

薬生薬審発0823第2号  
令和5年8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：(5薬B)第31号  
医 薬 品 の 名 称：ペントスタチン  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：次の疾患の自覚的及び他覚的症状の寛解  
成人T細胞白血病・リンパ腫及びヘアリーセル白血病  
氏 名 又 は 名 称：KMバイオロジクス株式会社
- (2) 指 定 番 号：(R3薬)第516号  
医 薬 品 の 名 称：バルドキシロンメチル  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：アルポート症候群における腎機能の改善  
氏 名 又 は 名 称：協和キリン株式会社

## 2. 指定

- (1) 指 定 番 号 : (R5 薬) 第 5 7 7 号  
医 薬 品 の 名 称 : ポリエチレングリコール処理人免疫グロブリン  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 腎移植、肝移植、心移植、肺移植、膵移植、小腸  
移 植 後 の 抗 体 関 連 型 拒 絶 反 応 の 治 療  
氏 名 又 は 名 称 : 一般社団法人日本血液製剤機構
- (2) 指 定 番 号 : (R5 薬) 第 5 7 8 号  
医 薬 品 の 名 称 : エフゾフィチモド (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 肺サルコイドーシス  
氏 名 又 は 名 称 : 杏林製薬株式会社
- (3) 指 定 番 号 : (R5 薬) 第 5 7 9 号  
医 薬 品 の 名 称 : ベンラリズムマブ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 好酸球増多症候群  
氏 名 又 は 名 称 : アストラゼネカ株式会社
- (4) 指 定 番 号 : (R5 薬) 第 5 8 0 号  
医 薬 品 の 名 称 : Tagraxofusp  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍  
氏 名 又 は 名 称 : 日本新薬株式会社