



薬生薬審発 0213 第 2 号
令和 2 年 2 月 13 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生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希少疾病用医薬品の指定について

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の希少疾病用医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき指定が取り消され、また、同法第 77 条の 2 第 1 項の規定に基づき、希少疾病用医薬品が下記のとおり指定されたので、通知する。

記

1. 指定の取消し

(1) 指 定 番 号：(24薬) 第 269 号

医 薬 品 の 名 称：ルリオクトコグ アルファ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：血漿中の血液凝固第Ⅷ因子濃度が低下しているフォンビルブランド病に対し、血漿中の血液凝固第Ⅷ因子を補い、その出血傾向を抑制する。

届け出た者の氏名又は名称：シャイアー・ジャパン株式会社

(2) 指 定 番 号：(24薬) 第 278 号

医 薬 品 の 名 称：Ecallantide

予定される効能又は効果：遺伝性血管性浮腫の急性発作

届け出た者の氏名又は名称：シミックホールディングス株式会社

(3) 指 定 番 号：(28薬) 第 379 号

医 薬 品 の 名 称：ヒト α_1 -Proteinase Inhibitor

予定される効能又は効果：COPD を発症した重症 α_1 -アンチトリプシン欠乏症

届け出た者の氏名又は名称：グリフォルス株式会社

2. 指定

(1) 指定番号：(28薬)第379号

医薬品の名称：ヒト α_1 -Proteinase Inhibitor

予定される効能又は効果：COPDを発症した重症 α_1 -アンチトリプシン欠乏症

申請者の氏名又は名称：Grifols Therapeutics LLC

(2) 指定番号：(R2薬)第452号

医薬品の名称：PTC124

予定される効能又は効果：ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療

申請者の氏名又は名称：PTC Therapeutic International Limited

(3) 指定番号：(R2薬)第453号

医薬品の名称：R07234292

予定される効能又は効果：ハンチントン病

申請者の氏名又は名称：中外製薬株式会社

(4) 指定番号：(R2薬)第454号

医薬品の名称：ミダゾラム

予定される効能又は効果：てんかん重積状態

申請者の氏名又は名称：武田薬品工業株式会社

(5) 指定番号：(R2薬)第455号

医薬品の名称：Fostamatinib

予定される効能又は効果：慢性特発性血小板減少性紫斑病

申請者の氏名又は名称：キッセイ薬品工業株式会社

(6) 指定番号：(R2薬)第456号

医薬品の名称：Inebilizumab (遺伝子組換え)

予定される効能又は効果：視神経脊髄炎スペクトラム (NMOSD) の再発予防及び身体的障害の進行抑制

申請者の氏名又は名称：田辺三菱製薬株式会社

(7) 指定番号：(R2薬)第457号

医薬品の名称：フェニル酢酸ナトリウム・安息香酸ナトリウム中心
静脈投与用製剤

予定される効能又は効果：尿素サイクル異常症における急性の高アンモニア血症及び脳症

申請者の氏名又は名称：武田薬品工業株式会社