

医薬審発 1225 第 7 号
令和 6 年 12 月 25 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 1225 第 6 号
令和 6 年 12 月 25 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 6 薬) 第 6 4 7 号
医 薬 品 の 名 称 : イネビリズマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgG4 関連疾患
氏 名 又 は 名 称 : 田辺三菱製薬株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (2) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 4 8 号
医 薬 品 の 名 称 : R07434656
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgA 腎症
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
- (3) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 4 9 号
医 薬 品 の 名 称 : velusetrag
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 慢性偽性腸閉塞症
氏 名 又 は 名 称 : Alfasigma S.p.A

優先審査・優先相談：非該当

(4)指 定 番 号：(R6薬)第650号

医薬品の名称：Odevixibat

予定される効能又は効果：アラジール症候群

氏名又は名称：ジェダイトメディスン株式会社

優先審査・優先相談：該当

(5)指 定 番 号：(R6薬)第651号

医薬品の名称：JR-441

予定される効能又は効果：ムコ多糖症 IIIA 型

氏名又は名称：JCRファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(6)指 定 番 号：(R6薬)第652号

医薬品の名称：フェニル酪酸グリセロール

予定される効能又は効果：尿素サイクル異常症

氏名又は名称：株式会社オーファンパシフィック

優先審査・優先相談：非該当

(7)指 定 番 号：(R6薬)第653号

医薬品の名称：Pitolisant

予定される効能又は効果：ナルコレプシー

氏名又は名称：アキュリスファーマ株式会社

優先審査・優先相談：該当

(8)指 定 番 号：(R6薬)第654号

医薬品の名称：セベトラルスタット

予定される効能又は効果：遺伝性血管性浮腫の急性発作

氏名又は名称：KalVista Pharmaceuticals Japan 株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(9)指 定 番 号：(R6薬)第655号

医薬品の名称：ボラシデニブ クエン酸水和物

予定される効能又は効果：IDH1 又は IDH2 遺伝子変異陽性の神経膠腫

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（ただし、本剤単独投与に係る審査・相談に限る）

(10)指 定 番 号：(R6薬)第656号

医薬品の名称：レポトレクチニブ
予定される効能又は効果：NTRK融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌
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：(R6薬)第657号

医薬品の名称：ゾンゲルチニブ
予定される効能又は効果：HER2遺伝子変異陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌
氏名又は名称：日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社
優先審査・優先相談：該当（ただし、HER2遺伝子変異を有する切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌のうち、「がん化学療法後に増悪したHER2遺伝子変異を有する切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌」に限る）

(12)指 定 番 号：(R6薬)第658号

医薬品の名称：イフィナタマブ デルクステカン（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：小細胞肺癌
氏名又は名称：第一三共株式会社
優先審査・優先相談：非該当