

医薬薬審発 1223 第 1 号
令和 7 年 12 月 23 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：(R 6 薬) 第 617 号
医薬品の名称：センダキマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：好酸球性胃腸炎
氏名又は名称：ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

- (2) 指定番号：(R 6 薬) 第 618 号

医薬品の名称：センダキマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：好酸球性食道炎
氏名又は名称：ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

2. 指定

- (1) 指定番号：(R 7 薬) 第 746 号
医薬品の名称：Garetsmab

予定される効能又は効果：進行性骨化性線維異形成症
氏名又は名称：リジエネロン・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：該当

(2)指定番号：(R7薬)第747号
医薬品の名称：シロリムス
予定される効能又は効果：自己免疫性血球減少、リンパ増殖又は腸炎を伴う
原発性免疫不全症候群
氏名又は名称：ノーベルファーマ株式会社
優先審査・優先相談：該当

(3)指定番号：(R7薬)第748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：新生児ヘモクロマトーシスの発症抑制
氏名又は名称：一般社団法人日本血液製剤機構
優先審査・優先相談：該当

(4)指定番号：(R7薬)第749号
医薬品の名称：リルザブルチニブ
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：サノフィ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(5)指定番号：(R7薬)第750号
医薬品の名称：YA-101
予定される効能又は効果：多系統萎縮症
氏名又は名称：Yoda Therapeutics Inc.
優先審査・優先相談：非該当

(6)指定番号：(R7薬)第751号
医薬品の名称：zeleciment basivarsen
予定される効能又は効果：筋強直性ジストロフィー1型
氏名又は名称：Dyne Therapeutics, Inc.
優先審査・優先相談：該当

(7)指定番号：(R7薬)第752号
医薬品の名称：Telitacicept
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：RemeGen Co., Ltd.
優先審査・優先相談：非該当

- (8)指 定 番 号 : (R7薬)第753号
医 薬 品 の 名 称 : divarasib
予定される効能又は効果 : KRAS G12C 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 : 中外製薬株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当
- (9)指 定 番 号 : (R7薬)第754号
医 薬 品 の 名 称 : セミプリマブ (遺伝子組換え)
予定される効能又は効果 : 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
氏 名 又 は 名 称 : リジエネロン・ジャパン株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該当
- (10)指 定 番 号 : (R7薬)第755号
医 薬 品 の 名 称 : チスレリズマブ (遺伝子組換え)
予定される効能又は効果 : 再発又は遠隔転移を有する上咽頭癌
氏 名 又 は 名 称 : ビーワン・メディシンズ合同会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該当
- (11)指 定 番 号 : (R7薬)第756号
医 薬 品 の 名 称 : デュークラバシチニブ
予定される効能又は効果 : 全身性エリテマトーデス
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