日薬連発第 816 号
2026 年 11 月 16 日

加盟団体 殿

日本製薬団体連合会

希少疾病用医薬品における指定取消し、指定等について

標記について，令和 8 年 11 月 16 日付け医薬薬審発 1116 第 5 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.（医薬薬審発 1116 第 5 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あげます.

医薬薬審発 1116 第６号
令 和 ８ 年 11 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　　）

希少疾病用医薬品における指定取消し、指定等について

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 1116 第５号
令和８年 11 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　　）

希少疾病用医薬品における指定取消し、指定等について

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。

また、下記３．の医薬品について、今般、『「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について』（令和６年１月 16 日医薬薬審発 0116 第１号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長、医薬機審発 0116 第１号医療機器審査管理課長連名通知）に基づき、優先審査及び優先相談の該当性に変更があったので、通知する。

記

１．指定の取消し

（１）指　定　番　号：（３１薬）第４５０号
　　医　薬　品　の　名　称：ブロダルマブ（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：協和キリン株式会社

（２）指　定　番　号：（Ｒ５薬）第５６３号
　　医　薬　品　の　名　称：fidrisertib
　　予定される効能又は効果：進行性骨化性線維異形成症
　　氏　名　又　は　名　称：IPSEN 株式会社

２．指定

(1)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８３４号
　医　薬　品　の　名　称：rusfertide
　予定される効能又は効果：真性多血症
　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

(2)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８３５号
　医　薬　品　の　名　称：Surovatamig
　予定される効能又は効果：濾胞性リンパ腫
　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

(3)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８３６号
　医　薬　品　の　名　称：Surovatamig
　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：アストラゼネカ株式会社
　優先審査・優先相談：非該当

(4)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８３７号
　医　薬　品　の　名　称：velzatinib
　予定される効能又は効果：消化管間質腫瘍
　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

(5)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８３８号
　医　薬　品　の　名　称：vimseltinib
　予定される効能又は効果：腱滑膜巨細胞腫
　氏　名　又　は　名　称：小野薬品工業株式会社
　優先審査・優先相談：該当

(6)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８３９号
　医　薬　品　の　名　称：セルペルカチニブ
　予定される効能又は効果：*RET*融合遺伝子陽性の非小細胞肺癌における根治的局所療法後の補助療法
　氏　名　又　は　名　称：日本イーライリリー株式会社

優先審査・優先相談：該当

(7)指定番号：（Ｒ８薬）第８４０号
医薬品の名称：トラスツズマブ デルクステカン（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：HER2 発現の進行・再発の子宮癌肉腫
氏名又は名称：第一三共株式会社
優先審査・優先相談：該当

(8)指定番号：（Ｒ８薬）第８４１号
医薬品の名称：ニボルマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：再発又は難治性の成人 T 細胞白血病リンパ腫
氏名又は名称：小野薬品工業株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(9)指定番号：（Ｒ８薬）第８４２号
医薬品の名称：ルスパテルセプト（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：骨髄線維症に伴う貧血
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

(10)指定番号：（Ｒ８薬）第８４３号
医薬品の名称：アドミルパラント
予定される効能又は効果：進行性肺線維症
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

(11)指定番号：（Ｒ８薬）第８４４号
医薬品の名称：モメロチニブ塩酸塩水和物
予定される効能又は効果：VEXAS 症候群
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：該当

(12)指定番号：（Ｒ８薬）第８４５号
医薬品の名称：tulisokibart
予定される効能又は効果：化膿性汗腺炎
氏名又は名称：MSD 株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(13)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８４６号
医　薬　品　の　名　称：deucrictibant
予定される効能又は効果：遺伝性血管性浮腫の急性発作の発症抑制
氏　名　又　は　名　称：Pharvaris Netherlands B.V.
優先審査・優先相談：非該当

(14)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８４７号
医　薬　品　の　名　称：deucrictibant
予定される効能又は効果：後天性血管性浮腫の急性発作、後天性血管性浮腫の急性発作の発症抑制
氏　名　又　は　名　称：Pharvaris Netherlands B.V.
優先審査・優先相談：該当

(15)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８４８号
医　薬　品　の　名　称：デネシミグ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：先天性血液凝固第Ⅷ因子欠乏患者における出血傾向の抑制
氏　名　又　は　名　称：ノボ ノルディスク ファーマ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(16)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８４９号
医　薬　品　の　名　称：Atumelnant
予定される効能又は効果：先天性副腎過形成症
氏　名　又　は　名　称：Crinetics Pharmaceuticals, Inc.
優先審査・優先相談：非該当

(17)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８５０号
医　薬　品　の　名　称：repinatrabit
予定される効能又は効果：フェニルケトン尿症
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

(18)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８５１号
医　薬　品　の　名　称：Varegacestat
予定される効能又は効果：デスモイド腫瘍
氏　名　又　は　名　称：Immunome, Inc.

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(19)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８５２号
医　薬　品　の　名　称：クロバリマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：非典型溶血性尿毒症症候群
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

(20)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８５３号
医　薬　品　の　名　称：タミバロテン
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：リジェネフロ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(21)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８５４号
医　薬　品　の　名　称：Rosolutamide
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：AnnJi Pharmaceutical Co., Ltd
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(22)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第８５５号
医　薬　品　の　名　称：coramitug
予定される効能又は効果：トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型）
氏　名　又　は　名　称：ノボ ノルディスク ファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

３．優先審査及び優先相談の該当性に変更のあった品目
（１）指　　定　　番　　号：（Ｒ７薬）第６５９号
医　薬　品　の　名　称：atrasentan
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
指　　定　　日：令和７年２月 28 日
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当