希少疾病用再生医療等製品指定品目一覧表

指定年度	指定日	指定番号	指定を受けた再生医療等製品の名称	指定を受けた 予定される効能、効能又は性能	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
H20	H20.6.11	(20機)第15号	他家培養角膜上皮細胞シート	角膜上皮幹細胞疲弊症患者の角膜上皮の修復又は視機能の改善	アルブラスト株式会社	兵庫県神戸市中央区港島南町五丁目五番二号	希少疾病用医療機器として指定を受けたが、医薬品医療機器等法附則第五十六条に基づき、希少疾病用再生医療等製品の指定をうけたものとみなされた。なお、指定番号はかわっていない。
H22	H23.3.18	(23機)第22号	ヒト自家移植組織	表皮水疱症患者に発生する難治性のびらん・潰瘍を適応対象とする。本品は、難治性のびらん・潰瘍部位に適用し、速やかに上皮化させることを目的とする。	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	愛知県蒲郡市三谷北通六丁目二百九番地の一	希少疾病用医療機器として指定を受けたが、医薬品医療機器等法附則第五十六条に基づき、希少疾病用再生医療等製品の指定をうけたものとみなされた。なお、指定番号はかわっていない。
H25	H25.12.12	(25薬)第325号	NPR-01	クローン病性瘻孔（外瘻（痔瘻を含む））	日本製薬株式会社	東京都中央区明石町八番一号	希少疾病用医薬品として指定を受けたが、医薬品医療機器等法附則第五十六条に基づき、希少疾病用再生医療等製品の指定をうけたものとみなされた。なお、指定番号はかわっていない。 指定取消（R3.1.8）
H25	H25.12.12	(25薬)第326号	JR-031	急性移植片対宿主病	日本ケミカルリサーチ株式会社	兵庫県芦屋市春日町三番十九号	希少疾病用医薬品として指定を受けたが、医薬品医療機器等法附則第五十六条に基づき、希少疾病用再生医療等製品の指定をうけたものとみなされた。なお、指定番号はかわっていない。
H26	H26.11.25	(26再)第1号	ヒト（自己）表皮由来細胞シート	先天性巨大色素性母斑患者の母斑切除部に適用し、速やかに上皮化させることを目的とする。	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	愛知県蒲郡市三谷北通六丁目二百九番地の一	
H26	H27.3.25	(27再)第2号	EYE-01M	角膜上皮幹細胞疲弊症	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	愛知県蒲郡市三谷北通六丁目二百九番地の一	
H28	H28.5.25	(28再)第3号	CTL019	CD19陽性B細胞性急性リンパ芽球性白血病 CD19陽性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 CD19陽性濾胞性リンパ腫	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二十三番一号	
H29	H29.7.10	(29再)第4号	G47Δ	悪性神経膠腫	第一三共株式会社	東京都中央区日本橋本町三丁目五番一号	
H30	H30.10.1	(30再)第5号	JR-031	表皮水疱症における潰瘍	JCRファーマ株式会社	兵庫県芦屋市春日町三番十九号	指定取消（R3.3.5）
H30	H30.10.1	(30再)第6号	AVXS-101	脊髄性筋萎縮症（SMA）	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二十三番一号虎ノ門ヒルズ森タワー	
H30	H30.10.1	(30再)第7号	JCAR017	アグレッシブB細胞性非ホジキンリパ腫	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	開発企業の吸収合併に伴いセルジーン株式会社からブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社に付け替え（R3.7.6）
H30	H30.10.1	(30再)第8号	KTE-C19	びまん性大細胞型B細胞リンパ腫、原発性縦隔（胸腺）大細胞型B細胞リンパ腫、形質転換濾胞性リンパ腫、及び高悪性度B細胞リンパ腫	第一三共株式会社	東京都中央区日本橋本町三丁目五番一号	
H30	H30.12.21	(30再)第9号	SB-ADSC-01	脊髄小脳失調症の臨床症状の進行抑制	株式会社リプロセル	神奈川県横浜市港北区新横浜三丁目八番十一号メットライフ新横浜ビル九階	
H30	H31.3.13	(31再)第10号	Cx601	クローン病患者における肛門周囲複雑瘻孔	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一番一号	
R1	R1.11.25	(31再)第11号	NSR-REP1	コロイデレミア（CHM）	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四番一号	
R1	R1.11.25	(31再)第12号	bb2121	再発又は難治性の多発性骨髄腫	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	開発企業の吸収合併に伴いセルジーン株式会社からブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社に付け替え（R3.7.6）
R1	R1.11.25	(31再)第13号	HLCM051	急性呼吸窮迫症候群（ARDS）	株式会社ヘリオス	東京都港区浜松町二丁目四番一号世界貿易センタービル十五階	
R1	R2.3.19	(R2再)第14号	LTW888	両アレル性RPE65遺伝子変異による遺伝性網膜ジストロフィー	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二十三番一号虎ノ門ヒルズ森タワー	
R1	R2.3.19	(R2再)第15号	COMET01	角膜上皮幹細胞疲弊症	株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング	愛知県蒲郡市三谷北通六丁目二百九番地の一	
R2	R2.6.23	(R2再)第16号	SRP-9001	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	中外製薬株式会社	東京都中央区日本橋室町2-1-1	開発権の譲渡に伴いサレプタ・セラピューティックス株式会社から Sarepta Therapeutics, Inc.に付け替え（R4.6.2） 開発権の譲渡に伴いSarepta Therapeutics, Inc.から中外製薬株式会社に付け替え（R6.7.30）
R2	R2.6.23	(R2再)第17号	TBI-1301	HLA-A*02:01 又はHLA-A*02:06 陽性かつ腫瘍細胞にNY-ESO-1 抗原を発現している滑膜肉腫	タカラバイオ株式会社	東京都千代田区神田司町二丁目九番	共同開発・独占販売契約の終了に伴い大塚製薬株式会社からタカラバイオ株式会社に付け替え（R4.1.20）
R2	R2.6.23	(R2再)第18号	JNJ-68284528	再発又は難治性の多発性骨髄腫	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五番二号	
R2	R2.6.23	(R2再)第19号	SB623	外傷性脳損傷における後遺症の改善	サンバイオ株式会社	東京都中央区明石町八丁目一番聖路加タワー二十八階	
R2	R2.6.23	(R2再)第20号	TR9	角膜上皮幹細胞疲弊症	ひろさきLI株式会社	青森県弘前市大字津賀野字浅田九百九十六番地	
R3	R3.6.11	(R3再)第21号	JRM-001	機能的単心室症における心機能の改善	株式会社メトセラ	東京都中央区新川一丁目二番十二号　金山ビルディング三階	開発企業の吸収合併に伴い株式会社日本再生医療から株式会社メトセラに付け替え（R4.7.5）
R3	R4.2.28	(R4再)第22号	培養ヒト角膜内皮細胞（CHCEC: Cultured Human Corneal Endothelial Cell）	水疱性角膜症	合同会社オーリオンバイオテック・ジャパン	東京都千代田区麹町二丁目十番地三	会社名の変更に伴い合同会社コーニアジェン・ジャパンから合同会社オーリオンバイオテック・ジャパンへ付け替え（R4.12.27）
R4	R4.6.20	(R4再)第23号	fidanacogene elaparvovec	先天性血液凝固第Ⅸ因子欠乏症（血友病Ｂ）患者における出血傾向の抑制	ファイザー株式会社	東京都渋谷区代々木三丁目二十二番地七号	
R4	R4.6.20	(R4再)第24号	ISN001	難治性又は再発性のびらん・潰瘍を有する表皮水疱症（単純型、接合部型、優性・劣性栄養障害型）の患者を適応症とする。本製品は、難治性又は再発性のびらん・潰瘍部に適用し、上皮化させることを目的とする。	イシンファーマ株式会社	東京都中央区日本橋本町二丁目三番十一号四百十二号室	
R4	R5.3.23	(R5再)第25号	リソカブタゲン マラルユーセル	濾胞性リンパ腫（Grade１、２、３A）、辺縁帯リンパ腫	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	R5.12.13	(R5再)第26号	Beremagene Geperpavec（B-VEC）	栄養障害型表皮水疱症	Krystal Biotech, Inc.	2100 Wharton Street, Suite 701 Pittsburgh, PA 15203	

希少疾病用再生医療等製品指定品目一覧表							
指定年度	指定日	指定番号	指定を受けた再生医療等製品の名称	指定を受けた 予定される効能、効能又は性能	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
R5	R6.3.21	(R5再)第27号	etranacogene dezaparvovec	血友病Ｂの出血抑制	CSLベーリング株式会社	東京都港区北青山一丁目２番３号	
R6	R6.8.6	(R6再)第28号	valoctocogene roxaparvovec	先天性血友病 A	BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社	東京都新宿区新宿四丁目１番６号　JR新宿ミライナタワー16階	
R6	R6.11.26	(R6再)第29号	Pariglasgene brecaparvovec	糖原病Ia型	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	R7.3.12	(R7再)第30号	mRNA-3927	プロピオン酸血症	モデルナ・ジャパン株式会社	東京都港区虎ノ門四丁目１番１号	
R6	R7.3.12	(R7再)第31号	Avalotcagene ontaparvovec	オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症	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	R7.3.12	(R7再)第32号	nadofaragene firadenovec	Bacillus Calmette-Guerin（BCG）が十分に奏効しない筋層非浸潤性膀胱癌	フェリング・ファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門二丁目10 番4 号	
R6	R7.3.28	(R7再)第33号	cretostimogene grenadenorepvec	BCG 不応の筋層非浸潤性膀胱癌	キッセイ薬品工業株式会社	長野県松本市芳野19 番48 号	
R7	R7.8.7	(R7再)第34号	HLC-001	造血幹細胞移植後の非感染性肺合併症	ヒューマンライフコード株式会社	東京都中央区日本橋堀留町一丁目９番10号	
R7	R7.8.7	(R7再)第35号	arlocabtagene autoleucel	再発又は難治性の多発性骨髄腫	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	
R7	R7.10.24	(R7再)第36号	OTL-200	臨床所見発現前の乳児期遅発型異染性白質ジストロフィー、臨床所見発現前又は発症早期の早期若年型異染性白質ジストロフィー	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	
R7	R7.10.24	(R7再)第37号	IPSOC-1	薬物治療や侵襲的治療を含む標準治療で効果不十分な虚血性心筋症による重症心不全の治療	クオリプス株式会社	東京都中央区日本橋本町三丁目11番５号 日本橋ライフサイエンスビルディング2 507	
R7	R7.12.12	(R7再)第38号	raguneprocel	進行期パーキンソン病患者のオフ時の運動症状の改善	住友ファーマ株式会社	大阪市中央区道修町二丁目６番８号	
R7	R7.12.12	(R7再)第39号	Suratadenoturev	根治切除及び化学放射線治療の適応とならない食道癌	オンコリスバイオファーマ株式会社	東京都港区虎ノ門4-1-28虎ノ門タワーズオフィス	
R7	R8.1.16	(R8再)第40号	brexucabtagene autoleucel	マントル細胞リンパ腫、Ｂ細胞性急性リンパ芽球性白血病	ギリアド・サイエンシズ株式会社	東京都千代田区丸の内一丁目 9 番 2 号 グラントウキョウサウスタワー	
R7	R8.1.16	(R8再)第41号	MCO-010	重度の視力低下を有する遺伝性網膜ジストロフィー（IRD）	Nanoscope Therapeutics, Inc.	Trinity Towers 2777 N. Stemmons Fwy. Dallas, TX 75207, USA	
R7	R8.3.6	(R8再)第42号	lunsotogene parvec	両アレル性 OTOF 遺伝子変異による難聴	リジェネロン・ジャパン株式会社	東京都港区虎ノ門二丁目 6 –1 虎ノ門ヒルズ ステーションタワー18 階	
R8	R8.5.8	(R8再)第43号	Surv.m-CRA-1	原発性悪性骨腫瘍	サーブ・バイオファーマ株式会社	鹿児島県鹿児島市桜ヶ丘八丁目35番1号 鹿児島大学大学院医歯学総合研究科内（医歯学総合研究科棟51階）	
R8	R8.11.16	(R8再)第44号	nexiguran ziclumeran	トランスサイレチン型心アミロイドーシス	Intellia Therapeutics, Inc.	400 Tech Square, Suite 100 Cambridge, MA 02139, USA	