

希少疾病用医薬品指定品目一覧表(令和2年9月1日以降)

指定年度	指定日	指定番号	指定を受けた医薬品の名称	指定を受けた予定される効能又は効果	指定を受けた者の氏名又は名称	指定を受けた者の住所	備考
R2	R2.9.18	(R2薬)第484号	サルグラモスチム(遺伝子組換え)	自己免疫性肺胞蛋白症	ノーベルファーマ株式会社	東京都中央区新川一丁目17番24号	
R2	R2.9.18	(R2薬)第485号	イビリムマブ(遺伝子組換え)	悪性胸腺中皮腫	プリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社	東京都新宿区西新宿6-5-1	
R2	R2.9.18	(R2薬)第486号	ハビナフスブ アルファ(遺伝子組換え)	ムコ多糖症II型	JCRファーマ株式会社	兵庫県芦屋市春日町3番19号	
R2	R2.9.18	(R2薬)第487号	オリブダーゼ アルファ(遺伝子組換え)	酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症	サノフィ株式会社	東京都新宿区西新宿3丁目20番2号 東京オペラシティタワー	
R2	R2.9.18	(R2薬)第488号	FL173遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病	FL173遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門1丁目23番1号	
R2	R2.11.25	(R2薬)第489号	BIB067	筋萎縮性側索硬化症	バイオジェン・ジャパン株式会社	東京都中央区日本橋一丁目4番1号 日本橋一丁目三井ビルディング14階	
R2	R2.11.25	(R2薬)第490号	Rozanolizumab	全身型重症筋無力症	ユーシービー・ジャパン株式会社	東京都新宿区西新宿8-17-1	
R2	R2.11.25	(R2薬)第491号	シロリムス	難治性脈管腫瘍・脈管奇形	ノーベルファーマ株式会社	東京都中央区新川一丁目17番24号	
R2	R2.11.25	(R2薬)第492号	アバルグルコシダーゼ アルファ(遺伝子組換え)	糖尿病II型	サノフィ株式会社	東京都新宿区西新宿三丁目20番2号	
R2	R2.11.25	(R2薬)第493号	ダラツムマブ(遺伝子組換え)・ホルヒアルロニダーゼアルファ(遺伝子組換え)配合注射剤	全身性ALアミロイドーシス	ヤンセンファーマ株式会社	東京都千代田区西神田3丁目5番2号	
R2	R2.11.25	(R2薬)第494号	ホルテゾミブ	全身性ALアミロイドーシス	ヤンセンファーマ株式会社	東京都千代田区西神田3丁目5番2号	
R2	R2.11.25	(R2薬)第495号	セルベルカチニブ	RET融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌 RET融合遺伝子陽性の根治切除不能な甲状腺癌 RET遺伝子変異陽性の根治切除不能な甲状腺癌	日本イーライリリー株式会社	兵庫県神戸市中央区磯上通5丁目1番28号	
R2	R2.12.25	(R2薬)第496号	ルキンゾチニブリン酸塩	造血幹細胞移植後の移植片対宿主病	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門1丁目23番1号	
R2	R2.12.25	(R2薬)第497号	イブルチニブ	造血幹細胞移植後の慢性移植片対宿主病	ヤンセンファーマ株式会社	東京都千代田区西神田三丁目5番2号	
R2	R2.12.25	(R2薬)第498号	cipaglicosidase alfa	糖尿病II型に対するミグルスタットとの併用療法	アマカス・セラピューティクス株式会社	新丸の内センタービルディング 19階	
R2	R2.12.25	(R2薬)第499号	ミグルスタット	糖尿病II型に対するcipaglicosidase alfaとの併用療法	アマカス・セラピューティクス株式会社	東京都千代田区丸の内1-6-2 新丸の内センタービルディング 19階	
R2	R2.12.25	(R2薬)第500号	3-ヨードベンジルグルタミン (¹³¹ I)	3-ヨードベンジルグルタミン (MIBG) シンチグラフ陽性の難治性褐色細胞腫・パラガンリョーマ	富士フィルム富山化学株式会社	東京都中央区京橋二丁目14番1号	
R2	R3.2.19	(R3薬)第501号	アセノイラミン酸	GNEミオパチーによる筋力低下の進行抑制	ノーベルファーマ株式会社	東京都中央区新川一丁目17番24号	
R2	R3.2.19	(R3薬)第502号	concizumab	インヒビターを保有する先天性血液凝固第Ⅳ因子又は第Ⅴ因子欠乏患者の出血傾向の抑制	ノボ ノルディスク ファーマ株式会社	東京都千代田区丸の内2-1-1	
R2	R3.2.19	(R3薬)第503号	E7090	FGFR2 融合遺伝子を有する切除不能な胆道癌	エーザイ株式会社	東京都文京区小石川四丁目6番10号	
R2	R3.2.19	(R3薬)第504号	KMW-1	深達性II度又はIII度熱傷における壊死組織の除去	科研製薬株式会社	東京都文京区本駒込二丁目28番8号	
R2	R3.2.19	(R3薬)第505号	ベミガチニブ	FGFR2 融合遺伝子陽性の治療切除不能な胆道癌	インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社	東京都千代田区有楽町一丁目2番2号 東京ミッドタウン日比谷	
R2	R3.3.11	(R3薬)第506号	Susococog alfa	後天性血友病A患者における出血抑制	武田薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町四丁目1番1号	
R2	R3.3.11	(R3薬)第507号	抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリン	中等症以上の再生不良性貧血	ファイザー株式会社	東京都渋谷区代々木三丁目22番7号	
R2	R3.3.11	(R3薬)第508号	バリシチニブ	I型インターフェロン関連自己炎症性疾患(中核-西村症候群、乳児発症性STING関連血管炎、エカルティックアトピーアレルギー症候群)	日本イーライリリー株式会社	兵庫県神戸市中央区磯上通5丁目1番28号	
R2	R3.3.11	(R3薬)第509号	トラスツズマブ(遺伝子組換え)	HER2過剰発現が確認された治療切除不能な進行・再発の嚔液腺癌	中外製薬株式会社	東京都中央区日本橋室町2-1-1	
R2	R3.3.11	(R3薬)第510号	ニボルマブ(遺伝子組換え)	原発不明癌	小野薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町2丁目1番5号	
R2	R3.3.11	(R3薬)第511号	レンバチニブメシル酸塩	子宮体癌	エーザイ株式会社	東京都文京区小石川四丁目6番10号	
R2	R3.3.11	(R3薬)第512号	ペムブロシズマブ(遺伝子組換え)	子宮体癌	MSD株式会社	東京都千代田区九段北一丁目13番12号北の丸スクエア	
R2	R3.3.11	(R3薬)第513号	sotorasib	KRAS G12C変異陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	アムジェン株式会社	東京都港区赤坂九丁目7番1号 ミッドタウン・タワー	
R3	R3.5.24	(R3薬)第514号	エクシズマブ(遺伝子組換え)	ギラン・バレー症候群	アレクシオンファーマ合同会社	東京都渋谷区恵比寿一丁目18番14号恵比寿ファーストスクエア	
R3	R3.5.24	(R3薬)第515号	amifampridine	ランバート・イートン筋無力症候群による筋力低下の改善	ダイドーファーマ株式会社	大阪府北区中之島二丁目2番7号中之島セントラルタワー18階	Catalyst Pharmaceuticals, Inc.からダイドーファーマ株式会社へ付け替え(令和3年8月24日)
R3	R3.5.24	(R3薬)第516号	バルドキシロンメチル	アルポート症候群における腎機能の改善	協和キリン株式会社	東京都千代田区大手町一丁目9番2号	
R3	R3.6.21	(R3薬)第517号	タルク	外科手術による治療が困難な続発性難治性気胸	ノーベルファーマ株式会社	東京都中央区新川一丁目17番24号	
R3	R3.6.21	(R3薬)第518号	TransCon PTH	副甲状腺機能低下症	帝人ファーマ株式会社	東京都千代田区霞が関三丁目2番1号	Ascendis Pharma Bone Diseases A/Sから帝人ファーマ株式会社へ付け替え(令和6年6月6日)
R3	R3.8.24	(R3薬)第519号	フェンフルラミン塩酸塩	ドラベ症候群に伴うかんかん発作の治療	Zogenix Japan株式会社	東京都千代田区内幸町1-1-1	
R3	R3.8.24	(R3薬)第520号	アシモニブ塩酸塩	前治療薬に抵抗性又は不耐容の慢性骨髄性白血病	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門1丁目23番1号	
R3	R3.8.24	(R3薬)第521号	ボソリチド(遺伝子組換え)	骨髄線鎖を伴わない軟骨無形成症	BioMarin Pharmaceutical Japan株式会社	東京都渋谷区代々木2丁目11番17号	
R3	R3.10.1	(R3薬)第522号	Nipocalimab	全身型重症筋無力症	ヤンセンファーマ株式会社	東京都千代田区西神田三丁目5番2号	
R3	R3.10.1	(R3薬)第523号	フトリシランナトリウム	トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー	Alnylam Japan株式会社	東京都千代田区丸の内一丁目11番1号パシフィックセンチュリープレイス丸の内11階	

R3	R3.10.1	(R3薬)第524号	エミズマブ(遺伝子組換え)	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	中外製薬株式会社	東京都中央区日本橋室町2-1-1
R3	R3.10.1	(R3薬)第525号	イストラビル水和物	HIV-1感染症	MSD株式会社	東京都千代田区九段北一丁目13番12号北の丸スクエア
R3	R3.11.22	(R3薬)第526号	パレメスタットシル酸塩	再発又は難治性の成人T細胞白血病リンパ腫	第一三共株式会社	東京都品川区広町1-2-58 第一三共株式会社 品川研究開発センター
R3	R3.11.22	(R3薬)第527号	オラパリブ	BRCA遺伝子変異陽性の乳癌における術後薬物療法	アストラゼネカ株式会社	大阪市北区大深町3-1 グランフロント大阪 タワーB 21F
R3	R3.11.22	(R3薬)第528号	Pegvaliase	フェニルケトン原症	BioMarin Pharmaceutical Japan株式会社	東京都渋谷区代々木2-11-17ラウンドクロス新宿4階
R3	R3.12.17	(R3薬)第529号	トレプロスチニル	間質性肺疾患(気腫合併肺線維症を含む)に伴う肺高血圧症	持田製薬株式会社	東京都新宿区四谷一丁目7 番地
R3	R4.2.25	(R4薬)第530号	Soticlestat	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないDravet症候群のてんかん発作に対する併用療法	武田薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町四丁目1番1号
R3	R4.2.25	(R4薬)第531号	Soticlestat	他の抗てんかん薬で十分な効果が認められないLennox-Gastaut症候群のてんかん発作に対する併用療法	武田薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町四丁目1番1号
R3	R4.2.25	(R4薬)第532号	デュルバルマブ(遺伝子組換え)	切除不能な胆道癌	アストラゼネカ株式会社	大阪府大阪市北区大深町3番1号
R3	R4.2.25	(R4薬)第533号	Marstacimab	インヒビターを保有する先天性血液凝固第VIII因子又は第IX因子欠乏患者の出血傾向の抑制	ファイザー株式会社	東京都渋谷区代々木三丁目22番7号
R3	R4.3.29	(R4薬)第534号	ダブラフェニブメシル酸塩	BRAF V600 遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍(悪性黒色腫、非小細胞肺癌及び結腸・直腸癌を除く)	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門一丁目23番1号
R3	R4.3.29	(R4薬)第535号	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	BRAF V600 遺伝子変異を有する進行・再発の固形腫瘍(悪性黒色腫、非小細胞肺癌及び結腸・直腸癌を除く)	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門一丁目23番1号
R3	R4.3.29	(R4薬)第536号	乾燥ホリエチレングリコール処理免疫グロブリン	自己免疫性脳炎(ステロイドパルス療法で効果不十分であった場合)	日本製薬株式会社	東京都中央区明石町8番1号
R3	R4.3.29	(R4薬)第537号	Maribavir	臓器移植(造血幹細胞移植も含む)におけるサイトメガロウイルス感染症の治療	武田薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町四丁目1番1号
R3	R4.3.29	(R4薬)第538号	セフィコロトシル酸塩硫酸塩水和物	<適応菌種> セフィコロトシル酸塩に感性的大腸菌、シトロバクター属、肺炎桿菌、クレブシエラ属、エンテロバクター属、セラチア・マルセセス属、プロテウス属、モルガナ・モルガニー、プロピデンシア・レプトゲリ、緑膿菌、バクテロイデス属、ステプトトロホモナス・マルトフィリア、アシネトバクター属、アクロモバクター属 ただし、カルバペネム系抗菌薬に耐性が考えられる菌株に限る <適応症> 各種感染症	塩野義製薬株式会社	大阪府大阪市中央区道修町3丁目1番8号
R3	R4.3.29	(R4薬)第539号	depemokimab	好酸球増多症候群	グラクソ・スミスクライン株式会社	東京都港区赤坂一丁目8番1号
R4	R4.5.26	(R4薬)第540号	ダウナルビシン塩酸塩・シタラピン配合リボソーム注射剤	急性骨髄性白血病	日本新薬株式会社	京都市南区吉祥院西ノ庄門町14番地
R4	R4.5.26	(R4薬)第541号	CNT-01	中性脂肪蓄積性心血管症	トーアエイヨー株式会社	東京都中央区八丁堀三丁目10番6号
R4	R4.5.26	(R4薬)第542号	メコバラミン	筋萎縮性側索硬化症(ALS)の病態及び機能障害の進行抑制	イーザイ株式会社	東京都文京区小石川四丁目6番10号
R4	R4.5.26	(R4薬)第543号	バルガンシクロビル塩酸塩	症候性先天性サイトメガロウイルス感染症の治療	田辺三菱製薬株式会社	大阪府大阪市中央区道修町三丁目2番10号
R4	R4.6.20	(R4薬)第544号	ベミガチニブ	FGFR1融合遺伝子陽性の骨髄性又はリンパ性腫瘍	インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社	東京都千代田区有楽町一丁目1番2号 東京ミッドタウン日比谷
R4	R4.6.20	(R4薬)第545号	アザシチジン	急性骨髄性白血病における寛解導入療法後の維持療法	プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都新宿区西新宿六丁目5 番1 号
R4	R4.6.20	(R4薬)第546号	TAK-611	異染性白質ジストロフィー	武田薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町四丁目1番1
R4	R4.9.21	(R4薬)第547号	luspatercept	骨髄異形成症候群に伴う貧血	プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都千代田区大手町一丁目2番1号
R4	R4.9.21	(R4薬)第548号	トラスツズマブ デルクステカン(遺伝子組換え)	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	第一三共株式会社	東京都中央区日本橋本町三丁目5 番1 号
R4	R4.12.8	(R4薬)第549号	ベムプロリズマブ(遺伝子組換え)	原発性縦隔大細胞型B細胞リンパ腫	MSD株式会社	東京都千代田区九段北一丁目13 番12 号 北の丸スクエア
R4	R4.12.16	(R4薬)第550号	Maralixibat chloride	アランール症候群	武田薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町4丁目1番1号
R4	R4.12.16	(R4薬)第551号	Maralixibat chloride	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症	武田薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町4丁目1番1号
R4	R4.12.16	(R4薬)第552号	ケノデオキシコール酸	脳腫瘍色腫症	藤本製薬株式会社	大阪府松原市西大塚1丁目3番40号
R4	R4.12.16	(R4薬)第553号	Rilabrutinib	慢性特発性血小板減少性紫斑病	サファイ株式会社	東京都新宿区西新宿三丁目20番2号
R4	R4.12.16	(R4薬)第554号	エフカルチキモド アルファ(遺伝子組換え)	慢性特発性血小板減少性紫斑病	アルジェニクスジャパン株式会社	東京都港区赤坂二丁目5番9号
R4	R4.12.16	(R4薬)第555号	apsadamtase alfa/cinaxadamtase alfa	血栓性血小板減少性紫斑病	武田薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町四丁目1番1
R4	R5.2.22	(R5薬)第556号	ダニコバン	発天性夜間ヘモグロビン尿症	アレクシオンファーマ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1 番1 号 田町ステーションタワーN
R4	R5.2.22	(R5薬)第557号	ニボルマブ(遺伝子組換え)	悪性中皮腫(悪性胸膜中皮腫を除く)	小野薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町2 丁目1 番5 号

R4	R5.2.22	(R5薬)第558号	マシテンタン	外科的治療不適応又は外科的治療後に残存・再発した慢性血栓塞栓性肺高血圧症	ヤンセンファーマ株式会社	東京都千代田区西神田3-5-2	
R4	R5.2.22	(R5薬)第559号	エルラナタマブ(遺伝子組換え)	多発性骨髄腫	ファイザー株式会社	東京都渋谷区代々木三丁目22番7号	
R4	R5.3.27	(R5薬)第560号	リツキシマブ(遺伝子組換え)	下記の臓器移植における抗体関連型拒絶反応の治療 腎移植、肝移植、心移植、肺移植、膵移植、小腸移植	全業工業株式会社	東京都文京区大塚5-6-15	
R4	R5.3.27	(R5薬)第561号	リツキシマブ(遺伝子組換え)	下記の臓器移植における抗体関連型拒絶反応の抑制 腎移植、肝移植、心移植、肺移植、膵移植、小腸移植	全業工業株式会社	東京都文京区大塚5-6-15	
R4	R5.3.27	(R5薬)第562号	lonafarnib	ハッチソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及びLMNA変異又はZMPSTE24変異によるプロセッシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー	アンジェス株式会社	大阪府茨木市彩都あさぎ七丁目7番15号	
R4	R5.3.27	(R5薬)第563号	fidrisertib	進行性骨化性線維異形成症	IPSEN 株式会社	東京都千代田区永田町 2-11-1 山王パークタワー3階	
R4	R5.3.27	(R5薬)第564号	フリキシマブ(遺伝子組換え)	新生血管を伴う網膜色素線条	中外製薬株式会社	東京都中央区日本橋室町2-1-1	
R5	R5.5.23	(R5薬)第565号	Leniolisib	活性化 PI3K δ 症候群	Pharming Technologies B.V.	Darwinweg 24, 2333 CR Leiden, The Netherlands	
R5	R5.5.23	(R5薬)第566号	レダセムテドトリフルオロ酢酸塩	栄養障害型表皮水疱症	塩野義製薬株式会社	大阪府中央区道修町3丁目1番8号	
R5	R5.5.23	(R5薬)第567号	odevixibat	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症	IPSEN 株式会社	東京都千代田区永田町2-11-1山王パークタワー3階	ジェダイトメディスン株式会社からIPSEN株式会社に付け替え(令和6年8月28日)
R5	R5.5.23	(R5薬)第568号	ニボルマブ(遺伝子組換え)	根治切除不能な進行・再発の上皮系皮膚悪性腫瘍	小野薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町2丁目1番5号	
R5	R5.5.23	(R5薬)第569号	ベルモスジルメルシ酸塩	造血幹細胞移植後の慢性移植片対宿主病	Meiji Seika ファルマ株式会社	東京都中央区京橋二丁目4番16号	
R5	R5.5.23	(R5薬)第570号	レナカバヒルナトリウム	HIV-1感染症	ギリアド・サイエンシズ株式会社	東京都千代田区丸の内1丁目9番2号 グラントウキョウサウスタワー	
R5	R5.5.23	(R5薬)第571号	シロリムス	眼局性皮質異形成 II 型に伴うてんかん発作	ノーベルファーマ株式会社	東京都中央区新川一丁目17番24号	
R5	R5.5.23	(R5薬)第572号	フェンフルラミン塩酸塩	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	ユニーシービージャパン株式会社	東京都新宿区西新宿8-17-1 新宿グランドタワー	
R5	R5.6.22	(R5薬)第573号	ファビピラビル	重症急性血小版減少症候群ウイルス感染症	富士フィルム富山化学株式会社	東京都中央区京橋二丁目14番1号	
R5	R5.6.22	(R5薬)第574号	ガンシクロビル	サイトメガロウイルス角膜炎皮膚炎	ロート製薬株式会社	大阪府大阪市生野区巽五丁目8番1号	
R5	R5.6.22	(R5薬)第575号	Mavacamten	肥大型心筋症	ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都千代田区大手町一丁目2番1号	
R5	R5.6.22	(R5薬)第576号	Teclistamab	多発性骨髄腫	ヤンセンファーマ株式会社	東京都千代田区西神田三丁目5番2号	
R5	R5.8.23	(R5薬)第577号	ポリエチレングリコール処理免疫グロブリン	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	一般社団法人日本血液製剤機構	東京都港区芝浦3-1-1田町ステーションタワー-N15階	
R5	R5.8.23	(R5薬)第578号	エフゾフィチモド(遺伝子組換え)	肺サルコイドーシス	杏林製薬株式会社	東京都千代田区神田駿河台四丁目6番地	
R5	R5.8.23	(R5薬)第579号	ペンラズマブ(遺伝子組換え)	好酸球増多症候群	アストラゼネカ株式会社	大阪府大阪市北区大深町3番1号 グランフロント大阪タワーB	
R5	R5.8.23	(R5薬)第580号	Tagraxofusp	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	日本新薬株式会社	京都府南区吉祥院西ノ庄門口町14	
R5	R5.9.15	(R5薬)第581号	ダブラフェニブメシル酸塩	BRAF V600遺伝子変異を有する再発又は難治性の有毛細胞白血病	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門1丁目23番1号 虎ノ門ヒルズ森タワー	
R5	R5.9.15	(R5薬)第582号	トラメチニブ ジメチルスルホキシド付加物	BRAF V600遺伝子変異を有する再発又は難治性の有毛細胞白血病	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門1丁目23番1号 虎ノ門ヒルズ森タワー	
R5	R5.9.15	(R5薬)第583号	セルベルカチニブ	RET融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌(非小細胞肺癌及び甲状腺癌を除く)	日本イーライリリー株式会社	神戸市中央区磯上通5丁目1番28号	
R5	R5.9.15	(R5薬)第584号	Treosulfan	同種造血幹細胞移植の前治療	日本メダック株式会社	東京都中央区日本橋本町3丁目11番5号 日本橋ライフサイエンスビルディング2 4階	
R5	R5.11.22	(R5薬)第585号	Obexelimab	IgG4 関連疾患 (IgG4-RD)	ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都千代田区大手町一丁目2番1号	Zenas BioPharma LLCからブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社に付け替え(令和6年6月6日)
R5	R5.11.22	(R5薬)第586号	MK-3475A	根治切除不能な進行・再発の有髄細胞癌	MSD株式会社	東京都千代田区九段北一丁目13番12号北の丸スクエア	
R5	R5.11.22	(R5薬)第587号	pizuglanstat	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	大船薬品工業株式会社	東京都千代田区神田錦町1-27	
R5	R5.11.22	(R5薬)第588号	ジアゼパム	てんかん重症状態	アキュリスファーマ株式会社	東京都港区北青山2-14-4 ジアール・ガイル アオヤマ 6F	
R5	R5.12.22	(R5薬)第589号	アレクチニブ塩酸塩	ALK 融合遺伝子陽性の非小細胞肺癌における術後補助療法	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号	
R5	R5.12.22	(R5薬)第590号	ボロファラン ^{(19)B}	切除不能な皮膚血管肉腫	ステラファーマ株式会社	大阪府大阪市中央区高麗橋3-2-7	
R5	R5.12.22	(R5薬)第591号	イノトレチニン	神経芽腫	サンファーマ株式会社	東京都港区芝公園一丁目7番6号	
R5	R5.12.22	(R5薬)第592号	ヘムプロリズマブ(遺伝子組換え)	高リスクの局所進行性子宮頸癌における同時化学放射線療法	MSD 株式会社	東京都千代田区九段北一丁目13番12号北の丸スクエア	
R5	R5.12.22	(R5薬)第593号	テプロツマブ(遺伝子組換え)	甲状腺眼症	アムジェン株式会社	東京都港区赤坂9丁目7番1号 ミッドタウン・タワー	
R5	R6.2.9	(R5薬)第594号	Encaleret	常染色体顕性(優性)低カルシウム血症 1 型	Calcitylix Therapeutics, Inc. a BridgeBio Company	1800 Owens Street, Suite C-1200 San Francisco, CA 94158	
R5	R6.2.9	(R5薬)第595号	tinlarebant	スタルガルト病	Belte Bio, Inc.	12750 High Bluff Suite 475, San Diego CA, 92130 USA	
R5	R6.2.9	(R5薬)第596号	ベルズチファン	フォン・ヒッペル・リンドウ(VHL)病関連の腫瘍性病変	MSD株式会社	東京都千代田区九段北一丁目13番12号北の丸スクエア	
R5	R6.2.9	(R5薬)第597号	タルラタマブ(遺伝子組換え)	小細胞肺癌	アムジェン株式会社	東京都港区赤坂九丁目7番1号 ミッドタウン・タワー	
R5	R6.3.21	(R5薬)第598号	talquetamab	多発性骨髄腫	ヤンセンファーマ株式会社	東京都千代田区西神田三丁目5番2号	
R5	R6.3.21	(R5薬)第599号	sotatercept	肺動脈性肺高血圧症	MSD株式会社	東京都千代田区九段北一丁目13番12号北の丸スクエア	
R5	R6.3.21	(R5薬)第600号	エフガルチギモド アルファ(遺伝子組換え)・ボルヒアルロナーゼ アルファ(遺伝子組換え)配合注射剤	慢性炎症性脱髄性多発根神経炎	アルジェンクスジャパン株式会社	東京都港区赤坂二丁目5番8号	
R6	R6.6.6	(R6薬)第601号	MSA-01	多系統萎縮症	ノーベルファーマ株式会社	東京都中央区新川一丁目17番24号	
R6	R6.6.6	(R6薬)第602号	プデソニド	IgA 腎症	ヴァイアトリス製薬株式会社	東京都港区虎ノ門五丁目11番2号 オランダヒルズ森タワー	
R6	R6.6.6	(R6薬)第603号	cannabidiol	Dravet症候群におけるてんかん発作	ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会社	東京都千代田区丸の内1-11-1 パシフィックセンチュリープレイス丸の内8階	
R6	R6.6.6	(R6薬)第604号	cannabidiol	Lennox-Gastaut症候群におけるてんかん発作	ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会社	東京都千代田区丸の内1-11-1 パシフィックセンチュリープレイス丸の内8階	
R6	R6.6.6	(R6薬)第605号	cannabidiol	結節性硬化症におけるてんかん発作	ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会社	東京都千代田区丸の内1-11-1 パシフィックセンチュリープレイス丸の内8階	
R6	R6.6.6	(R6薬)第606号	イボシデニブ	IDH1 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病	日本セルヴィエ株式会社	東京都文京区本郷一丁目28番34号 本郷MK ビル5階	
R6	R6.6.6	(R6薬)第607号	KD-416	血液凝固第 X 因子欠乏症患者の出血傾向の抑制	KMバイオロジクス株式会社	熊本県熊本市北区大塚一丁目6番1号	
R6	R6.6.19	(R6薬)第608号	ベネトクラクス	再発又は難治性のマンデル細胞リンパ腫	アツヴィ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1番21号	

R6	R6.6.19	(R6薬)第609号	エンコラフェニブ	BRAF遺伝子変異を有する治癒切除不能な進行・再発の結腸・直腸癌	小野薬品工業株式会社	大阪市中央区道修町2丁目1番5号	
R6	R6.6.19	(R6薬)第610号	カナキマブ(遺伝子組換え)	既存治療で効果不十分な成人発症スチル病	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門1丁目23番1号	
R6	R6.6.19	(R6薬)第611号	デュルバルマブ(遺伝子組換え)	根治的放射線療法後に疾患進行が認められない限局型小細胞肺癌	アストラゼネカ株式会社	大阪市北区大深町3番1号	
R6	R6.6.19	(R6薬)第612号	sepiapterin	フェニルトロン尿症	PTCセラピューティクス株式会社	東京都中央区日本橋本町4-12-20 PMO 日本橋本町	
R6	R6.6.19	(R6薬)第613号	SJN-0008	網膜中心動脈閉塞症による視力低下の改善	子寿製薬株式会社	大阪市中央区瓦町3丁目1番9号	
R6	R6.8.28	(R6薬)第614号	トリンシランナトリウム	トランスサイレチン型心アミロイドーシス(野生型及び変異型)	Alnylam Japan株式会社	東京都千代田区丸の内一丁目11番1号パシフィックセンチュリープレックス丸の内11階	
R6	R6.8.28	(R6薬)第615号	Eplontersen sodium	トランスサイレチン型心アミロイドーシス	アストラゼネカ株式会社	大阪府大阪市北区大深町3番1号	
R6	R6.8.28	(R6薬)第616号	イブトコバン塩酸塩水和物	C3腎症	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門一丁目23番1号	
R6	R6.8.28	(R6薬)第617号	センダキマブ(遺伝子組換え)	好酸球性胃腸炎	プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都千代田区大手町一丁目2番1号	
R6	R6.8.28	(R6薬)第618号	センダキマブ(遺伝子組換え)	好酸球性食道炎	プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都千代田区大手町一丁目2番1号	
R6	R6.8.28	(R6薬)第619号	seladelpar	原発性胆汁性胆管炎	科研製薬株式会社	東京都文京区本駒込二丁目28番8号	
R6	R6.8.28	(R6薬)第620号	サトラズマブ(遺伝子組換え)	甲状腺癌	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号	
R6	R6.8.28	(R6薬)第621号	フェドラチニブ塩酸塩水和物	骨髄線維症	プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都千代田区大手町一丁目2番1号	
R6	R6.8.28	(R6薬)第622号	TM5614	がん化学療法後に増悪した根治切除不能な悪性黒色腫	株式会社レナサイエンス	東京都中央区日本橋本町2-3-6	
R6	R6.8.28	(R6薬)第623号	ベランタマブ マホドチン(遺伝子組換え)	多発性骨髄腫	グラクソ・スミスクライン株式会社	東京都港区赤坂一丁目8番1号	
R6	R6.8.28	(R6薬)第624号	zipalertinib	EGFRエクソ20挿入変異陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	大腸薬品工業株式会社	東京都千代田区神田錦町1-27	
R6	R6.9.20	(R6薬)第625号	venglustat	ゴーシェ病	サノフィ株式会社	東京都新宿区西新宿三丁目20番2号	
R6	R6.9.20	(R6薬)第626号	venglustat	ファブリー病	サノフィ株式会社	東京都新宿区西新宿三丁目20番2号	
R6	R6.9.20	(R6薬)第627号	DSP-5336	再発又は難治性のMLL遺伝子再構成陽性又はNPM1遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病	住友ファーマ株式会社	大阪府大阪市中央区道修町二丁目6番8号	
R6	R6.9.20	(R6薬)第628号	ボロファラン ^{(1)B}	再発性神経膠腫	ステラファーマ株式会社	大阪府大阪市中央区高麗橋3丁目2番7号	
R6	R6.9.20	(R6薬)第629号	ボロファラン ^{(1)B}	再発性神経膠腫	ステラファーマ株式会社	大阪府大阪市中央区高麗橋3丁目2番7号	
R6	R6.9.20	(R6薬)第630号	イビリムマブ(遺伝子組換え)	治癒切除不能な進行・再発の高頻度マイクロサテライト不安定性(MSI-High)を有する結腸・直腸癌	プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都千代田区大手町一丁目2番1号	
R6	R6.9.20	(R6薬)第631号	ニボルマブ(遺伝子組換え)	治癒切除不能な進行・再発の高頻度マイクロサテライト不安定性(MSI-High)を有する結腸・直腸癌	小野薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町2丁目1番5号	
R6	R6.11.27	(R6薬)第632号	sparsentan	IgA腎症	レナリスファーマ株式会社	東京都中央区日本橋2丁目3番11号	
R6	R6.11.27	(R6薬)第633号	ハロハロテン	進行性骨化性線維異形成症	IPSEN株式会社	東京都千代田区永田町2-11-1 山王パークタワー3階エグセクティブセンター内	
R6	R6.11.27	(R6薬)第634号	マンチンタン	肺動脈性肺高血圧症	ヤンセンファーマ株式会社	東京都千代田区西神田3-5-2	
R6	R6.11.27	(R6薬)第635号	ALXN2220	トランスサイレチン型心アミロイドーシス	アレクシオンファーマ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1番1号 田町ステーションタワーN	
R6	R6.11.27	(R6薬)第636号	サトラズマブ(遺伝子組換え)	自己免疫性神経炎	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号	
R6	R6.11.27	(R6薬)第637号	サトラズマブ(遺伝子組換え)	抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質抗体関連疾患	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号	
R6	R6.11.27	(R6薬)第638号	ニボカリマブ(遺伝子組換え)	慢性炎症性脱髄性多発根神経炎	ヤンセンファーマ株式会社	東京都千代田区西神田三丁目5番2号	
R6	R6.11.27	(R6薬)第639号	プロギジルセン	エクソ44スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー	日本新薬株式会社	京都市南区吉祥院西ノ庄門口14番地	
R6	R6.11.27	(R6薬)第640号	BMS-986278	特発性肺線維症	プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都千代田区大手町一丁目2番1号	
R6	R6.11.27	(R6薬)第641号	Nacubactam	グラム陰性桿菌感染症に対するセフェム又はアズトレオナムとの併用療法 セフェム/ナキュバクタム併用療法における適応菌種、適応症は以下のとおり。 <適応菌種> セフェム/ナキュバクタムに感性的腸内細菌目細菌、緑膿菌、その他のグラム陰性桿菌(アシネトバクター属を除く) ただし、カルバペネム系抗菌薬に耐性が考えられる菌株に限る。 <適応症> 各種感染症 アズトレオナム/ナキュバクタム併用療法における適応菌種、適応症は以下のとおり。 <適応菌種> アズトレオナム/ナキュバクタムに感性的腸内細菌目細菌、緑膿菌、その他のグラム陰性桿菌(アシネトバクター属を除く) ただし、カルバペネム系抗菌薬に耐性が考えられる菌株に限る。 <適応症> 各種感染症	Meiji Seikaファルマ株式会社	東京都中央区京橋二丁目4番16号	
R6	R6.11.27	(R6薬)第642号	BAY2927088	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	バイエル薬品株式会社	大阪府大阪市北区梅田2-4-9	
R6	R6.11.27	(R6薬)第643号	lomustine	神経膠腫	日本メダック株式会社	東京都中央区日本橋本町3-11-5	
R6	R6.11.27	(R6薬)第644号	talrectinib	ROS1融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	日本化薬株式会社	東京都千代田区丸の内二丁目1番1号	
R6	R6.11.27	(R6薬)第645号	TP-3654	骨髄線維症	住友ファーマ株式会社	大阪府大阪市中央区道修町二丁目6番8号	

R6	R6.11.27	(R6薬)第646号	タファンタマブ(遺伝子組換え)	びまん性大細胞型B細胞リンパ腫	インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社	東京都千代田区有楽町1丁目1番2号東京ミッドタウン日比谷
R6	R6.12.25	(R6薬)第647号	イネピリズマブ(遺伝子組換え)	IgG4 関連疾患	田辺三菱製薬株式会社	大阪府大阪市中央区道修町3-2-10
R6	R6.12.25	(R6薬)第648号	RO7434656	IgA腎症	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号
R6	R6.12.25	(R6薬)第649号	velusetrag	慢性偽性腸閉塞症	Alfasigma S.p.A	ヴィア・ラッツツィ・デル・99番地5、ポロニヤ、ポロニヤ県、イタリア、40133
R6	R6.12.25	(R6薬)第650号	Odevixibat	アラジーレ症候群	ジェダイトメディスン株式会社	東京都千代田区丸の内1-11-1
R6	R6.12.25	(R6薬)第651号	JR-441	ムコ多糖症IIA型	JCRファーマ株式会社	兵庫県芦屋市春日町3番19号
R6	R6.12.25	(R6薬)第652号	フェニル酪酸グリセロール	尿素サイクル異常症	株式会社オーファンバシフィック	東京都港区芝浦一丁目1番1号
R6	R6.12.25	(R6薬)第653号	Pitolisant	ナルコレプシー	アキュリスファーマ株式会社	東京都港区北青山2-14-4 ジアール・アオヤマ 6F
R6	R6.12.25	(R6薬)第654号	セベトラルスタット	遺伝性血管性浮腫の急性発作	KalVista Pharmaceuticals Japan 株式会社	東京都千代田区丸の内一丁目4番地1号永楽ビル26F
R6	R6.12.25	(R6薬)第655号	ボランデニブ クエン酸水和物	IDH1 又はIDH2 遺伝子変異陽性の神経鞘腫	日本セルヴィエ株式会社	東京都文京区本郷一丁目28番34号 本郷MKビル5階
R6	R6.12.25	(R6薬)第656号	レボトクタチニブ	NTKR融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌	プリストル・マイヤーズスクイブ株式会社	東京都千代田区大手町一丁目2番1号
R6	R6.12.25	(R6薬)第657号	ソングレルチニブ	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	日本ベリンガーインゲルハイム株式会社	東京都品川区大崎2丁目1番1号 ThinkPark Tower
R6	R6.12.25	(R6薬)第658号	イフィナタマブ デルクステカン(遺伝子組換え)	小細胞肺癌	第一三共株式会社	東京都中央区日本橋本町三丁目5番1号
R6	R7.2.28	(R7薬)第659号	atrasentan	IgA腎症	ノバルティスファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門一丁目23番1号
R6	R7.2.28	(R7薬)第660号	batoclimab	活動性甲状腺眼症	HanAll Biopharma Co., Ltd	12, Bongeunsa-ro 114-gil, Gangnam-gu, Seoul, Republic of Korea
R6	R7.2.28	(R7薬)第661号	efzimgotase alfa	低ホスファターゼ症	アレクシオンファーマ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1番1号田町ステーションタワーN
R6	R7.2.28	(R7薬)第662号	eneboparatide	副甲状腺機能低下症	アレクシオンファーマ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1番1号田町ステーションタワーN
R6	R7.2.28	(R7薬)第663号	Nirogocestat	デスマイト腫瘍	SpringWorks Therapeutics, Inc	100 Washington Blvd Stamford, CT 06902, United States
R6	R7.2.28	(R7薬)第664号	ラブリズマブ(遺伝子組換え)	IgA腎症	アレクシオンファーマ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1番1号田町ステーションタワーN
R6	R7.2.28	(R7薬)第665号	BL 764198	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	日本ベリンガーインゲルハイム株式会社	東京都品川区大崎2丁目1番1号
R6	R7.2.28	(R7薬)第666号	Lu AF82422	多系統萎縮症	ルンドベック・ジャパン株式会社	東京都港区虎ノ門四丁目1番17号神谷町プライムブレイス
R6	R7.2.28	(R7薬)第667号	フェンフルラミン塩酸塩	CDK15遺伝子欠損症患者におけるてんかん発作の抑制	ユーシービー・ジャパン株式会社	東京都新宿区西新宿9-17-1新宿グランドタワー
R6	R7.2.28	(R7薬)第668号	トラフェルミン	外耳道軟部組織欠損	ノーベルファーマ株式会社	東京都中央区新川一丁目17番24号
R6	R7.2.28	(R7薬)第669号	seralutinib	肺動脈性肺高血圧症	QB002 Inc.	3115 Merryfield Row, Suite 120, San Diego, CA 92121
R6	R7.2.28	(R7薬)第670号	Naxitamab	再発又は難治性の神経芽腫	ノーベルファーマ株式会社	東京都中央区新川一丁目17番24号
R6	R7.2.28	(R7薬)第671号	サルグラモステム(遺伝子組換え)	再発又は難治性の神経芽腫	ノーベルファーマ株式会社	東京都中央区新川一丁目17番24号
R6	R7.2.28	(R7薬)第672号	ダロルタミド	アンドロゲン受容体陽性の根治切除不能な進行・再発の嚙液腺癌	バイエル薬品株式会社	大阪府大阪市北区梅田 2-4-9
R6	R7.2.28	(R7薬)第673号	レチファンリマブ(遺伝子組換え)	肛門管扁平上皮癌	インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社	東京都千代田区有楽町1-1-2 東京ミッドタウン日比谷
R6	R7.2.28	(R7薬)第674号	ロンカスツキシマブ テシリン(遺伝子組換え)	以下の再発又は難治性の大細胞型B細胞リンパ腫(びまん性大細胞型B細胞リンパ腫、高悪性度B細胞リンパ腫)	田辺三菱製薬株式会社	大阪府大阪市中央区道修町3-2-10
R6	R7.3.31	(R7薬)第675号	BL 764198	巣状分節性糸球体硬化症	日本ベリンガーインゲルハイム株式会社	東京都品川区大崎2丁目1番1号
R6	R7.3.31	(R7薬)第676号	Setmelanotide	後天性視床下部性肥満	Rhythm Pharmaceuticals Inc.	222 Berkely Street, Suite 1200, Boston, MA 02116, US
R6	R7.3.31	(R7薬)第677号	triheptanoin	長鎖脂肪酸代謝異常症	Ultragenyx Japan株式会社	東京都江東区有明三丁目7番26号有明フロンティアビルB棟9階
R6	R7.3.31	(R7薬)第678号	アブラグルチドナトリウム	短腸症候群	旭化成ファーマ株式会社	東京都千代田区有楽町一丁目1番2号日比谷三井タワー
R6	R7.3.31	(R7薬)第679号	delpacibart etedesiran	筋強直性ジストロフィー1型	Avidity Biosciences Inc.,	10578 Science Center Dr, Suite 125 San Diego, CA 92121, USA
R6	R7.3.31	(R7薬)第680号	Plozasiran	家族性高カイロミクログロブリン血症候群	Arrowhead Pharmaceuticals, Inc.	177 East Colorado Blvd, Suite 700, Pasadena, CA 91105
R6	R7.3.31	(R7薬)第681号	LY3537982	がん化学療法後に増悪したKRAS G12C変異陽性の治癒切除不能な肺癌	日本イーライリリイ株式会社	兵庫県神戸市中央区磯上通5丁目1番28号
R6	R7.3.31	(R7薬)第682号	mirvetuximab soravtansine	薬物受容体α陽性の再発卵巣癌	武田薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町四丁目1番1号
R6	R7.3.31	(R7薬)第683号	raludotatug deruxtecan	白金系抗悪性腫瘍剤抵抗性の卵巣癌	第一三共株式会社	東京都中央区日本橋本町三丁目5番1号
R6	R7.3.31	(R7薬)第684号	アテゾリズマブ(遺伝子組換え)	切除不能な胸腺癌	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号
R6	R7.3.31	(R7薬)第685号	タファンタマブ(遺伝子組換え)	再発又は難治性の濾胞性リンパ腫	インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同会社	東京都千代田区有楽町1丁目1番2号 東京ミッドタウン日比谷
R6	R7.3.31	(R7薬)第686号	デュビルマブ(遺伝子組換え)	水疱性類天疱瘡	サノフィ株式会社	東京都新宿区西新宿三丁目20番2号