

(公 印 省 略)

薬第330-63号

令和7年9月8日

(公 社) 群 馬 県 医 師 会 長
各 郡 市 医 師 会 長
(一 社) 群 馬 県 病 院 協 会 長
(公 社) 群 馬 県 看 護 協 会 長
(公 社) 群 馬 県 薬 剤 師 会 長
(一 社) 群 馬 県 病 院 薬 剤 師 会 長
群馬県医薬品卸協同組合代表理事

} 様

群馬県健康福祉部薬務課長 赤上 直人

希少疾病用医薬品の指定取消し及び指定について

薬務行政の推進につきましては、日頃から御理解、御協力をいただき、感謝申し上げます。

このことについて、別添のとおり令和7年8月29日付け医薬薬審発0829第1号で、厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長から通知がありましたので、御了知の上、貴会々員に周知くださいますようお願いいたします。

(担当 薬事・血液係)
(電話 027-226-2663)

医薬薬審発 0829 第 1 号
令和 7 年 8 月 29 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 : (16 薬) 第 174 号
医 薬 品 の 名 称 : ホスアンプレナビルカルシウム水和物
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : HIV 感染症
氏 名 又 は 名 称 : ヴィーブヘルスケア株式会社
- (2) 指 定 番 号 : (R4 薬) 第 536 号
医 薬 品 の 名 称 : 乾燥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 : 自己免疫性脳炎（ステロイドパルス療法で効果不十分であった場合）
氏 名 又 は 名 称 : 武田薬品工業株式会社

2. 指定

(1) 指定番号：(R7薬)第708号

医薬品の名称：GTX-102

予定される効能又は効果：アンジェルマン症候群

氏名又は名称：Ultragenyx Japan 株式会社

優先審査・優先相談：該当

(2) 指定番号：(R7薬)第709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：全身型重症筋無力症

氏名又は名称：田辺三菱製薬株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(3) 指定番号：(R7薬)第710号

医薬品の名称：pH4 処理酸性人免疫グロブリン

予定される効能又は効果：自己免疫性脳炎

氏名又は名称：武田薬品工業株式会社

優先審査・優先相談：該当

(4) 指定番号：(R7薬)第711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：自己免疫性脳炎

氏名又は名称：武田薬品工業株式会社

優先審査・優先相談：該当

(5) 指定番号：(R7薬)第712号

医薬品の名称：アンセラミマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：全身性ALアミロイドーシス

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

(6) 指定番号：(R7薬)第713号

医薬品の名称：ウステキヌマブ（遺伝子組換え）

予定される効能又は効果：中等症から重症の活動期クローン病の導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）

氏名又は名称：ヤンセンファーマ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

備考：中等症から重症の活動期クローン病の導入療法及び維持療法（既存治療で効果不十分な場合に限る）のうち、小児に限る。

(7)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 4 号
医 薬 品 の 名 称 : ウステキヌマブ (遺伝子組換え)
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療法及び
維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限り)
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社
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療法及
び維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限り)
のうち、小児に限る。

(8)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 5 号
医 薬 品 の 名 称 : グセルクマブ (遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 中等症から重症の活動期クローン病の治療 (既存
治療で効果不十分な場合に限り)
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当
備 考 : 中等症から重症の活動期クローン病の治療 (既存
治療で効果不十分な場合に限り) のうち、小児に限
る。

(9)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 6 号
医 薬 品 の 名 称 : グセルクマブ (遺伝子組換え)
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療法及び
維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限り)
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社
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療法及
び維持療法 (既存治療で効果不十分な場合に限り)
のうち、小児に限る。

(10)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 7 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 : 温式自己免疫性溶血性貧血
氏 名 又 は 名 称 : ヤンセンファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非該当

(11)指 定 番 号 : (R 7 薬) 第 7 1 8 号
医 薬 品 の 名 称 : フェニル酪酸ナトリウム
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 進行性家族性肝内胆汁うっ滞症

氏 名 又 は 名 称：株式会社オーファンパシフィック
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(12)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 1 9 号
医 薬 品 の 名 称：Moslicigat
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：間質性肺疾患（気腫合併肺線維症を含む）に伴う肺
高血圧症

氏 名 又 は 名 称：Pulmovant, Inc.
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(13)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 2 0 号
医 薬 品 の 名 称：dazodalibep
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：アムジェン株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(14)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 2 1 号
医 薬 品 の 名 称：リサンキズマブ（遺伝子組換え）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：既存治療で効果不十分な膿疱性乾癬
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：既存治療で効果不十分な膿疱性乾癬のうち、小児
に限る。

(15)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 2 2 号
医 薬 品 の 名 称：TAR-200
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：BCG 不応性の上皮内癌を有する高リスク筋層非浸潤
性膀胱癌
氏 名 又 は 名 称：ヤンセンファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(16)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 2 3 号
医 薬 品 の 名 称：タゼメトスタット臭化水素酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：がん化学療法後に増悪した INI1 陰性の切除不能な
類上皮肉腫
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