

医薬薬審発 0228 第 3 号
令和 7 年 2 月 28 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 7 薬) 第 6 5 9 号
医 薬 品 の 名 称 : atrasentan
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
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当
- (2) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 6 0 号
医 薬 品 の 名 称 : batoclimab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 活動性甲状腺眼症
氏 名 又 は 名 称 : HanAll Biopharma Co., Ltd
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当
- (3) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 6 6 1 号
医 薬 品 の 名 称 : efzimfotase alfa
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 低ホスファターゼ症
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：非該当

(4)指 定 番 号：(R7薬)第662号

医薬品の名称：eneboparatide

予定される効能又は効果：副甲状腺機能低下症

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：(R7薬)第663号

医薬品の名称：Nirogacestat

予定される効能又は効果：デスモイド腫瘍

氏名又は名称：SpringWorks Therapeutics, Inc.

優先審査・優先相談：該当

(6)指 定 番 号：(R7薬)第664号

医薬品の名称：ラブリズマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：IgA腎症

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：非該当

(7)指 定 番 号：(R7薬)第665号

医薬品の名称：BI 764198

予定される効能又は効果：デュシェンヌ型筋ジストロフィー

氏名又は名称：日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(8)指 定 番 号：(R7薬)第666号

医薬品の名称：Lu AF82422

予定される効能又は効果：多系統萎縮症

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：該当

(9)指 定 番 号：(R7薬)第667号

医薬品の名称：フェンフルラミン塩酸塩

予定される効能又は効果：CDKL5遺伝子欠損症患者におけるてんかん発作の抑制

氏名又は名称：ユーシービージャパン株式会社

優先審査・優先相談：該当

(10)指 定 番 号：(R7薬)第668号

医薬品の名称：トラフェルミン（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：外耳道軟部組織欠損
氏名又は名称：ノーベルファーマ株式会社
優先審査・優先相談：該当

(11)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 6 9 号
医薬品の名称：seralutinib
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：GB002 Inc.
優先審査・優先相談：非該当

(12)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 0 号
医薬品の名称：Naxitamab
予定される効能又は効果：再発又は難治性の神経芽腫
氏名又は名称：ノーベルファーマ株式会社
優先審査・優先相談：該当

(13)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 1 号
医薬品の名称：サルグラモスチム（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：再発又は難治性の神経芽腫
氏名又は名称：ノーベルファーマ株式会社
優先審査・優先相談：該当

(14)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 2 号
医薬品の名称：ダロルタミド
予定される効能又は効果：アンドロゲン受容体陽性の根治切除不能な進行・
再発の唾液腺癌
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

(15)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 3 号
医薬品の名称：レチファンリマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：肛門管扁平上皮癌
氏名又は名称：インサイト・バイオサイエンス・ジャパン合同
会社
優先審査・優先相談：該当

(16)指 定 番 号：（R 7 薬）第 6 7 4 号
医薬品の名称：ロンカスツキシマブ テシリン（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：以下の再発又は難治性の大細胞型 B 細胞リンパ腫

(びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫、高悪性度 B
細胞リンパ腫)

氏名又は名称：田辺三菱製薬株式会社

優先審査・優先相談：非該当