

医薬薬審発 0925 第 1 号
令和 8 年 9 月 25 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)

希少疾病用医薬品における指定取消し、指定等について

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。

また、下記 3. の医薬品について、今般、『「希少疾病用医薬品等の指定に関する取扱いについて」の一部改正について』（令和 6 年 1 月 16 日医薬薬審発 0116 第 1 号厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長、医薬機審発 0116 第 1 号医療機器審査管理課長連名通知）に基づき、優先審査及び優先相談の該当性に変更があったので、通知する。

記

1. 指定の取消し

- (1) 指 定 番 号：(R 2 薬) 第 4 8 8 号
医 薬 品 の 名 称：ミドスタウリン
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：FLT3 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病
氏 名 又 は 名 称：ノバルティスファーマ株式会社

2. 指定

- (1) 指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 2 号
医 薬 品 の 名 称：ウパダシチニブ水和物
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

(2)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 3 号
医 薬 品 の 名 称：cevostamab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：再発又は難治性の多発性骨髄腫
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

(3)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 4 号
医 薬 品 の 名 称：Opamtistomig
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：肺外神経内分泌癌
氏 名 又 は 名 称：Nanjing Leads Biolabs Co., LTD
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(4)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 5 号
医 薬 品 の 名 称：Sapablursen
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：真性多血症
氏 名 又 は 名 称：小野薬品工業株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(5)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 6 号
医 薬 品 の 名 称：TM5614
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：がん化学療法後に増悪した切除不能な皮膚血管肉腫
氏 名 又 は 名 称：株式会社レナサイエンス
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(6)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 7 号
医 薬 品 の 名 称：Givinostat
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：JCR ファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(7)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 8 号
医 薬 品 の 名 称：Apitegromab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：脊髄性筋萎縮症
氏 名 又 は 名 称：スカラー・ロック・ジャパン合同会社

優先審査・優先相談：該当

(8)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 9 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：視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防

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

備 考：視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防のうち、小児に限る。

(9)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 3 0 号

医 薬 品 の 名 称：Oleogel-S10

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：栄養障害型及び接合部型表皮水疱症

氏 名 又 は 名 称：キエジ・ファーマ・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 8 薬) 第 8 3 1 号

医 薬 品 の 名 称：zigakibart

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

(11)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 3 2 号

医 薬 品 の 名 称：イネビリズマブ（遺伝子組換え）

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：一次性膜性腎症

氏 名 又 は 名 称：田辺ファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(12)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 3 3 号

医 薬 品 の 名 称：ウパダシチニブ水和物

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）

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

備 考：中等症から重症の潰瘍性大腸炎の寛解導入及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、

小児に限る。

3. 優先審査及び優先相談の該当性に変更のあった品目

(1) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 4 6 号

医 薬 品 の 名 称 : タファシタマブ (遺伝子組換え)

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫

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

指 定 日 : 令和 6 年 11 月 27 日

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当