医薬薬審発 0518 第 6 号
令 和 8 年 5 月 18 日

日本製薬団体連合会会長　殿
各 地 方 厚 生 局 長　殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
（　　公　　印　　省　　略　　）

希少疾病用医薬品における指定取消し、指定等について

今般、別添写しのとおり、各都道府県衛生主管部（局）長等宛てに通知したので、御了知願います。

写

医薬薬審発 0518 第５号
令和８年５月 18 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）

希少疾病用医薬品における指定取消し、指定等について

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１．の医薬品について、同法第 77 条の６第１項の規定に基づき、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．の医薬品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。

また、下記３．の医薬品について、今般、『「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について』(令和６年１月 16 日医薬薬審発 0116 第１号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長、医薬機審発 0116 第１号医療機器審査管理課長連名通知)に基づき、優先審査及び優先相談の該当性に変更があったので、通知する。

記

１．指定の取消し

(1)指定番号：（２８薬）第３８３号
　医薬品の名称：パチシラン
　予定される効能又は効果：トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー
　氏名又は名称：Alnylam Japan 株式会社

(2)指定番号：（Ｒ７薬）第７２２号

医　薬　品　の　名　称：TAR-200
予定される効能又は効果：BCG 不応性の上皮内癌を有する高リスク筋層非浸潤性膀胱癌
氏　名　又　は　名　称：ヤンセンファーマ株式会社

２．指定

（1）指　定　番　号：（Ｒ８薬）第７８８号
医　薬　品　の　名　称：Lu AG13909
予定される効能又は効果：先天性副腎過形成症
氏　名　又　は　名　称：ルンドベック・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：非該当

（2）指　定　番　号：（Ｒ８薬）第７８９号
医　薬　品　の　名　称：Lu AG13909
予定される効能又は効果：クッシング病
氏　名　又　は　名　称：ルンドベック・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：非該当

（3）指　定　番　号：（Ｒ８薬）第７９０号
医　薬　品　の　名　称：velmanase alfa
予定される効能又は効果：α-マンノシドーシス
氏　名　又　は　名　称：キエジ・ファーマ・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：該当

（4）指　定　番　号：（Ｒ８薬）第７９１号
医　薬　品　の　名　称：felzartamab
予定される効能又は効果：IgA 腎症
氏　名　又　は　名　称：バイオジェン・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：非該当

（5）指　定　番　号：（Ｒ８薬）第７９２号
医　薬　品　の　名　称：felzartamab
予定される効能又は効果：原発性膜性腎症
氏　名　又　は　名　称：バイオジェン・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(6)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第７９３号
医　薬　品　の　名　称：ポボルシチニブリン酸塩
予定される効能又は効果：化膿性汗腺炎
氏　名　又　は　名　称：インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同会社
優先審査・優先相談：非該当

(7)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第７９４号
医　薬　品　の　名　称：Daraxonrasib
予定される効能又は効果：治癒切除不能な膵癌
氏　名　又　は　名　称：Revolution Medicines, Inc.
優先審査・優先相談：非該当

(8)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第７９５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：根治切除不能な甲状腺未分化癌
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

(9)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第７９６号
医　薬　品　の　名　称：チラブルチニブ塩酸塩
予定される効能又は効果：悪性リンパ腫の中枢神経系への浸潤（既存治療が効果不十分又は不適当な場合に限る）
氏　名　又　は　名　称：小野薬品工業株式会社
優先審査・優先相談：該当

(10)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第７９７号
医　薬　品　の　名　称：ramantamig
予定される効能又は効果：多発性骨髄腫
氏　名　又　は　名　称：ヤンセンファーマ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(11)指　　定　　番　　号：（Ｒ８薬）第７９８号
医　薬　品　の　名　称：TAR-200
予定される効能又は効果：BCG 療法後に再発した上皮内癌を有する高

リスク筋層非浸潤性膀胱癌
氏　名　又　は　名　称：ヤンセンファーマ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(12)指定番号：（Ｒ８薬）第７９９号
医薬品の名称：NXT007
予定される効能又は効果：先天性血友病A患者における出血傾向の抑制
氏　名　又　は　名　称：中外製薬株式会社
優先審査・優先相談：非該当

３．優先審査及び優先相談の該当性に変更のあった品目
（１）指定番号：（Ｒ７薬）第７３６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：IgA腎症
氏　名　又　は　名　称：ノバルティスファーマ株式会社
指定日：令和７年11月27日
優先審査・優先相談：該当

（２）指定番号：（Ｒ６薬）第６５０号
医薬品の名称：Odevixibat
予定される効能又は効果：アラジール症候群
氏　名　又　は　名　称：IPSEN株式会社
指定日：令和６年12月25日
優先審査・優先相談：非該当