

医薬薬審発 1127 第 4 号
令和 6 年 11 月 27 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、下記 1. 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

- (1) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 3 2 号
医 薬 品 の 名 称 : sparsentan
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : IgA 腎症
氏 名 又 は 名 称 : レナリスファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (2) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 3 3 号
医 薬 品 の 名 称 : パロパロテン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 進行性骨化性線維異形成症
氏 名 又 は 名 称 : IPSEN 株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (3) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 3 4 号
医 薬 品 の 名 称 : マシテンタン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 肺動脈性肺高血圧症
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

(4)指 定 番 号：(R6薬)第635号

医薬品の名称：ALXN2220

予定される効能又は効果：トランスサイレチン型心アミロイドーシス

氏名又は名称：アレクシオンファーマ合同会社

優先審査・優先相談：該当

(5)指 定 番 号：(R6薬)第636号

医薬品の名称：サトラリズマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：自己免疫介在性脳炎

氏名又は名称：中外製薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(6)指 定 番 号：(R6薬)第637号

医薬品の名称：サトラリズマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質抗体
関連疾患

氏名又は名称：中外製薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(7)指 定 番 号：(R6薬)第638号

医薬品の名称：ニポカリマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：慢性炎症性脱髄性多発根神経炎

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

(8)指 定 番 号：(R6薬)第639号

医薬品の名称：プロギジルセン

予定される効能又は効果：エクソン44スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失が確認されているデュシェンヌ型筋ジストロフィー

氏名又は名称：日本新薬株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(9)指 定 番 号：(R6薬)第640号

医薬品の名称：BMS-986278

予定される効能又は効果：特発性肺線維症

氏名又は名称：ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(10)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 1 号

医 薬 品 の 名 称：Nacubactam

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：グラム陰性桿菌感染症に対するセフェピム又はアズトレオナムとの併用療法

セフェピム/ナキュバクタム併用療法における適応菌種、適応症は以下のとおり。

<適応菌種>

セフェピム/ナキュバクタムに感性の腸内細菌目細菌、緑膿菌、その他のグラム陰性桿菌（アシネトバクター属を除く）

ただし、カルバペネム系抗菌薬に耐性が考えられる菌株に限る。

<適応症>

各種感染症

アズトレオナム/ナキュバクタム併用療法における適応菌種、適応症は以下のとおり。

<適応菌種>

アズトレオナム/ナキュバクタムに感性的腸内細菌目細菌、緑膿菌、その他のグラム陰性桿菌（アシネトバクター属を除く）

ただし、カルバペネム系抗菌薬に耐性が考えられる菌株に限る。

<適応症>

各種感染症

氏 名 又 は 名 称：Meiji Seika ファルマ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(11)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 2 号

医 薬 品 の 名 称：BAY 2927088

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：*HER2* 遺伝子変異陽性の切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌

氏 名 又 は 名 称：バイエル薬品株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(12)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 3 号

医 薬 品 の 名 称：lomustine

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：神経膠腫

氏 名 又 は 名 称：日本メダック株式会社

優先審査・優先相談：該当

(13)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 4 号

医 薬 品 の 名 称：taletrectinib

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ROS1 融 合 遺 伝 子 陽 性 の 切 除 不 能 な 進 行 ・ 再 発 の 非
小 細 胞 肺 癌

氏 名 又 は 名 称：日本化薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(14)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 5 号

医 薬 品 の 名 称：TP-3654

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：骨 髄 線 維 症

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

(15)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 4 6 号

医 薬 品 の 名 称：タファシタマブ (遺 伝 子 組 換 え)

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：び ま ん 性 大 細 胞 型 B 細 胞 リ ン パ 腫

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