

医薬審発 1223 第 2 号
令和 7 年 12 月 23 日

日本製薬団体連合会会長 殿
各 地 方 厚 生 局 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

今般、別添写しのとおり、各都道府県衛生主管部（局）長等宛てに通知したので、御了知願います。



医薬薬審発 1223 第 1 号
令和 7 年 12 月 23 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 6 1 7 号
医 薬 品 の 名 称 : センダキマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 好酸球性胃腸炎
氏 名 又 は 名 称 : ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

(2) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 1 8 号
医 薬 品 の 名 称 : センダキマブ (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 : ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

2. 指定

(1) 指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 4 6 号
医 薬 品 の 名 称 : Garetosmab

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：リジェネロン・ジャパン株式会社
優先審査・優先相談：該当

(2)指 定 番 号：(R7薬)第747号
医薬品の名称：シロリムス
予定される効能又は効果：自己免疫性血球減少、リンパ増殖又は腸炎を伴う
原発性免疫不全症候群
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

(3)指 定 番 号：(R7薬)第748号
医薬品の名称：ポリエチレングリコール処理人免疫グロブリン
予定される効能又は効果：新生児ヘモクロマトーシスの発症抑制
氏名又は名称：一般社団法人日本血液製剤機構
優先審査・優先相談：該当

(4)指 定 番 号：(R7薬)第749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：温式自己免疫性溶血性貧血
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

(5)指 定 番 号：(R7薬)第750号
医薬品の名称：YA-101
予定される効能又は効果：多系統萎縮症
氏名又は名称：Yoda Therapeutics Inc.
優先審査・優先相談：非該当

(6)指 定 番 号：(R7薬)第751号
医薬品の名称：zeleciment basivarsen
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：Dyne Therapeutics, Inc.
優先審査・優先相談：該当

(7)指 定 番 号：(R7薬)第752号
医薬品の名称：Telitacicept
予定される効能又は効果：全身型重症筋無力症
氏名又は名称：RemeGen Co., Ltd.
優先審査・優先相談：非該当

- (8)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 5 3 号
医 薬 品 の 名 称 : divarasib
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
氏 名 又 は 名 称 : 中 外 製 薬 株 式 有 限 公 司
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当
- (9)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 5 4 号
医 薬 品 の 名 称 : セ ミ プ リ マ ブ (遺 伝 子 組 換 え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 根 治 切 除 不 能 な 進 行 ・ 再 発 の 有 棘 細 胞 癌 、 再 発 高
リ ス ク の 有 棘 細 胞 癌 に お け る 術 後 補 助 療 法
氏 名 又 は 名 称 : リ ジ エ ネ ロ ン ・ ジ ャ パ ン 株 式 有 限 公 司
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (10)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 5 5 号
医 薬 品 の 名 称 : チ ス レ リ ズ マ ブ (遺 伝 子 組 換 え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 再 発 又 は 遠 隔 転 移 を 有 す る 上 咽 頭 癌
氏 名 又 は 名 称 : ビ ー ワ ン ・ メ デ ィ シ ン ズ 合 同 有 限 公 司
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (11)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 5 6 号
医 薬 品 の 名 称 : デ ュ ー ク ラ バ シ チ ニ ブ
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 全 身 性 エ リ テ マ ト ー デ ス
氏 名 又 は 名 称 : ブ リ ス ト ル ・ マ イ ヤ ー ズ ス ク イ ブ 株 式 有 限 公 司
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当