

日薬連発第 627 号
2025 年 9 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 9 月 29 日付け医薬薬審発 0929 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 0929 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。

医薬審発 0929 第 2 号
令和 7 年 9 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 0929 第 1 号
令和 7 年 9 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 : (25 薬) 第 307 号
医 薬 品 の 名 称 : アンブリセンタン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 慢性血栓塞栓性肺高血圧症
氏 名 又 は 名 称 : グラクソ・スミスクライン株式会社

2. 指定

(1) 指 定 番 号 : (R7 薬) 第 724 号
医 薬 品 の 名 称 : Atacicept
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgA 腎症
氏 名 又 は 名 称 : Vera Therapeutics, Inc.
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(2)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 2 5 号

医 薬 品 の 名 称 : レパゲルマニウム

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 巣状分節性糸球体硬化症

氏 名 又 は 名 称 : 扶桑薬品工業株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(3)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 2 6 号

医 薬 品 の 名 称 : JR-446

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : ムコ多糖症 IIIB 型

氏 名 又 は 名 称 : J C R 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 7 2 7 号

医 薬 品 の 名 称 : TRG035

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 重症型先天性部分無歯症

氏 名 又 は 名 称 : トレジェムバイオフーマ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(5)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 2 8 号

医 薬 品 の 名 称 : zeleciment rostudirsen

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : エクソン 51 スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー

氏 名 又 は 名 称 : Dyne Therapeutics, Inc.

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(6)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 2 9 号

医 薬 品 の 名 称 : TEV-56286

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 多系統萎縮症

氏 名 又 は 名 称 : テバ・リサーチ・インスティテュート合同会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(7)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 3 0 号

医 薬 品 の 名 称 : Oveporexton

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : ナルコレプシータイプ 1

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

(8)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 3 1 号

医 薬 品 の 名 称 : デュークラバシチニブ

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：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732号

医薬品の名称：Buloxibutid

予定される効能又は効果：特発性肺線維症

氏名又は名称：日本新薬株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(10)指 定 番 号：(R7薬)第733号

医薬品の名称：brincidofovir

予定される効能又は効果：臓器移植（造血幹細胞移植も含む）におけるアデ
ノウイルス感染症の治療

氏名又は名称：シンバイオ製薬株式会社

優先審査・優先相談：非該当