

医薬薬審発 0824 第 7 号
令和 8 年 8 月 24 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：(6 薬 A) 第 6 7 号

医 薬 品 の 名 称：ベラプロストナトリウム（プロサイリン錠 20）

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：原発性肺高血圧症及び膠原病に合併する肺高血圧症

氏 名 又 は 名 称：科研製薬株式会社

(2) 指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 1 9 号

医 薬 品 の 名 称：フェンフルラミン塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ドラベ症候群に伴うてんかん発作の治療

氏 名 又 は 名 称：Zogenix Japan 株式会社

(3) 指 定 番 号：(R 5 薬) 第 5 7 2 号

医 薬 品 の 名 称：フェンフルラミン塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない

Lennox-Gastaut 症候群患者におけるてんかん発作に
対する抗てんかん薬との併用療法

氏 名 又 は 名 称：ユーシービージャパン株式会社

(4)指 定 番 号：(R 6 薬) 第 6 2 7 号

医 薬 品 の 名 称：DSP-5336

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：再発又は難治性の *MLL* 遺伝子再構成陽性又は *NPM1* 遺
伝子変異陽性の急性骨髄性白血病

氏 名 又 は 名 称：住友ファーマ株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(5)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 5 号

医 薬 品 の 名 称：BI 764198

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：日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(6)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 7 号

医 薬 品 の 名 称：フェンフルラミン塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：*CDKL5* 遺伝子欠損症患者におけるてんかん発作の抑制

氏 名 又 は 名 称：ユーシービージャパン株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(7)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

2. 指定

(1)指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 1 9 号

医 薬 品 の 名 称：フェンフルラミン塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ドラベ症候群に伴うてんかん発作の治療

氏 名 又 は 名 称：日本新薬株式会社

(2)指 定 番 号：(R 5 薬) 第 5 7 2 号

医 薬 品 の 名 称：フェンフルラミン塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：他の抗てんかん薬で十分な効果が認められない
Lennox-Gastaut 症候群患者におけるてんかん発作に
対する抗てんかん薬との併用療法

氏 名 又 は 名 称：日本新薬株式会社

(3)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 6 7 号

医 薬 品 の 名 称：フェンフルラミン塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：*CDKL5* 遺伝子欠損症患者におけるてんかん発作の抑制

氏 名 又 は 名 称：日本新薬株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(4)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 1 1 号

医 薬 品 の 名 称：Mecasermin rinfabate

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：気管支肺異形成症の発症抑制

氏 名 又 は 名 称：OHB Neonatology Ltd.

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(5)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 1 2 号

医 薬 品 の 名 称：rogocekib

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：再発又は難治性の急性骨髄性白血病

氏 名 又 は 名 称：Chordia Therapeutics 株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(6)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 1 3 号

医 薬 品 の 名 称：ziftomenib

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：*NPM1* 遺伝子変異又は *KMT2A* 遺伝子再構成を有する急性骨髄性白血病

氏 名 又 は 名 称：協和キリン株式会社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(7)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 1 4 号

医 薬 品 の 名 称：エンゾメニブ酒石酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：*KMT2A* 遺伝子再構成又は *NPM1* 遺伝子変異を有する急性骨髄性白血病

再発又は難治性の *KMT2A* 遺伝子再構成を有する急性リンパ性白血病

氏 名 又 は 名 称：住友ファーマ株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(8)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 1 5 号
医 薬 品 の 名 称：Gildeuretinol Acetate
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：スタルガルト病
氏 名 又 は 名 称：Alkeus Pharmaceuticals, Inc.
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(9)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 1 6 号
医 薬 品 の 名 称：ロザノリキシズマブ（遺伝子組換え）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質抗体関
連疾患
氏 名 又 は 名 称：ユーシービージャパン株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(10)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 1 7 号
医 薬 品 の 名 称：bitopertin
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：赤芽球性プロトポルフィリン症及び X 連鎖性プロト
ポルフィリン症
氏 名 又 は 名 称：Disc Medicine, Inc.
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(11)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 1 8 号
医 薬 品 の 名 称：エテンタミグ（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：アッヴィ合同会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当（ただし、「全身性 AL アミロイドーシス」のう
ち、「再発又は難治性の全身性 AL アミロイドーシス」
に限る）

(12)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 1 9 号
医 薬 品 の 名 称：KK8398
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：骨端線閉鎖を伴わない軟骨低形成症
氏 名 又 は 名 称：協和キリン株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：非該当

(13)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 0 号
医 薬 品 の 名 称：Pegzilarginase
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：アルギナーゼ 1 欠損症
氏 名 又 は 名 称：Immedica Pharma AB
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当

(14)指 定 番 号：(R 8 薬) 第 8 2 1 号
医 薬 品 の 名 称：tiratricol
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：MCT8 欠損症
氏 名 又 は 名 称：藤本製薬株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談：該当