

医薬薬審発 0920 第 6 号
令和 6 年 9 月 20 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 3 薬) 第 5 0 8 号
医 薬 品 の 名 称：バリシチニブ
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：I 型インターフェロン関連自己炎症性疾患（中條-西村症候群、乳児発症性 STING 関連血管炎、エカルディ・グティエール症候群）
氏 名 又 は 名 称：日本イーライリリー株式会社

2. 指定

- (1) 指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 2 5 号
医 薬 品 の 名 称：venglustat
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ゴーシェ病
氏 名 又 は 名 称：サノフィ株式会社

優先審査・優先相談：該当

(2)指 定 番 号：(R6薬)第626号

医薬品の名称：venglustat

予定される効能又は効果：ファブリー病

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

(3)指 定 番 号：(R6薬)第627号

医薬品の名称：DSP-5336

予定される効能又は効果：再発又は難治性の *MLL* 遺伝子再構成陽性又は *NPM1* 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病

氏名又は名称：住友ファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(4)指 定 番 号：(R6薬)第628号

医薬品の名称：ボロファラン (¹⁰B)

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

優先審査・優先相談：非該当

(5)指 定 番 号：(R6薬)第629号

医薬品の名称：ボロファラン (¹⁰B)

予定される効能又は効果：再発悪性神経膠腫

氏名又は名称：ステラファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(6)指 定 番 号：(R6薬)第630号

医薬品の名称：イピリムマブ (遺伝子組換え)

予定される効能又は効果：治癒切除不能な進行・再発の高頻度マイクロサテライト不安定性 (MSI-High) を有する結腸・直腸癌

氏名又は名称：ブリistol・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631号

医薬品の名称：ニボルマブ (遺伝子組換え)

予定される効能又は効果：治癒切除不能な進行・再発の高頻度マイクロサテライト不安定性 (MSI-High) を有する結腸・直腸癌

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