



薬生機審発 0319 第 1 号  
令和 2 年 3 月 19 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬・生活衛生局医療機器審査管理課長  
( 公 印 省 略 )

希少疾病用再生医療等製品の指定について

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 2 第 1 項の規定に基づき、希少疾病用再生医療等製品が下記のとおり指定されましたので、通知します。

記

指 定 番 号：(R 2 再) 14 号

再生医療等製品の名称：LTW888

予定される効能、効果又は性能：両アレル性 *RPE65* 遺伝子変異による遺伝性網  
膜ジストロフィー

申請者の氏名又は名称：ノバルティスファーマ株式会社