

日薬連発第 757 号
2025 年 11 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 11 月 27 日付け医薬薬審発 1127 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。

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 1127 第 2 号
令和 7 年 11 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 1127 第 1 号
令和 7 年 11 月 27 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 : (R 2 薬) 第 4 5 4 号
医 薬 品 の 名 称 : ミダゾラム
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : てんかん重積状態
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 7 1 号
医 薬 品 の 名 称 : シロリムス
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 限局性皮質異形成Ⅱ型に伴うてんかん発作
氏 名 又 は 名 称 : ノーベルファーマ株式会社

(3) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 5 3 号
医 薬 品 の 名 称 : Pitolisant
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : ナルコレプシー

氏 名 又 は 名 称：アキュリスファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

2. 指定

(1)指 定 番 号：(R 2 薬) 第 4 5 4 号
医 薬 品 の 名 称：ミダゾラム
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：てんかん重積状態
氏 名 又 は 名 称：クリニジェン株式会社

(2)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 5 3 号
医 薬 品 の 名 称：Pitolisant
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ナルコレプシー
氏 名 又 は 名 称：ヴィアトリス製薬合同会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(3)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 3 4 号
医 薬 品 の 名 称：メザギタマブ（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：武田薬品工業株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(4)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 3 5 号
医 薬 品 の 名 称：Povetacicept
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：IgA 腎症
氏 名 又 は 名 称：Vertex Pharmaceuticals Inc
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(5)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 3 6 号
医 薬 品 の 名 称：イプタコパン塩酸塩水和物
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：IgA 腎症
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：非該当

(6)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 3 7 号
医 薬 品 の 名 称：VX-670
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：Vertex Pharmaceuticals Incorporated
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(7)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 3 8 号

医 薬 品 の 名 称 : KUS121

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 網膜中心動脈閉塞症における視力低下の改善

氏 名 又 は 名 称 : 株式会社京都創薬研究所

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(8)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 3 9 号

医 薬 品 の 名 称 : Empasiprubart

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 多単性運動ニューロパチー

氏 名 又 は 名 称 : アルジェニクスジャパン株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該当

(9)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 0 号

医 薬 品 の 名 称 : Empasiprubart

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 : アルジェニクスジャパン株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(10)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 1 号

医 薬 品 の 名 称 : Tovorafenib

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : *BRAF* 遺伝子変異又は融合遺伝子を有する低悪性度
神経膠腫

氏 名 又 は 名 称 : I P S E N 株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該当

(11)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 2 号

医 薬 品 の 名 称 : ツシジノスタット

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 根治切除不能な悪性黒色腫

氏 名 又 は 名 称 : Meiji Seika ファルマ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(12)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 3 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 : シェーグレン症候群

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 : 該当

(13)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 4 号

医 薬 品 の 名 称 : Lutikizumab

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 化膿性汗腺炎

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

(14)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 4 5 号
医 薬 品 の 名 称：エマパルマブ（遺伝子組換え）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：全身型若年性特発性関節炎又は成人発症スチル病
に伴うマクロファージ活性化症候群
氏 名 又 は 名 称：Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社
優先審査・優先相談：該当