



薬生薬審発 0225 第 10 号  
令和 4 年 2 月 25 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 : (24薬) 第 264 号

医 薬 品 の 名 称 : 無水ベタイン

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 以下の欠損又は異常を伴う、ホモシスチン尿症の補助療法

- ・シスタチオンβ合成酵素 (CBS)
- ・5,10-メチレンテトラヒドロ葉酸還元酵素
- ・コバラミン補酵素代謝 (cbl)

氏 名 又 は 名 称 : 株式会社レクメド

2. 指定

(1) 指 定 番 号 : (R4薬) 第 530 号

医 薬 品 の 名 称 : Soticlestat

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない Dravet 症候群のてんかん発作に対する併用療法

氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社

(2)指 定 番 号：(R4薬)第531号

医 薬 品 の 名 称：Soticlestat

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない  
Lennox-Gastaut 症候群のてんかん発作に対する併  
用療法

氏 名 又 は 名 称：武田薬品工業株式会社

(3)指 定 番 号：(R4薬)第532号

医 薬 品 の 名 称：デュルバルマブ(遺伝子組換え)

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：切除不能な胆道癌

氏 名 又 は 名 称：アストラゼネカ株式会社

(4)指 定 番 号：(R4薬)第533号

医 薬 品 の 名 称：Marstacimab

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：インヒビターを保有する先天性血液凝固第VIII因  
子又は第IX因子欠乏患者の出血傾向の抑制

氏 名 又 は 名 称：ファイザー株式会社

(5)指 定 番 号：(24薬)第264号

医 薬 品 の 名 称：無水ベタイン

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：以下の欠損又は異常を伴う、ホモシスチン尿症の  
補助療法

- ・シスタチオンβ合成酵素(CBS)
- ・5,10-メチレンテトラヒドロ葉酸還元酵素
- ・コバラミン補酵素代謝(cbl)

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