

薬生薬審発 1001 第 1 号
令和 3 年 10 月 1 日

各都道府県衛生主管部（局）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 2 第 1 項の規定に基づき、下記 1. 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

(1) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 2 2 号

医 薬 品 の 名 称 : Nipocalimab

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 全身型重症筋無力症

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社

(2) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 2 3 号

医 薬 品 の 名 称 : ブトリシランナトリウム

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニュー
ーロパチー

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : Alnylam Japan 株式会社

(3) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 2 4 号

医 薬 品 の 名 称 : エミシズマブ（遺伝子組換え）

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 後天性血液凝固第 VIII 因子欠乏患者における出血
傾向の抑制

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 中外製薬株式会社

(4) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 2 5 号

医 薬 品 の 名 称 : イスラトラビル水和物

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : HIV-1 感染症

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : MSD 株式会社