

日薬連発第 091 号  
2026 年 2 月 16 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 8 年 2 月 16 日付け医薬薬審発 0216 第 3 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 0216 第 4 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 0216 第 4 号  
令和 8 年 2 月 16 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。

写

医薬薬審発 0216 第 3 号  
令和 8 年 2 月 16 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 6 薬 ) 第 6 5 0 号  
医 薬 品 の 名 称 : 0devixibat  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : アラジール症候群  
氏 名 又 は 名 称 : ジェダイトメディスン株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

2. 指定

(1) 指 定 番 号 : ( R 6 薬 ) 第 6 5 0 号  
医 薬 品 の 名 称 : 0devixibat  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : アラジール症候群  
氏 名 又 は 名 称 : IPSEN 株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(2)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 5 7 号

医 薬 品 の 名 称：E2086

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ナルコレプシー

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

(3)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 5 8 号

医 薬 品 の 名 称：メキシレチン塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：球脊髄性筋萎縮症

氏 名 又 は 名 称：太陽ファルマ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(4)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 5 9 号

医 薬 品 の 名 称：BAY 3401016

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：アルポート症候群

氏 名 又 は 名 称：バイエル薬品株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(5)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 0 号

医 薬 品 の 名 称：パルツソチン塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：先端巨大症・下垂体性巨人症

氏 名 又 は 名 称：株式会社三和化学研究所

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(6)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 1 号

医 薬 品 の 名 称：アキサチリマブ (遺伝子組換え)

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：造血幹細胞移植後の慢性移植片対宿主病

氏 名 又 は 名 称：インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同  
会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(7)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 2 号

医 薬 品 の 名 称：テゼペルマブ (遺伝子組換え)

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：好酸球性食道炎

氏 名 又 は 名 称：アストラゼネカ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(8)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 3 号

医 薬 品 の 名 称：リルザブルチニブ

予定される効能又は効果：IgG4 関連疾患  
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

(9)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 4 号  
医 薬 品 の 名 称：アニフロルマブ（遺伝子組換え）  
予定される効能又は効果：全身性強皮症  
氏名又は名称：アストラゼネカ株式会社  
優先審査・優先相談：非該当

(10)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 5 号  
医 薬 品 の 名 称：グローフィタマブ（遺伝子組換え）  
予定される効能又は効果：大細胞型 B 細胞リンパ腫  
氏名又は名称：中外製薬株式会社  
優先審査・優先相談：非該当

(11)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 6 号  
医 薬 品 の 名 称：ザヌブルチニブ  
予定される効能又は効果：再発又は難治性の辺縁帯リンパ腫  
氏名又は名称：ビーワン・メディシNZズ合同会社  
優先審査・優先相談：非該当

(12)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 7 号  
医 薬 品 の 名 称：ツカチニブ エタノール付加物  
予定される効能又は効果：がん化学療法後に増悪した HER2 陽性の治癒切除不  
能な胆道癌  
氏名又は名称：ファイザー株式会社  
優先審査・優先相談：該当

(13)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 8 号  
医 薬 品 の 名 称：ドルダビプロン塩酸塩  
予定される効能又は効果：H3 K27M 変異を有するびまん性正中膠腫  
氏名又は名称：大原薬品工業株式会社  
優先審査・優先相談：該当

(14)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 6 9 号  
医 薬 品 の 名 称：ポナチニブ塩酸塩  
予定される効能又は効果：フィラデルフィア染色体陽性急性リンパ性白血病  
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