

医薬審発 0606 第 2 号
令和 6 年 6 月 6 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。



医薬薬審発 0606 第 1 号
令和 6 年 6 月 6 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 : (1 1 薬) 第 1 2 8 号
医 薬 品 の 名 称 : エファビレンツ
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 後天性免疫不全症候群並びに症候性及び無症候性 HIV-1 感染症
氏 名 又 は 名 称 : MSD 株式会社
- (2) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 1 8 号
医 薬 品 の 名 称 : TransCon PTH
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 副甲状腺機能低下症
氏 名 又 は 名 称 : Ascendis Pharma Bone Diseases A/S
- (3) 指 定 番 号 : (R 5 薬) 第 5 8 5 号
医 薬 品 の 名 称 : Obexelimab

予定される効能又は効果：IgG4 関連疾患
氏 名 又 は 名 称：Zenas BioPharma LLC

2. 指定

(1)指 定 番 号：(R 3 薬) 第5 1 8 号
医 薬 品 の 名 称：TransCon PTH
予定される効能又は効果：副甲状腺機能低下症
氏 名 又 は 名 称：帝人ファーマ株式会社

(2)指 定 番 号：(R 5 薬) 第5 8 5 号
医 薬 品 の 名 称：Obexelimab
予定される効能又は効果：IgG4 関連疾患
氏 名 又 は 名 称：ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社

(3)指 定 番 号：(R 6 薬) 第6 0 1 号
医 薬 品 の 名 称：MSA-01
予定される効能又は効果：多系統萎縮症
氏 名 又 は 名 称：ノーベルファーマ株式会社
優先審査・優先相談：該当

(4)指 定 番 号：(R 6 薬) 第6 0 2 号
医 薬 品 の 名 称：ブデソニド
予定される効能又は効果：IgA 腎症
氏 名 又 は 名 称：ヴィアトリス製薬株式会社
優先審査・優先相談：該当

(5)指 定 番 号：(R 6 薬) 第6 0 3 号
医 薬 品 の 名 称：cannabidiol
予定される効能又は効果：Dravet 症候群におけるてんかん発作
氏 名 又 は 名 称：ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会
社
優先審査・優先相談：該当

(6)指 定 番 号：(R 6 薬) 第6 0 4 号
医 薬 品 の 名 称：cannabidiol
予定される効能又は効果：Lennox-Gastaut 症候群におけるてんかん発作
氏 名 又 は 名 称：ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会
社
優先審査・優先相談：該当

(7)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 5 号

医 薬 品 の 名 称 : cannabidiol

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 結 節 性 硬 化 症 に お け る て ん か ん 発 作

氏 名 又 は 名 称 : ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会
社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(8)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 6 号

医 薬 品 の 名 称 : イボシデニブ

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : *IDH1* 遺 伝 子 変 異 陽 性 の 急 性 骨 髄 性 白 血 病

氏 名 又 は 名 称 : 日本セルヴィエ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(9)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 7 号

医 薬 品 の 名 称 : KD-416

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 血 液 凝 固 第 X 因 子 欠 乏 症 患 者 の 出 血 傾 向 の 抑 制

氏 名 又 は 名 称 : KMバイオロジクス株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当