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	イピリムマブ（遺伝子組換え）	悪性胸膜中皮腫	ブリストル・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	パビナフスプ　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	オリプダーゼ　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	ミドスタウリン	*FLT3*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	指定の取消し（令和8年9月25日）
R2	R2.11.25	（R2薬）第489号	BIIB067	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	Rozanolixizumab	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）	糖原病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）・ボ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	ボルテゾミブ	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	セルペルカチニブ	*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髄様癌	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	ルキソリチニブリン酸塩	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	cipaglucosidase alfa	糖原病Ⅱ型に対するミグルスタットとの併用療法	アミカス・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499号	ミグルスタット	糖原病Ⅱ型に対するcipaglucosidase alfaとの併用療法	アミカス・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-ヨードベンジルグアニジン（^{131}I）	3-ヨードベンジルグアニジン（MIBG）シンチグラフィ陽性の難治性褐色細胞腫・パラガングリオーマ	富士フイ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Ⅷ因子又は第Ⅸ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	ペミガチニブ	*FGFR2* 融合遺伝子陽性の治癒切除不能な胆道癌	インサイト・バイオサイエンシズ・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	
R2	R3.3.11	（R3薬）第506号	Susoctocog 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（中條-西村症候群、乳児発症性STING関連血管炎、エカルディ・グティエール症候群）	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癒切除不能な進行・再発の唾液腺癌	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	ペムブロリズマブ（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	エクリズマブ（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	大阪市北区中之島二丁目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に付け替え（令和3年8月24日）
R3	R3.5.24	（R3薬）第516号	バルドキソロンメチル	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に付け替え（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てんかん発作の治療	日本新薬株式会社	京都府京都市南区吉祥院西ノ庄門口町14番地	Zogenix Japan株式会社から日本新薬株式会社に付け替え（令和8年8月24日）
R3	R3.8.24	（R3薬）第520号	アシミニブ塩酸塩	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）	骨端線閉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	ブ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	エミシズマブ（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	イスラトラビル水和物	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	バレメトスタットトシル酸塩	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	フェニルケトン尿症	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	乾燥ポリエチレングリコール処理人免疫グロブリン	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	指定の取消し（令和7年8月29日）
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	セフィデロコルトシル酸塩硫酸塩水和物	＜適応菌種＞ セフィデロコルに感性の大腸菌、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・マルセスセンス、プロテウス属、モルガネラ・モルガニー、プロビデンシア・レットゲリ、緑膿菌、バークホルデリア属、ステノトロホモナス・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	ダウノルビシン塩酸塩・シタラビン配合リポソーム注射剤	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口町14番地	
R4	R4.5.26	（R4薬）第541号	CNT-01	中性脂肪蓄積心筋血管症	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	エーザイ株式会社	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	*FGFR*1融合遺伝子陽性の骨髄性又はリンパ性腫瘍	インサイト・バイオサイエンシズ・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	ブリストル・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	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	
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	R4.12.9	（R4薬）第549号	ペムブロリズマブ（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	アラジール症候群	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	脳腱黄色腫症	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	Rilzabrutinib	慢性特発性血小板減少性紫斑病	サノフィ株式会社	東京都新宿区西新宿三丁目20番2号	
R4	R4.12.16	（R4薬）第554号	エフガルチギモド 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8号	
R4	R4.12.16	（R4薬）第555号	apadamtase 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	ダニコパン	発作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	全薬工業株式会社	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	全薬工業株式会社	東京都文京区大塚５－６－１５	
R4	R5.3.27	（R5薬）第562号	lonafarnib	ハッチンソン・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	指定の取消し（令和8年11月16日）
R4	R5.3.27	（R5薬）第564号	ファリシマブ（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 PI3Kδ 症候群	株式会社オーファンパシフィック	東京都港区芝浦一丁目1番1号	Pharming Technologies B.V.から株式会社オーファンパシフィックに付け替え（令和7年5月30日）
R5	R5.5.23	（R5薬）第566号	レダセムチ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	大阪市中央区道修町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	ベルモスジルメシル酸塩	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	レナカパビルナトリウム	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	限局性皮質異形成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	指定の取消し（令和7年11月27日）
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	日本新薬株式会社	京都府京都市南区吉祥院西ノ庄門口町14番地	ユーシービージャパン株式会社から日本新薬株式会社に付け替え（令和8年8月24日）
R5	R5.6.22	（R5薬）第573号	ファビピラビル	重症熱性血小板減少症候群ウイルス感染症	富士フイ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内皮炎	ロート製薬株式会社	大阪府大阪市生野区巽西1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人免疫グロブリン	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	ベンラリズマブ（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	京都府京都市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	セルペルカチニブ	*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・再発の有棘細胞癌	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	大鵬薬品工業株式会社	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	てんかん重積状態	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（^{10}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	イソトレチノイン	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	ペムブロリズマブ（遺伝子組換え）	高リスクの局所進行の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	テプロツムマブ（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	Calcilytix 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	Belite 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）・ボルヒアルロニダーゼ 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	アルジェニ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	ブデソニド	IgA 腎症	ヴィ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	日本臓器製薬株式会社	大阪府大阪市中央区平野町4丁目2番3号	ジャスファーマシューティカルズジャパン株式会社から日本臓器製薬株式会社に付け替え（令和8年6月23日）

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	日本臓器製薬株式会社	大阪府大阪市中央区平野町4丁目2番3号	ジャスファーマシューティカルズジャパン株式会社から日本臓器製薬株式会社に付け替え（令和8年6月23日）
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	日本臓器製薬株式会社	大阪府大阪市中央区平野町4丁目2番3号	ジャスファーマシューティカルズジャパン株式会社から日本臓器製薬株式会社に付け替え（令和8年6月23日）
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窪一丁目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トル細胞リンパ腫	アッヴィ合同会社	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	カナキヌマブ（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）	根治的化学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	フェニルケトン尿症	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	SJP-0008	網膜中心動脈閉塞症による視力低下の改善	千寿製薬株式会社	大阪市中央区瓦町 3 丁目 1 番 9 号	
R6	R6.8.28	（R6薬）第614号	ブトリシランナトリウム	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イス丸の内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	イプタコパン塩酸塩水和物	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	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	指定の取消し（令和7年12月23日）
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	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	指定の取消し（令和7年12月23日）
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	サトラリズマブ（遺伝子組換え）	甲状腺眼症	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号	
R6	R6.8.28	（R6薬）第621号	フェドラチニブ塩酸塩水和物	骨髄線維症	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	ブリストル・マイヤーズ スクイブ株式会社からレコルダティ・レア・ディジーズ・ジャパン株式会社に付け替え（令和8年3月19日）
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エクソン20挿入変異陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	大鵬薬品工業株式会社	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	指定の取消し（令和8年8月24日）
R6	R6.9.20	（R6薬）第628号	ボロファラン（^{10}B）	再発髄膜腫	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（^{10}B）	再発悪性神経膠腫	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	イピリムマブ（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	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	
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	パロパロテン	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 階エグゼクティブセンター内	
R6	R6.11.27	（R6薬）第634号	マシテンタン	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	サトラリズマブ（遺伝子組換え）	自己免疫介在性脳炎	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	サトラリズマブ（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	ニポカリマブ（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	指定の取消し（令和7年5月30日）
R6	R6.11.27	（R6薬）第639号	ブロギジルセン	エクソン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	京都府京都市南区吉祥院西ノ庄門口町14 番地	
R6	R6.11.27	（R6薬）第640号	BMS-986278	特発性肺線維症	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	

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ピム又はアズトレオナムとの併用療法 セフェピム/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＞ セフェピム/ナキュバクタムに感性の腸内細菌目細菌、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の腸内細菌目細菌、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	taletrectinib	*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	タファシタマブ（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・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社	東京都千代田有楽町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	イネビリズマブ（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・ラガッツィ・デル・99番地5、ボローニャ、ボローニャ県、イタリア、40133	
R6	R6.12.25	（R6薬）第650号	Odevixibat	アラジール症候群	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8年2月16日）
R6	R6.12.25	（R6薬）第651号	JR-441	ムコ多糖症IIIA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パシフィック	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	ヴィアトリス製薬合同会社	東京都港区麻布台一丁目3 番1 号	アキュリスファーマ株式会社からヴィアトリス製薬合同会社に付け替え（令和7年11月27日）
R6	R6.12.25	（R6薬）第654号	セペトラルスタット	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	ボラシデニブ　クエン酸水和物	*IDH1* 又は*IDH2* 遺伝子変異陽性の神経膠腫	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	レポトレクチニブ	*NTRK*融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌	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	
R6	R6.12.25	（R6薬）第657号	ゾンゲルチニブ	*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	日本ベー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	efzimfotase 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	Nirogacestat	デスモイド腫瘍	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	BI 764198	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	日本ベー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	指定の取消し（令和8年8月24日）
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号神谷町プライムプレイス	
R6	R7.2.28	（R7薬）第667号	フェンフルラミン塩酸塩	*CDKL5*遺伝子欠損症患者におけるてんかん発作の抑制	日本新薬株式会社	京都府京都市南区吉祥院西ノ庄門口町14番地	ユーシービージャパン株式会社から日本新薬株式会社に付け替え（令和8年8月24日）
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	GB002 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	サルグラモスチム（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・再発の唾液腺癌	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・バイオサイエンシズ・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	BI 764198	巣状分節性糸球体硬化症	日本ベー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	アプ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ン血症症候群	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膵癌	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	
R6	R7.3.31	（R7薬）第682号	mirvetuximab soravtansine	葉酸受容体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	タファシタマブ（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・バイオサイエンシズ・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	デュピルマブ（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	
R7	R7.5.30	（R7薬）第687号	elafibranor	原発性胆汁性胆管炎	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階エグゼクティブセンター内	
R7	R7.5.30	（R7薬）第688号	navepegritide	骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症	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	
R7	R7.5.30	（R7薬）第689号	umedaptanib pegol	骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症	株式会社リボミック	東京都港区白金台3-16-13	
R7	R7.5.30	（R7薬）第690号	シベブレンリマブ（遺伝子組換え）	IgA腎症	大塚製薬株式会社	東京都千代田区神田司町2-9	
R7	R7.5.30	（R7薬）第691号	シロリムス	脈管異常に伴う皮膚病変	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	
R7	R7.5.30	（R7薬）第692号	ペグセタコプラン	C3腎症、一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎	Swedish Orphan Biovitrum Japan株式会社	東京都港区虎ノ門二丁目6 番1 号	
R7	R7.5.30	（R7薬）第693号	mezagitamab	慢性特発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	
R7	R7.5.30	（R7薬）第694号	Trofinetide	レット症候群	Acadia Pharmaceuticals Inc.	12830 El Camino Real, Suite 400 San Diego, CA 92130	
R7	R7.5.30	（R7薬）第695号	ネランドミラスト	特発性肺線維症	日本ベー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	
R7	R7.5.30	（R7薬）第696号	ネランドミラスト	進行性肺線維症	日本ベー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	
R7	R7.5.30	（R7薬）第697号	カナキヌマブ（遺伝子組換え）	シュニッツラー症候群	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	
R7	R7.6.27	（R7薬）第698号	setrusumab	骨形成不全症	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	
R7	R7.6.27	（R7薬）第699号	タミバロテン	常染色体顕性（優性）多発性嚢胞腎	リジェネフロ株式会社	京都府京都市左京区吉田下阿達町46-29京都大学医薬系総合研究棟	
R7	R7.6.27	（R7薬）第700号	ラブリズマブ（遺伝子組換え）	造血幹細胞移植後血栓性微小血管症	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	
R7	R7.6.27	（R7薬）第701号	リツキシマブ（遺伝子組換え）	頻回再発型あるいはステロイド依存性のネフローゼ症候群	全薬工業株式会社	東京都文京区大塚５－６－１５	今回の申請における対象疾患は、成人期発症の頻回再発型あるいはステロイド依存性のネフローゼ症候群に限定される。
R7	R7.6.27	（R7薬）第702号	リネリキシバット	原発性胆汁性胆管炎におけるそう痒症	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	
R7	R7.6.27	（R7薬）第703号	Riliprubart	慢性炎症性脱髄性多発根神経炎	サノフィ株式会社	東京都新宿区西新宿三丁目20 番2 号	
R7	R7.6.27	（R7薬）第704号	golcadomide hydrochloride	濾胞性リンパ腫	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	
R7	R7.6.27	（R7薬）第705号	イボシデニブ	がん化学療法後に増悪した*IDH1*遺伝子変異陽性の治癒切除不能な胆道癌	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	
R7	R7.6.27	（R7薬）第706号	リソパリシブメシル酸塩水和物	がん化学療法後に増悪したPIK3CA遺伝子変異を有する進行・再発の卵巣明細胞癌	海和製薬株式会社	東京都港区赤坂五丁目2番33号1403号室	
R7	R7.6.27	（R7薬）第707号	anakinra	全身型若年性特発性関節炎、成人発症スチル病	Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社	東京都港区虎ノ門二丁目6 番1 号	
R7	R7.8.29	（R7薬）第708号	GTX-102	アンジェルマン症候群	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	
R7	R7.8.29	（R7薬）第709号	イネビリズマブ（遺伝子組換え）	全身型重症筋無力症	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	
R7	R7.8.29	（R7薬）第710号	pH4処理酸性人免疫グロブリン	自己免疫性脳炎	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	
R7	R7.8.29	（R7薬）第711号	ポリエチレングリコール処理人免疫グロブリン	自己免疫性脳炎	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	
R7	R7.8.29	（R7薬）第712号	アンセラミマブ（遺伝子組換え）	全身性AL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	
R7	R7.8.29	（R7薬）第713号	ウステキヌマブ（遺伝子組換え）	中等症から重症の活動期クローン病の導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）	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	中等症から重症の活動期クローン病の導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、小児に限る。
R7	R7.8.29	（R7薬）第714号	ウステキヌマブ（遺伝子組換え）	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）	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	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、小児に限る。
R7	R7.8.29	（R7薬）第715号	グセルクマブ（遺伝子組換え）	中等症から重症の活動期クローン病の治療（既存治療で効果不十分な場合に限る）	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	中等症から重症の活動期クローン病の治療（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、小児に限る。
R7	R7.8.29	（R7薬）第716号	グセルクマブ（遺伝子組換え）	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）	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	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、小児に限る。
R7	R7.8.29	（R7薬）第717号	ニポカリマブ（遺伝子組換え）	温式自己免疫性溶血性貧血	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	
R7	R7.8.29	（R7薬）第718号	フェニル酪酸ナトリウム	進行性家族性肝内胆汁うっ滞症	株式会社オーファンパシフィック	東京都港区芝浦一丁目1番1号	

R7	R7.8.29	（R7薬）第719号	Mosliciguat	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	Pulmovant, Inc.	アメリカ合衆国、ニューヨーク州、ニューヨーク、西42番通り151番地	
R7	R7.8.29	（R7薬）第720号	dazodalibep	シェーグレン症候群	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	
R7	R7.8.29	（R7薬）第721号	リサンキズマブ（遺伝子組換え）	既存治療で効果不十分な膿疱性乾癬	アッヴィ合同会社	東京都港区芝浦三丁目１番21 号	既存治療で効果不十分な膿疱性乾癬のうち、小児に限る。
R7	R7.8.29	（R7薬）第722号	TAR-200	BCG不応性の上皮内癌を有する高リスク筋層非浸潤性膀胱癌	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	指定の取消し（令和8年5月18日）
R7	R7.8.29	（R7薬）第723号	タゼメトスタット臭化水素酸塩	がん化学療法後に増悪したINI1 陰性の切除不能な類上皮肉腫	エーザイ株式会社	東京都文京区小石川四丁目6番10号	指定の取消し（令和8年8月24日）
R7	R7.9.29	（R7薬）第724号	Atacicept	IgA腎症	Vera Therapeutics, Inc	2000 Sierra Point Parkway, Suite 1200 Brisbane, CA 94005	
R7	R7.9.29	（R7薬）第725号	レパゲルマニウム	巣状分節性糸球体硬化症	扶桑薬品工業株式会社	大阪府大阪市中央区道修町一丁目7番10号	
R7	R7.9.29	（R7薬）第726号	JR-446	ムコ多糖症IIIB型	JCRファーマ株式会社	兵庫県芦屋市春日町3 番19 号	
R7	R7.9.29	（R7薬）第727号	TRG035	重症型先天性部分無歯症	トレジェムバイオファーマ株式会社	京都府京都市上京区河原町通今出川下る梶井町448-5	
R7	R7.9.29	（R7薬）第728号	zeleciment rostudirsen	エクソン51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	Dyne Therapeutics, Inc.	1560 Trapelo Rd, Waltham, MA 02451, USA	
R7	R7.9.29	（R7薬）第729号	TEV-56286	多系統萎縮症	テバ・リサーチ・インスティテュート合同会社	東京都渋谷区恵比寿4-20-3 恵比寿ガーデンプレイスタワー18階	
R7	R7.9.29	（R7薬）第730号	Oveporexton	ナルコレプシータイプ1	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	
R7	R7.9.29	（R7薬）第731号	デュークラバシチニブ	シェーグレン症候群	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1-2-1	
R7	R7.9.29	（R7薬）第732号	Buloxibutid	特発性肺線維症	日本新薬株式会社	京都府京都市南区吉祥院西ノ庄門口町14 番地	
R7	R7.9.29	（R7薬）第733号	brincidofovir	臓器移植（造血幹細胞移植も含む）におけるアデノウイルス感染症の治療	シンバイオ製薬株式会社	東京都港区虎ノ門4 － 1 － 28	
R7	R7.11.27	（R7薬）第734号	メザギタマブ（遺伝子組換え）	IgA腎症	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	
R7	R7.11.27	（R7薬）第735号	Povetacicept	IgA腎症	Vertex Pharmaceuticals Inc	50 Northern Avenue、Boston, Mass. 02210 United States	
R7	R7.11.27	（R7薬）第736号	イプタコパン塩酸塩水和物	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	
R7	R7.11.27	（R7薬）第737号	VX-670	筋強直性ジストロフィー1型	Vertex Pharmaceuticals Incorporated	50 Northern Avenue Boston, Massachusetts. 02210, United States	
R7	R7.11.27	（R7薬）第738号	KUS121	網膜中心動脈閉塞症における視力低下の改善	株式会社京都創薬研究所	大阪府茨木市彩都あさぎ7丁目7番18号 彩都バイオヒルズセンター302号室	
R7	R7.11.27	（R7薬）第739号	Empasiprubart	多巣性運動ニューロパチー	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８号	
R7	R7.11.27	（R7薬）第740号	Empasiprubart	慢性炎症性脱髄性多発根神経炎	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８号	
R7	R7.11.27	（R7薬）第741号	Tovorafenib	*BRAF*遺伝子変異又は融合遺伝子を有する低悪性度神経膠腫	IPSEN株式会社	東京都千代田区永田町二丁目１１番１号山王パークタワー3階	
R7	R7.11.27	（R7薬）第742号	ツシジノスタット	根治切除不能な悪性黒色腫	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	
R7	R7.11.27	（R7薬）第743号	ニボカリマブ（遺伝子組換え）	シェーグレン症候群	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	
R7	R7.11.27	（R7薬）第744号	Lutikizumab	化膿性汗腺炎	アッヴィ合同会社	東京都港区芝浦三丁目１ 番21 号	
R7	R7.11.27	（R7薬）第745号	エマパルマブ（遺伝子組換え）	全身型若年性特発性関節炎又は成人発症スチル病に伴うマクロファージ活性化症候群	Swedish Orphan Biovitrum Japan株式会社	東京都港区虎ノ門二丁目6 番1 号	
R7	R7.12.23	（R7薬）第746号	Garetosmab	進行性骨化性線維異形成症	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番1号虎ノ門ヒルズステーションタワー18階	
R7	R7.12.23	（R7薬）第747号	シロリムス	自己免疫性血球減少、リンパ増殖又は腸炎を伴う	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	
R7	R7.12.23	（R7薬）第748号	ポリエチレングリコール処理人免疫グロブリン	新生児ヘモクロマトーシスの発症抑制	一般社団法人日本血液製剤機構	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 15階	
R7	R7.12.23	（R7薬）第749号	リルザブルチニブ	温式自己免疫性溶血性貧血	サノフィ株式会社	東京都新宿区西新宿三丁目20 番2 号	
R7	R7.12.23	（R7薬）第750号	YA-101	多系統萎縮症	Yoda Therapeutics Inc.	17F., No.3, Park St., Nangang Dist., Taipei City 11503, Taiwan	
R7	R7.12.23	（R7薬）第751号	zeleciment basivarsen	筋強直性ジストロフィー1型	Dyne Therapeutics, Inc.	1560 Trapelo Rd, Waltham, MA 02451, USA	
R7	R7.12.23	（R7薬）第752号	Telitacicept	全身型重症筋無力症	RemeGen Co., Ltd.	58 Beijing Middle Road, Yantai Shandong, China	
R7	R7.12.23	（R7薬）第753号	divarasib	KRAS G12C 変異陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目５ 番1 号	
R7	R7.12.23	（R7薬）第754号	セミプリマブ（遺伝子組換え）	根治切除不能な進行・再発の有棘細胞癌、再発高リスクの有棘細胞癌における術後補助療法	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番1号	
R7	R7.12.23	（R7薬）第755号	チスレリズマブ（遺伝子組換え）	再発又は遠隔転移を有する上咽頭癌	ビーワン・メディシンズ合同会社	東京都港区東新橋一丁目5 番2 号汐留シティセンター	
R7	R7.12.23	（R7薬）第756号	デュークラバシチニブ	全身性エリテマトーデス	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1-2-1	
R7	R8.2.16	（R8薬）第757号	E2086	ナルコレプシー	エーザイ株式会社	東京都文京区小石川四丁目6 番10 号	
R7	R8.2.16	（R8薬）第758号	メキシレチン塩酸塩	球脊髄性筋萎縮症	太陽ファルマ株式会社	東京都千代田区丸の内一丁目6番5号	
R7	R8.2.16	（R8薬）第759号	BAY 3401016	アルポート症候群	バイエル薬品株式会社	大阪府大阪市北区梅田 2－4－9	
R7	R8.2.16	（R8薬）第760号	パルツソチン塩酸塩	先端巨大症・下垂体性巨人症	株式会社三和化学研究所	愛知県名古屋市東区東外堀町35 番地	
R7	R8.2.16	（R8薬）第761号	アキサチリマブ（遺伝子組換え）	造血幹細胞移植後の慢性移植片対宿主病	インサイト・バイオサイエンシズ・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	
R7	R8.2.16	（R8薬）第762号	テゼペルマブ（遺伝子組換え）	好酸球性食道炎	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	
R7	R8.2.16	（R8薬）第763号	リルザブルチニブ	IgG4 関連疾患	サノフィ株式会社	東京都新宿区西新宿三丁目20 番2 号	
R7	R8.2.16	（R8薬）第764号	アニフロルマブ（遺伝子組換え）	全身性強皮症	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	
R7	R8.2.16	（R8薬）第765号	グローフィタマブ（遺伝子組換え）	大細胞型 B 細胞リンパ腫	中外製薬株式会社	東京都北区浮間5丁目5番1号	
R7	R8.2.16	（R8薬）第766号	ザヌブルチニブ	再発又は難治性の辺縁帯リンパ腫	ビーワン・メディシンズ合同会社	東京都港区東新橋一丁目5 番2 号汐留シティセンター	
R7	R8.2.16	（R8薬）第767号	ツカチニブ エタノール付加物	がん化学療法後に増悪した HER2 陽性の治癒切除不能な胆道癌	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	
R7	R8.2.16	（R8薬）第768号	ドルダビブロン塩酸塩	H3 K27M 変異を有するびまん性正中膠腫	大原薬品工業株式会社	滋賀県甲賀市甲賀町鳥居野121 番地15	
R7	R8.2.16	（R8薬）第769号	ポナチニブ塩酸塩	フィラデルフィア染色体陽性急性リンパ性白血病	大塚製薬株式会社	東京都千代田区神田司町2-9	
R7	R8.3.19	（R8薬）第770号	ウパダシチニブ水和物	既存治療で効果不十分な高安動脈炎	アッヴィ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1番21号	
R7	R8.3.19	（R8薬）第771号	ianalumab	シェーグレン症候群	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	

R7	R8.3.19	（R8薬）第772号	オキソドトレオチド	神経内分泌腫瘍の診断におけるソマトスタチン受容体陽電子放出断層撮影	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	
R7	R8.3.19	（R8薬）第773号	アミノレブリン酸塩酸塩	尿管鏡観察時における腎盂・尿管癌の可視化	SBIファーマ株式会社	東京都港区六本木一丁目6番1号	
R7	R8.3.19	（R8薬）第774号	Bleximenib	*KMT2A*遺伝子再構成又はNPM1遺伝子変異を有する急性骨髄性白血病	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	
R7	R8.3.19	（R8薬）第775号	Risvutatug Rezetecan	小細胞肺癌	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	
R7	R8.3.19	（R8薬）第776号	lurbinectedin	小細胞肺癌	メルクバイオファーマ株式会社	東京都港区麻布台1-3-1 麻布台ヒルズ 森JPタワー	小細胞肺癌のうち、「進展型小細胞肺癌における初回化学療法後の維持療法」に限る。
R7	R8.3.19	（R8薬）第777号	Ripretinib	がん化学療法後に増悪した消化管間質腫瘍	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	
R7	R8.3.19	（R8薬）第778号	ゴルカドミド塩酸塩	再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫	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	
R7	R8.3.19	（R8薬）第779号	ビミコチニブ塩酸塩水和物	腱滑膜巨細胞	メルクバイオファーマ株式会社	東京都港区麻布台1-3-1	
R7	R8.3.19	（R8薬）第780号	一酸化窒素	肺動脈性肺高血圧症又は慢性血栓塞栓性肺高血圧症に伴う右心不全の改善	Mallinckrodt Manufacturing LLC	440 Route 22 East,Suite 302 Bridgewater,NJ 08807 USA	
R7	R8.3.19	（R8薬）第781号	Aficamten	閉塞性肥大型心筋症	バイエル薬品株式会社	大阪府大阪市北区梅田２－４－９	閉塞性肥大型心筋症のうち、小児に限る。
R7	R8.3.19	（R8薬）第782号	Aficamten	非閉塞性肥大型心筋症	バイエル薬品株式会社	大阪府大阪市北区梅田２－４－９	
R7	R8.3.19	（R8薬）第783号	serabelisib	難治性脈管奇形	科研製薬株式会社	東京都文京区本駒込二丁目28番8号	
R7	R8.3.19	（R8薬）第784号	イブタコパン塩酸塩水和物	一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎	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	
R7	R8.3.19	（R8薬）第785号	ボソリチド（遺伝子組換え）	骨端線閉鎖を伴わない軟骨低形成症	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	
R7	R8.3.19	（R8薬）第786号	ミリキズマブ（遺伝子組換え）	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）	日本イーライリリー株式会社	神戸市中央区磯上通5-1-28	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、小児に限る。
R7	R8.3.19	（R8薬）第787号	ラブリズマブ（遺伝子組換え）	腎移植時の移植片機能発現遅延の抑制	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	
R8	R8.5.18	（R8薬）第788号	Lu AG13909	先天性副腎過形成症	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号神谷町プライムプレイス	
R8	R8.5.18	（R8薬）第789号	Lu AG13909	クッシング病	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号神谷町プライムプレイス	
R8	R8.5.18	（R8薬）第790号	velmanase alfa	α－マンノシドーシス	キエジ・ファーマ・ジャパン株式会社	東京都千代田区大手町一丁目１番1号	
R8	R8.5.18	（R8薬）第791号	felzartamab	IgA 腎症	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	
R8	R8.5.18	（R8薬）第792号	felzartamab	原発性膜性腎症	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	
R8	R8.5.18	（R8薬）第793号	ポボルシチニブリン酸塩	化膿性汗腺炎	インサイト・バイオサイエンシズ・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	
R8	R8.5.18	（R8薬）第794号	Daraxonrasib	治癒切除不能な膵癌	Revolution Medicines, Inc.	700 Saginaw Drive Redwood City, CA 94063, USA	
R8	R8.5.18	（R8薬）第795号	ニボルマブ（遺伝子組換え）	根治切除不能な甲状腺未分化癌	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	
R8	R8.5.18	（R8薬）第796号	チラブルチニブ塩酸塩	悪性リンパ腫の中枢神経系への浸潤（既存治療が効果不十分又は不適当な場合に限る）	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	
R8	R8.5.18	（R8薬）第797号	ramantamig	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	
R8	R8.5.18	（R8薬）第798号	TAR-200	BCG 療法後に再発した上皮内癌を有する高リスク筋層非浸潤性膀胱癌	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	
R8	R8.5.18	（R8薬）第799号	NXT007	先天性血友病 A 患者における出血傾向の抑制	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号	
R8	R8.6.23	（R8薬）第800号	donidalorsen	遺伝性血管性浮腫の急性発作の発症抑制	大塚製薬株式会社	東京都千代田区神田司町2-9	
R8	R8.6.23	（R8薬）第801号	Imsidolimab	膿疱性乾癬	Vanda Pharmaceuticals Inc.	2200 Pennsylvania Avenue NW Suite 300E Washington, DC 20037 United States	
R8	R8.6.23	（R8薬）第802号	アミノレブリン酸塩酸塩	卵巣癌の腫瘍減量手術における腹膜播種の可視化	SBIファーマ株式会社	東京都港区六本木一丁目6番1号	
R8	R8.6.23	（R8薬）第803号	NS-035	福山型先天性筋ジストロフィー	日本新薬株式会社	京都府京都市南区吉祥院西ノ庄門口町14 番地	
R8	R8.6.23	（R8薬）第804号	バミキバルト（遺伝子組換え）	非感染性ぶどう膜炎に伴う黄斑浮腫	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号	
R8	R8.6.23	（R8薬）第805号	Dipalmitoyl hydroxyproline	ネザートン症候群	Quoin Pharmaceuticals, Ltd.	42127 Pleasant Forest Court Ashburn, VA, 20148-7349	
R8	R8.6.23	（R8薬）第806号	KK8398	骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症	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	
R8	R8.6.23	（R8薬）第807号	オビヌツズマブ（遺伝子組換え）	ループス腎炎	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号	
R8	R8.6.23	（R8薬）第808号	ペドリズマブ（遺伝子組換え）	中等症から重症の活動期クローン病の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）	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	中等症から重症の活動期クローン病の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、小児に限る。
R8	R8.6.23	（R8薬）第809号	ペドリズマブ（遺伝子組換え）	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）	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	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、小児に限る。
R8	R8.6.23	（R8薬）第810号	ヒト骨形成因子2（遺伝子組換え）	自家骨移植が必要な偽関節	藤本製薬株式会社	大阪府松原市西大塚1丁目3番40号	
R8	R8.8.24	（R8薬）第811号	Mecasermin rinfabate	気管支肺異形成症の発症抑制	OHB Neonatology Ltd.	1 Ashley Road, 3rd Floor, Altrincham, Cheshire, United Kingdom, WA14 2DT	
R8	R8.8.24	（R8薬）第812号	rogocekib	再発又は難治性の急性骨髄性白血病	Chordia Therapeutics 株式会社	神奈川県藤沢市村岡東二丁目26 番地の1	
R8	R8.8.24	（R8薬）第813号	ziftomenib	*NPM1*遺伝子変異又は*KMT2A*遺伝子再構成を有する急性骨髄性白血病	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	
R8	R8.8.24	（R8薬）第814号	エンゾメニブ酒石酸塩	*KMT2A*遺伝子再構成又は*NPM1*遺伝子変異を有する急性骨髄性白血病 再発又は難治性の*KMT2A*遺伝子再構成を有する急性リンパ性白血病	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	
R8	R8.8.24	（R8薬）第815号	Gildeuretinol Acetate	スタルガルト病	Alkeus Pharmaceuticals, Inc.	44 Brattle Street, Floor 2, Cambridge, MA 02138, USA	
R8	R8.8.24	（R8薬）第816号	ロザノリキシズマブ（遺伝子組換え）	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	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	

R8	R8.8.24	（R8薬）第817号	bitopertin	赤芽球性プロトポルフィリン症及びX 連鎖性プロトポルフィリン症	Disc Medicine, Inc.	321 Arsenal Street, Suite 101, Watertown, MA 02472, United States	
R8	R8.8.24	（R8薬）第818号	エテンタミグ（遺伝子組換え）	全身性AL アミロイドーシス	アッヴィ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1番21号	
R8	R8.8.24	（R8薬）第819号	KK8398	骨端線閉鎖を伴わない軟骨低形成症	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	
R8	R8.8.24	（R8薬）第820号	Pegzilarginase	アルギナーゼ1 欠損症	Immedica Pharma AB	Solnavägen 3 H SE-113 63 Stockholm, Sweden	
R8	R8.8.24	（R8薬）第821号	tiratricol	MCT8欠損症	藤本製薬株式会社	大阪府松原市西大塚1丁目3番40号	
R8	R8.9.25	（R8薬）第822号	ウパダシチニブ水和物	化膿性汗腺炎	アッヴィ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1番21号	
R8	R8.9.25	（R8薬）第823号	cevostamab	再発又は難治性の多発性骨髄腫	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目5番1号	
R8	R8.9.25	（R8薬）第824号	Opamtistomig	肺外神経内分泌癌	Nanjing Leads Biolabs Co., LTD	中華人民共和国 江蘇省南京市建業区嘉陵江東街18号3号館7階711室	
R8	R8.9.25	（R8薬）第825号	Sapablursen	真性多血症	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	
R8	R8.9.25	（R8薬）第826号	TM5614	がん化学療法後に増悪した切除不能な皮膚血管肉腫	株式会社レナサイエンス	宮城県仙台市青葉区星陵町2-1医学部6号館202	
R8	R8.9.25	（R8薬）第827号	Givinostat	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	JCRファーマ株式会社	兵庫県芦屋市春日町3番19号	
R8	R8.9.25	（R8薬）第828号	Apitegromab	脊髄性筋萎縮症	スカラー・ロック・ジャパン合同会社	東京都港区赤坂一丁目12番32号アーク森ビル12階	
R8	R8.9.25	（R8薬）第829号	ラブリズマブ（遺伝子組換え）	視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防	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	視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防のうち、小児に限る。
R8	R8.9.25	（R8薬）第830号	Oleogel-S10	栄養障害型及び接合部型表皮水疱症	キエジ・ファーマ・ジャパン株式会社	東京都千代田区大手町一丁目1番1号	
R8	R8.9.25	（R8薬）第831号	zigakibart	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	
R8	R8.9.25	（R8薬）第832号	イネビリズマブ（遺伝子組換え）	一次性膜性腎症	田辺ファーマ株式会社	大阪府大阪市中央区道修町3-2-10	
R8	R8.9.25	（R8薬）第833号	ウパダシチニブ水和物	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）	アッヴィ合同会社	東京都港区芝浦三丁目1番21号	中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、小児に限る。
R8	R8.11.16	（R8薬）第834号	rusfertide	真性多血症	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第835号	Surovatamig	濾胞性リンパ腫	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第836号	Surovatamig	大細胞型B細胞リンパ腫	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第837号	velzatinib	消化管間質腫瘍	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第838号	vimseltinib	腱滑膜巨細胞腫	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第839号	セルペルカチニブ	*RET*融合遺伝子陽性の非小細胞肺癌における根治的局所療法後の補助療法	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第840号	トラスツズマブ デルクステカン（遺伝子組換え）	HER2発現の進行・再発の子宮癌肉腫	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第841号	ニボルマブ（遺伝子組換え）	再発又は難治性の成人T細胞白血病リンパ腫	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第842号	ルスパテルセプト（遺伝子組換え）	骨髄線維症に伴う貧血	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第843号	アドミルパラント	進行性肺線維症	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第844号	モメロチニブ塩酸塩水和物	VEXAS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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第845号	tulisokibart	化膿性汗腺炎	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第846号	deucrictibant	遺伝性血管性浮腫の急性発作の発症抑制	Pharvaris Netherlands B.V.	J.H. Oortweg 21, 2333 CH Leiden, Netherlands	
R8	R8.11.16	（R8薬）第847号	deucrictibant	後天性血管性浮腫の急性発作、後天性血管性浮腫の急性発作の発症抑制	Pharvaris Netherlands B.V.	J.H. Oortweg 21, 2333 CH Leiden, Netherlands	
R8	R8.11.16	（R8薬）第848号	デネシミグ（遺伝子組換え）	先天性血液凝固第Ⅷ因子欠乏患者における出血傾向の抑制	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	
R8	R8.11.16	（R8薬）第849号	Atumelnant	先天性副腎過形成症	Crinetics Pharmaceuticals, Inc.	6055 Lusk Blvd San Diego, CA 92121, USA	
R8	R8.11.16	（R8薬）第850号	repinatrabit	フェニルケトン尿症	大塚製薬株式会社	東京都千代田区神田司町2-9	
R8	R8.11.16	（R8薬）第851号	Varegacestat	デスモイド腫瘍	Immunome, Inc.	18702 North Creek Parkway, Suite 100, Bothell, WA 98011, USA	
R8	R8.11.16	（R8薬）第852号	クロバリマブ（遺伝子組換え）	非典型溶血性尿毒症症候群	中外製薬株式会社	東京都北区浮間五丁目 5 番 1 号	
R8	R8.11.16	（R8薬）第853号	タミバロテン	アルポート症候群	リジェネフロ株式会社	京都府京都市左京区吉田下阿達町46-29 京都大学医薬系総合研究棟	
R8	R8.11.16	（R8薬）第854号	Rosolutamide	球脊髄性筋萎縮症	AnnJi Pharmaceutical Co., Ltd	台湾 台北市 南港区 忠孝東路七段508号16階6号室	
R8	R8.11.16	（R8薬）第855号	coramitug	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）	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	