

日薬連発第 564 号
2025 年 8 月 29 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 8 月 29 日付け医薬薬審発 0829 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 0829 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 0829 第 2 号
令和 7 年 8 月 29 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 0829 第 1 号
令和 7 年 8 月 29 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 : (1 6 薬) 第 1 7 4 号
医 薬 品 の 名 称 : ホスアンプレナビルカルシウム水和物
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : HIV 感染症
氏 名 又 は 名 称 : ヴィーブヘルスケア株式会社
- (2) 指 定 番 号 : (R 4 薬) 第 5 3 6 号
医 薬 品 の 名 称 : 乾燥ポリエチレングリコール処理人免疫グロブリン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 自己免疫性脳炎 (ステロイドパルス療法で効果不十分であった場合)
氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社

2. 指定

- (1) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 0 8 号
医 薬 品 の 名 称 : GTX-102
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : アンジェルマン症候群
氏 名 又 は 名 称 : Ultragenyx Japan 株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (2) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 0 9 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 : 全身型重症筋無力症
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
- (3) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 0 号
医 薬 品 の 名 称 : pH4 処理酸性人免疫グロブリン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 自己免疫性脳炎
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
- (4) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 1 号
医 薬 品 の 名 称 : ポリエチレングリコール処理人免疫グロブリン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 自己免疫性脳炎
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
- (5) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 2 号
医 薬 品 の 名 称 : アンセラミマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 全身性 AL アミロイドーシス
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
- (6) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 3 号
医 薬 品 の 名 称 : ウステキヌマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 中等症から重症の活動期クローン病の導入療法及
び維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限る)
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当
備 考 : 中等症から重症の活動期クローン病の導入療法及
び維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限る)
のうち、小児に限る。

- (7)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 4 号
医 薬 品 の 名 称 : ウステキヌマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及び
維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限る)
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当
備 考 : 中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及
び維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限る)
のうち、小児に限る。
- (8)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 5 号
医 薬 品 の 名 称 : グセルクマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 中等症から重症の活動期クローン病の治療 (既存
治療で効果不十分な場合に限る)
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当
備 考 : 中等症から重症の活動期クローン病の治療 (既存
治療で効果不十分な場合に限る) のうち、小児に限
る。
- (9)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 6 号
医 薬 品 の 名 称 : グセルクマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及び
維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限る)
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当
備 考 : 中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及
び維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限る)
のうち、小児に限る。
- (10)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 7 号
医 薬 品 の 名 称 : ニポカリマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 温式自己免疫性溶血性貧血
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当
- (11)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 8 号
医 薬 品 の 名 称 : フェニル酪酸ナトリウム
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 進行性家族性肝内胆汁うっ滞症

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

(12)指 定 番 号：(R7薬)第719号
医薬品の名称：Moslicigat
予定される効能又は効果：間質性肺疾患（気腫合併肺線維症を含む）に伴う肺
高血圧症
氏名又は名称：Pulmovant, Inc.
優先審査・優先相談：非該当

(13)指 定 番 号：(R7薬)第720号
医薬品の名称：dazodalibep
予定される効能又は効果：シェーグレン症候群
氏名又は名称：アムジェン株式会社
優先審査・優先相談：該当

(14)指 定 番 号：(R7薬)第721号
医薬品の名称：リサンキズマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：既存治療で効果不十分な膿疱性乾癬
氏名又は名称：アッヴィ合同会社
優先審査・優先相談：非該当
備 考：既存治療で効果不十分な膿疱性乾癬のうち、小児
に限る。

(15)指 定 番 号：(R7薬)第722号
医薬品の名称：TAR-200
予定される効能又は効果：BCG 不応性の上皮内癌を有する高リスク筋層非浸潤
性膀胱癌
氏名又は名称：ヤンセンファーマ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(16)指 定 番 号：(R7薬)第723号
医薬品の名称：タゼメトスタット臭化水素酸塩
予定される効能又は効果：がん化学療法後に増悪した INI1 陰性の切除不能な
類上皮肉腫
氏名又は名称：エーザイ株式会社
優先審査・優先相談：非該当