

薬生薬審発 0523 第 1 号
令和 5 年 5 月 23 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・生活衛生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医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき下記 1. の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. 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 : (R3 薬) 第 514 号
医 薬 品 の 名 称 : エクリズマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : ギラン・バレー症候群
氏 名 又 は 名 称 : アレクシオンファーマ合同会社

2. 指定

(1) 指 定 番 号 : (R5 薬) 第 565 号
医 薬 品 の 名 称 : Leniolisib
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 活性化 PI3K δ 症候群
氏 名 又 は 名 称 : Pharming Technologies B.V.

(2) 指 定 番 号 : (R5 薬) 第 566 号
医 薬 品 の 名 称 : レダセムチドトリフルオロ酢酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 栄養障害型表皮水疱症
氏 名 又 は 名 称 : 塩野義製薬株式会社

- (3)指 定 番 号：(R5 薬) 第 567 号
医 薬 品 の 名 称：odevixibat
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：ジェダイトメディスン株式会社
- (4)指 定 番 号：(R5 薬) 第 568 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：根治切除不能な進行・再発の上皮系皮膚悪性腫瘍
氏 名 又 は 名 称：小野薬品工業株式会社
- (5)指 定 番 号：(R5 薬) 第 569 号
医 薬 品 の 名 称：ベルモスジルメシル酸塩
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：Meiji Seika ファルマ株式会社
- (6)指 定 番 号：(R5 薬) 第 570 号
医 薬 品 の 名 称：レナカパビルナトリウム
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：HIV-1 感染症
氏 名 又 は 名 称：ギリアド・サイエンシズ株式会社
- (7)指 定 番 号：(R5 薬) 第 571 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
- (8)指 定 番 号：(R5 薬) 第 572 号
医 薬 品 の 名 称：フェンフルラミン塩酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない
Lennox-Gastaut 症候群患者におけるてんかん発作
に対する抗てんかん薬との併用療法
氏 名 又 は 名 称：ユーシービージャパン株式会社