

医薬薬審発 0623 第 1 号  
令和 8 年 6 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 )

### 希少疾病用医薬品における指定取消し、指定等について

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。

また、下記 3. の医薬品について、今般、『「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について』（令和 6 年 1 月 16 日医薬薬審発 0116 第 1 号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長、医薬機審発 0116 第 1 号医療機器審査管理課長連名通知）に基づき、優先審査及び優先相談の該当性に変更があったので、通知する。

### 記

#### 1. 指定の取消し

(1) 指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 0 3 号

医 薬 品 の 名 称：cannabidiol

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：Dravet 症候群におけるてんかん発作

氏 名 又 は 名 称：ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(2) 指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 0 4 号

医 薬 品 の 名 称：cannabidiol

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：Lennox-Gastaut 症候群におけるてんかん発作

氏名又は名称：ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会社  
優先審査・優先相談：該当

(3)指 定 番 号：(R6薬)第605号

医薬品の名称：cannabidiol

予定される効能又は効果：結節性硬化症におけるてんかん発作

氏名又は名称：ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会社

優先審査・優先相談：該当

## 2. 指定

(1)指 定 番 号：(R6薬)第603号

医薬品の名称：cannabidiol

予定される効能又は効果：Dravet 症候群におけるてんかん発作

氏名又は名称：日本臓器製薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(2)指 定 番 号：(R6薬)第604号

医薬品の名称：cannabidiol

予定される効能又は効果：Lennox-Gastaut 症候群におけるてんかん発作

氏名又は名称：日本臓器製薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(3)指 定 番 号：(R6薬)第605号

医薬品の名称：cannabidiol

予定される効能又は効果：結節性硬化症におけるてんかん発作

氏名又は名称：日本臓器製薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(4)指 定 番 号：(R8薬)第800号

医薬品の名称：donidalorsen

予定される効能又は効果：遺伝性血管性浮腫の急性発作の発症抑制

氏名又は名称：大塚製薬株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(5)指 定 番 号：(R8薬)第801号

医薬品の名称：Imsidolimab

予定される効能又は効果：膿疱性乾癬

氏名又は名称：Vanda Pharmaceuticals Inc.  
優先審査・優先相談：非該当

(6)指 定 番 号：(R8薬)第802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：卵巣癌の腫瘍減量手術における腹膜播種の可視化  
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

(7)指 定 番 号：(R8薬)第803号  
医薬品の名称：NS-035  
予定される効能又は効果：福山型先天性筋ジストロフィー  
氏名又は名称：日本新薬株式会社  
優先審査・優先相談：該当

(8)指 定 番 号：(R8薬)第804号  
医薬品の名称：バミキバルト（遺伝子組換え）  
予定される効能又は効果：非感染性ぶどう膜炎に伴う黄斑浮腫  
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：(R8薬)第805号  
医薬品の名称：Dipalmitoyl hydroxyproline  
予定される効能又は効果：ネザートン症候群  
氏名又は名称：Quoin Pharmaceuticals, Ltd.  
優先審査・優先相談：該当

(10)指 定 番 号：(R8薬)第806号  
医薬品の名称：KK8398  
予定される効能又は効果：骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症  
氏名又は名称：協和キリン株式会社  
優先審査・優先相談：非該当

(11)指 定 番 号：(R8薬)第807号  
医薬品の名称：オビヌツズマブ（遺伝子組換え）  
予定される効能又は効果：ループス腎炎  
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

(12)指 定 番 号：(R8薬)第808号  
医 薬 品 の 名 称：ベドリズマブ（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）  
氏 名 又 は 名 称：武田薬品工業株式会社  
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。

(13)指 定 番 号：(R8薬)第809号  
医 薬 品 の 名 称：ベドリズマブ（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治療及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）  
氏 名 又 は 名 称：武田薬品工業株式会社  
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。

(14)指 定 番 号：(R8薬)第810号  
医 薬 品 の 名 称：ヒト骨形成因子2（遺伝子組換え）  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：自家骨移植が必要な偽関節  
氏 名 又 は 名 称：藤本製薬株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

### 3. 優先審査及び優先相談の該当性に変更のあった品目

(1)指 定 番 号：(R6薬)第628号  
医 薬 品 の 名 称：ボロファラン<sup>(10)</sup>B  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：再発髄膜腫  
氏 名 又 は 名 称：ステラファーマ株式会社  
指 定 日：令和6年9月20日  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当