

医薬薬審発 0319 第 1 号
令和 8 年 3 月 19 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 : (R6薬) 第 6 2 1 号
医 薬 品 の 名 称 : フェドラチニブ塩酸塩水和物
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 骨髄線維症
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

(2) 指 定 番 号 : (27薬) 第 3 7 1 号
医 薬 品 の 名 称 : スルファジアジン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : トキソプラズマ症
氏 名 又 は 名 称 : ノバルティスファーマ株式会社

2. 指定

- (1) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 2 1 号
医 薬 品 の 名 称 : フェドラチニブ塩酸塩水和物
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 骨髄線維症
氏 名 又 は 名 称 : レコルダティ・レア・ディジーズ・ジャパン株式
会 社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当
- (2) 指 定 番 号 : (R 8 薬) 第 7 7 0 号
医 薬 品 の 名 称 : ウパダシチニブ水和物
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 既存治療で効果不十分な高安動脈炎
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
- (3) 指 定 番 号 : (R 8 薬) 第 7 7 1 号
医 薬 品 の 名 称 : ianalumab
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 : ノバルティスファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (4) 指 定 番 号 : (R 8 薬) 第 7 7 2 号
医 薬 品 の 名 称 : オキシドトレオチド
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 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
氏 名 又 は 名 称 : ノバルティスファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (5) 指 定 番 号 : (R 8 薬) 第 7 7 3 号
医 薬 品 の 名 称 : アミノレブリン酸塩酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 尿管鏡観察時における腎盂・尿管癌の可視化
氏 名 又 は 名 称 : SBI ファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当
- (6) 指 定 番 号 : (R 8 薬) 第 7 7 4 号
医 薬 品 の 名 称 : Bleximenib
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : *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
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

- (7)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 7 5 号
医 薬 品 の 名 称：Risvutatumab Receptan
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：小細胞肺癌
氏 名 又 は 名 称：グラクソ・スミスクライン株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当
- (8)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 7 6 号
医 薬 品 の 名 称：lurbinectedin
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：小細胞肺癌
氏 名 又 は 名 称：メルクバイオフーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当（ただし、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）
- (9)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 7 7 号
医 薬 品 の 名 称：Ripretinib
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：がん化学療法後に増悪した消化管間質腫瘍
氏 名 又 は 名 称：小野薬品工業株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当
- (10)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 7 8 号
医 薬 品 の 名 称：ゴルカドミド塩酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：再発又は難治性の末梢性 T 細胞リンパ腫
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
- (11)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 7 9 号
医 薬 品 の 名 称：ピミコチニブ塩酸塩水和物
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：臍滑膜巨細胞腫
氏 名 又 は 名 称：メルクバイオフーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当
- (12)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 8 0 号
医 薬 品 の 名 称：一酸化窒素
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：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
氏 名 又 は 名 称：Mallinckrodt Manufacturing LLC
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当
- (13)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 7 8 1 号

医薬品の名称：Aficamten
予定される効能又は効果：閉塞性肥大型心筋症
氏名又は名称：バイエル薬品株式会社
優先審査・優先相談：該当
備考：閉塞性肥大型心筋症のうち、小児に限る。

(14)指 定 番 号：(R8薬)第782号
医薬品の名称：Aficamten
予定される効能又は効果：非閉塞性肥大型心筋症
氏名又は名称：バイエル薬品株式会社
優先審査・優先相談：該当

(15)指 定 番 号：(R8薬)第783号
医薬品の名称：serabelisib
予定される効能又は効果：難治性脈管奇形
氏名又は名称：科研製薬株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(16)指 定 番 号：(R8薬)第784号
医薬品の名称：イプタコパン塩酸塩水和物
予定される効能又は効果：一次性免疫複合体膜性増殖性糸球体腎炎
氏名又は名称：ノバルティスファーマ株式会社
優先審査・優先相談：該当

(17)指 定 番 号：(R8薬)第785号
医薬品の名称：ボソリチド（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：骨端線閉鎖を伴わない軟骨低形成症
氏名又は名称：BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(16)指 定 番 号：(R8薬)第786号
医薬品の名称：ミリキズマブ（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る）
氏名又は名称：日本イーライリリー株式会社
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る）のうち、小児に限る。

(17)指 定 番 号：(R8薬)第787号

医 薬 品 の 名 称：ラブリズムブ(遺伝子組換え)

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：腎移植時の移植片機能発現遅延の抑制

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：該当