

医薬薬審発 0216 第 3 号
令和 8 年 2 月 16 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取消し及び指定について

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 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。

記

1. 指定の取消し

- (1) 指 定 番 号：(R 6 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：ジェダイトメディスン株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該 当

2. 指定

- (1) 指 定 番 号：(R 6 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
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該 当

(2)指 定 番 号: (R 8薬) 第 7 5 7 号

医 薬 品 の 名 称: E2086

予定される効能又は効果: ナルコレプシー

氏 名 又 は 名 称: エーザイ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談: 非該当

(3)指 定 番 号: (R 8薬) 第 7 5 8 号

医 薬 品 の 名 称: メキシレチン塩酸塩

予定される効能又は効果: 球脊髄性筋萎縮症

氏 名 又 は 名 称: 太陽ファルマ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談: 非該当

(4)指 定 番 号: (R 8薬) 第 7 5 9 号

医 薬 品 の 名 称: BAY 3401016

予定される効能又は効果: アルポート症候群

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

(5)指 定 番 号: (R 8薬) 第 7 6 0 号

医 薬 品 の 名 称: パルツソチン塩酸塩

予定される効能又は効果: 先端巨大症・下垂体性巨人症

氏 名 又 は 名 称: 株式会社三和化学研究所

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談: 非該当

(6)指 定 番 号: (R 8薬) 第 7 6 1 号

医 薬 品 の 名 称: アキサチリマブ (遺伝子組換え)

予定される効能又は効果: 造血幹細胞移植後の慢性移植片対宿主病

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: (R 8薬) 第 7 6 2 号

医 薬 品 の 名 称: テゼペルマブ (遺伝子組換え)

予定される効能又は効果: 好酸球性食道炎

氏 名 又 は 名 称: アストラゼネカ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談: 非該当

(8)指 定 番 号: (R 8薬) 第 7 6 3 号

医 薬 品 の 名 称: リルザブルチニブ

予定される効能又は効果：IgG4関連疾患
氏名又は名称：サノフィ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(9)指定期番号：(R8薬)第764号
医薬品の名称：アニフロルマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：全身性強皮症
氏名又は名称：アストラゼネカ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(10)指定期番号：(R8薬)第765号
医薬品の名称：グローフィタマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：大細胞型B細胞リンパ腫
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

(11)指定期番号：(R8薬)第766号
医薬品の名称：ザヌブルチニブ
予定される効能又は効果：再発又は難治性の辺縁帯リンパ腫
氏名又は名称：ビーワン・メディシンズ合同会社
優先審査・優先相談：非該当

(12)指定期番号：(R8薬)第767号
医薬品の名称：ツカチニブエタノール付加物
予定される効能又は効果：がん化学療法後に増悪したHER2陽性の治癒切除不能な胆道癌
氏名又は名称：ファイザー株式会社
優先審査・優先相談：該当

(13)指定期番号：(R8薬)第768号
医薬品の名称：ドルダビプロン塩酸塩
予定される効能又は効果：H3 K27M変異を有するびまん性正中膠腫
氏名又は名称：大原薬品工業株式会社
優先審査・優先相談：該当

(14)指定期番号：(R8薬)第769号
医薬品の名称：ポナチニブ塩酸塩
予定される効能又は効果：フィラデルフィア染色体陽性急性リンパ性白血病
氏名又は名称：大塚製薬株式会社
優先審査・優先相談：非該当