

薬生薬審発 0213 第 2 号  
令和 2 年 2 月 13 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取消し及び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 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の希少疾病用医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき指定が取り消され、また、同法第 77 条の 2 第 1 項の規定に基づき、希少疾病用医薬品が下記のとおり指定されたので、通知する。

記

1. 指定の取消し

- (1) 指 定 番 号：(24薬) 第 269 号  
医 薬 品 の 名 称：ルリオクトコグ アルファ（遺伝子組換え）  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：血漿中の血液凝固第Ⅷ因子濃度が低下しているフォンビルブランド病に対し、血漿中の血液凝固第Ⅷ因子を補い、その出血傾向を抑制する。  
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称：シャイアー・ジャパン株式会社
- (2) 指 定 番 号：(24薬) 第 278 号  
医 薬 品 の 名 称：Ecallantide  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：遺伝性血管性浮腫の急性発作  
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称：シミックホールディングス株式会社
- (3) 指 定 番 号：(28薬) 第 379 号  
医 薬 品 の 名 称：ヒト  $\alpha_1$ -Proteinase Inhibitor  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：COPD を発症した重症  $\alpha_1$ -アンチトリプシン欠乏症  
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称：グリフォルス株式会社



## 2. 指定

- (1) 指 定 番 号 : (28薬) 第379号  
医 薬 品 の 名 称 : ヒト  $\alpha_1$ -Proteinase Inhibitor  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : COPD を 発 症 し た 重 症  $\alpha_1$ -アンチトリプシン欠乏症  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : Grifols Therapeutics LLC
- (2) 指 定 番 号 : (R2薬) 第452号  
医 薬 品 の 名 称 : PTC124  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー  
の 治 療  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : PTC Therapeutic International Limited
- (3) 指 定 番 号 : (R2薬) 第453号  
医 薬 品 の 名 称 : R07234292  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : ハンチントン病  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 中外製薬株式会社
- (4) 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  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社
- (5) 指 定 番 号 : (R2薬) 第455号  
医 薬 品 の 名 称 : Fostamatinib  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 慢性特発性血小板減少性紫斑病  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : キッセイ薬品工業株式会社
- (6) 指 定 番 号 : (R2薬) 第456号  
医 薬 品 の 名 称 : Inebilizumab (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 視神経脊髄炎スペクトラム (NMOSD) の再発予防及び  
身 体 的 障 害 の 進 行 抑 制  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 田辺三菱製薬株式会社
- (7) 指 定 番 号 : (R2薬) 第457号  
医 薬 品 の 名 称 : フェニル酢酸ナトリウム・安息香酸ナトリウム中心  
静 脈 投 与 用 製 剤  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 尿素サイクル異常症における急性の高アンモニア血  
症 及 び 脳 症  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社