

医薬薬審発 1127 第 1 号
令和 7 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 2 薬) 第 4 5 4 号
医 薬 品 の 名 称 : ミダゾラム
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : てんかん重積状態
氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社

(2) 指 定 番 号 : (R 5 薬) 第 5 7 1 号
医 薬 品 の 名 称 : シロリムス
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 限局性皮質異形成Ⅱ型に伴うてんかん発作
氏 名 又 は 名 称 : ノーベルファーマ株式会社

(3) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 5 3 号
医 薬 品 の 名 称 : Pitolisant
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : ナルコレプシー

氏名又は名称：アキュリスファーマ株式会社
優先審査・優先相談：該当

2. 指定

(1) 指定番号：(R2薬)第454号
医薬品の名称：ミダゾラム
予定される効能又は効果：てんかん重積状態
氏名又は名称：クリニジェン株式会社

(2) 指定番号：(R6薬)第653号
医薬品の名称：Pitolisant
予定される効能又は効果：ナルコレプシー
氏名又は名称：ヴィアトリス製薬合同会社
優先審査・優先相談：該当

(3) 指定番号：(R7薬)第734号
医薬品の名称：メザギタマブ（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：武田薬品工業株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(4) 指定番号：(R7薬)第735号
医薬品の名称：Povetacicept
予定される効能又は効果：IgA腎症
氏名又は名称：Vertex Pharmaceuticals Inc
優先審査・優先相談：非該当

(5) 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
優先審査・優先相談：非該当

(6) 指定番号：(R7薬)第737号
医薬品の名称：VX-670
予定される効能又は効果：筋強直性ジストロフィー1型
氏名又は名称：Vertex Pharmaceuticals Incorporated
優先審査・優先相談：非該当

- (7)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 3 8 号
医 薬 品 の 名 称 : KUS121
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 網 膜 中 心 動 脈 閉 塞 症 に お け る 視 力 低 下 の 改 善
氏 名 又 は 名 称 : 株 式 会 社 京 都 創 薬 研 究 所
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当
- (8)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 3 9 号
医 薬 品 の 名 称 : Empasiprubarb
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 多 単 性 運 動 ニ ュ ー ロ パ チ ー
氏 名 又 は 名 称 : ア ル ジ ェ ニ ク ス ジ ャ パ ン 株 式 会 社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (9)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 0 号
医 薬 品 の 名 称 : Empasiprubarb
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 慢 性 炎 症 性 脱 髓 性 多 発 根 神 經 炎
氏 名 又 は 名 称 : ア ル ジ ェ ニ ク ス ジ ャ パ ン 株 式 会 社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当
- (10)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 1 号
医 薬 品 の 名 称 : Tovorafenib
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : *BRAF* 遺 伝 子 変 異 又 は 融 合 遺 伝 子 を 有 す る 低 悪 性 度
神 經 膠 腫
氏 名 又 は 名 称 : I P S E N 株 式 会 社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (11)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 2 号
医 薬 品 の 名 称 : ツ シ ジ ノ ス タ ッ ト
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 根 治 切 除 不 能 な 悪 性 黒 色 腫
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
- (12)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 3 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 : シ ェ ー グ レ ン 症 候 群
氏 名 又 は 名 称 : ヤ ン セ ン フ ェ 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 7 4 4 号
医 薬 品 の 名 称 : Lutikizumab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 化 膿 性 汗 腺 炎

氏名又は名称：アッヴィ合同会社
優先審査・優先相談：非該当

(14)指 定 番 号：(R7薬)第745号
医薬品の名称：エマパルマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：全身型若年性特発性関節炎又は成人発症スチル病
に伴うマクロファージ活性化症候群
氏名又は名称：Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社
優先審査・優先相談：該当