

薬生薬審発 0311 第 1 号
令和 3 年 3 月 11 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 3 薬) 第 5 0 6 号

医 薬 品 の 名 称 : Susoctocog alfa

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 後天性血友病 A 患者における出血抑制

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社

(2) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 0 7 号

医 薬 品 の 名 称 : 抗ヒト胸腺細胞ウマ免疫グロブリン

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 中等症以上の再生不良性貧血

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : ファイザー株式会社

(3) 指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 0 8 号

医 薬 品 の 名 称 : バリシチニブ

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : I 型インターフェロン関連自己炎症性疾患（中條-西村症候群、乳児発症性 STING 関連血管炎、エカルデ
イ・グティエール症候群）

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 日本イーライリリー株式会社

- (4)指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 0 9 号
医 薬 品 の 名 称 : トラスツズマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : HER2 過剰発現が確認された治癒切除不能な進行・再
発の唾液腺癌
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 中外製薬株式会社
- (5)指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 1 0 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 : 原発不明癌
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 小野薬品工業株式会社
- (6)指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 1 1 号
医 薬 品 の 名 称 : レンバチニブメシル酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 子宮体癌
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : エーザイ株式会社
- (7)指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 1 2 号
医 薬 品 の 名 称 : ペムブロリズマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 子宮体癌
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : MSD 株式会社
- (8)指 定 番 号 : (R 3 薬) 第 5 1 3 号
医 薬 品 の 名 称 : sotorasib
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : KRAS G12C 変異陽性の切除不能な進行・再発の非小
細胞肺癌
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : アムジェン株式会社