存性のネフローゼ  
症候群に限定される。

(6)指 定 番 号：(R7薬)第702号  
医薬品の名称：リネリキシバット  
予定される効能又は効果：原発性胆汁性胆管炎におけるそう痒症  
氏名又は名称：グラクソ・スミスクライン株式会社  
優先審査・優先相談：非該当

(7)指 定 番 号：(R7薬)第703号  
医薬品の名称：Riliprubart  
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：サノフィ株式会社  
優先審査・優先相談：非該当

(8)指 定 番 号：(R7薬)第704号  
医薬品の名称：golcadomide hydrochloride

予定される効能又は効果：濾胞性リンパ腫

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

(9)指 定 番 号：(R7薬)第705号

医薬品の名称：イボシデニブ

予定される効能又は効果：がん化学療法後に増悪した *IDH1* 遺伝子変異陽性の  
治癒切除不能な胆道癌

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：非該当

(10)指 定 番 号：(R7薬)第706号

医薬品の名称：リソバリシブメシル酸塩水和物

予定される効能又は効果：がん化学療法後に増悪した *PIK3CA* 遺伝子変異を有  
する進行・再発の卵巣明細胞癌

氏名又は名称：海和製薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(11)指 定 番 号：(R7薬)第707号

医薬品の名称：anakinra

予定される効能又は効果：全身型若年性特発性関節炎、成人発症スチル病

氏名又は名称：Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社

優先審査・優先相談：非該当