

医薬薬審発 0829 第 1 号  
令和 7 年 8 月 29 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下記 1. の医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき、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. の医薬品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 : (16 薬) 第 174 号  
医 薬 品 の 名 称 : ホスアンプレナビルカルシウム水和物  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : HIV 感染症  
氏 名 又 は 名 称 : ヴィーブヘルスケア株式会社
- (2) 指 定 番 号 : (R4 薬) 第 536 号  
医 薬 品 の 名 称 : 乾燥ポリエチレングリコール処理人免疫グロブリン  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 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）  
氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社

## 2. 指定

(1) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 0 8 号

医 薬 品 の 名 称 : GTX-102

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : アンジェルマン症候群

氏 名 又 は 名 称 : Ultragenyx Japan 株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(2) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 0 9 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 : 全身型重症筋無力症

氏 名 又 は 名 称 : 田辺三菱製薬株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当

(3) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 0 号

医 薬 品 の 名 称 : pH4 処理酸性人免疫グロブリン

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 自己免疫性脳炎

氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(4) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 1 号

医 薬 品 の 名 称 : ポリエチレングリコール処理人免疫グロブリン

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 自己免疫性脳炎

氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(5) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 2 号

医 薬 品 の 名 称 : アンセラミマブ (遺伝子組換え)

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 全身性 AL アミロイドーシス

氏 名 又 は 名 称 : アレクシオンファーマ合同会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当

(6) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 3 号

医 薬 品 の 名 称 : ウステキヌマブ (遺伝子組換え)

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 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)

氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当

備 考 : 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。

(7)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 4 号  
医 薬 品 の 名 称 : ウステキヌマブ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 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り)  
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当  
備 考 : 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り)  
のうち、小児に限る。

(8)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 5 号  
医 薬 品 の 名 称 : グセルクマブ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 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り)  
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当  
備 考 : 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り) のうち、小児に限  
る。

(9)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 6 号  
医 薬 品 の 名 称 : グセルクマブ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 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り)  
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当  
備 考 : 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り)  
のうち、小児に限る。

(10)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 7 号  
医 薬 品 の 名 称 : ニポカリマブ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 温式自己免疫性溶血性貧血  
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(11)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 8 号  
医 薬 品 の 名 称 : フェニル酪酸ナトリウム  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 進行性家族性肝内胆汁うっ滞症

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

(12)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 1 9 号  
医 薬 品 の 名 称：Moslicigat  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：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

氏 名 又 は 名 称：Pulmovant, Inc.  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(13)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 2 0 号  
医 薬 品 の 名 称：dazodalibep  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：シェーグレン症候群  
氏 名 又 は 名 称：アムジェン株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(14)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 2 1 号  
医 薬 品 の 名 称：リサンキズマブ（遺伝子組換え）  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：既存治療で効果不十分な膿疱性乾癬  
氏 名 又 は 名 称：アッヴィ合同会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当  
備 考：既存治療で効果不十分な膿疱性乾癬のうち、小児  
に限る。

(15)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 2 2 号  
医 薬 品 の 名 称：TAR-200  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：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  
氏 名 又 は 名 称：ヤンセンファーマ株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(16)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 2 3 号  
医 薬 品 の 名 称：タゼメトスタット臭化水素酸塩  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：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  
氏 名 又 は 名 称：エーザイ株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当