

医薬薬審発 0828 第 9 号  
令和 6 年 8 月 28 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医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき下記 1. の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. 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 5 薬) 第 5 6 7 号  
医 薬 品 の 名 称：odevixibat  
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：ジェダイトメディスン株式会社
- (2) 指 定 番 号：(2 8 薬) 第 3 7 6 号  
医 薬 品 の 名 称：fampridine  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：多発性硬化症の歩行改善  
氏 名 又 は 名 称：バイオジェン・ジャパン株式会社

#### 2. 指定

- (1) 指 定 番 号：(R 5 薬) 第 5 6 7 号  
医 薬 品 の 名 称：odevixibat

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：IPSEN株式会社

(2)指 定 番 号：(R6薬)第614号  
医 薬 品 の 名 称：ブトリシランナトリウム  
予定される効能又は効果：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）  
氏 名 又 は 名 称：Alnylam Japan 株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(3)指 定 番 号：(R6薬)第615号  
医 薬 品 の 名 称：Eplontersen sodium  
予定される効能又は効果：トランスサイレチン型心アミロイドーシス  
氏 名 又 は 名 称：アストラゼネカ株式会社  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(4)指 定 番 号：(R6薬)第616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：C3腎症  
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：(R6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  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(6)指 定 番 号：(R6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  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(7)指 定 番 号：(R6薬)第619号  
医 薬 品 の 名 称：seladelpar  
予定される効能又は効果：原発性胆汁性胆管炎  
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

- (8)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 2 0 号  
医 薬 品 の 名 称 : サトラリズマブ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 甲 状 腺 眼 症  
氏 名 又 は 名 称 : 中 外 製 薬 株 式 有 限 公 司  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (9)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 : ブ リ ス ト ル ・ マ イ ヤ ー ズ ス ク イ ブ 株 式 有 限 公 司  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当
- (10)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 2 2 号  
医 薬 品 の 名 称 : TM5614  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : が ん 化 学 療 法 後 に 増 悪 し た 根 治 切 除 不 能 な 悪 性 黒 色 腫  
氏 名 又 は 名 称 : 株 式 有 限 公 司 レ ナ サ イ エ ン ス  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当
- (11)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 2 3 号  
医 薬 品 の 名 称 : ベ ラ ン タ マ ブ マ ホ ド チ ン (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 多 発 性 骨 髄 腫  
氏 名 又 は 名 称 : グ ラ ク ソ ・ ス ミ ス ク ラ イ ン 株 式 有 限 公 司  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当 (た だ し , 多 発 性 骨 髄 腫 の う ち , 「再発又は  
難 治 性 の 多 発 性 骨 髄 腫 」 に 限 る )
- (12)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 2 4 号  
医 薬 品 の 名 称 : zipalertinib  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : E G F R エ ク ソ ン 2 0 挿 入 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 : 大 鵬 薬 品 工 業 株 式 有 限 公 司  
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当