

薬生薬審発 0820 第 3 号  
令和元年 8 月 20 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 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

- (1) 指 定 番 号：(31薬) 第 440 号  
医 薬 品 の 名 称：ビルトラルセン  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：エクソン 53 スキッピングにより治療可能なジ  
ストロフィン遺伝子の欠失が確認されている  
デュシェンヌ型筋ジストロフィー  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：日本新薬株式会社
- (2) 指 定 番 号：(31薬) 第 441 号  
医 薬 品 の 名 称：チラブルチニブ塩酸塩  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：中枢神経系原発リンパ腫  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：小野薬品工業株式会社