

薬生薬審発 0921 第 1 号
令和 4 年 9 月 21 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医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき下記 1. の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. 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 : (R2 薬) 第 4 6 4 号
医 薬 品 の 名 称 : Vestronidase alfa
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : ムコ多糖症 VII 型
氏 名 又 は 名 称 : アミカス・セラピューティクス株式会社

2. 指定

- (1) 指 定 番 号 : (R2 薬) 第 4 6 4 号
医 薬 品 の 名 称 : Vestronidase alfa
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : ムコ多糖症 VII 型
氏 名 又 は 名 称 : Ultragenyx Japan 株式会社
- (2) 指 定 番 号 : (R4 薬) 第 5 4 7 号
医 薬 品 の 名 称 : luspatercept
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 骨髄異形成症候群に伴う貧血
氏 名 又 は 名 称 : ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

(3)指 定 番 号：(R4薬)第548号

医 薬 品 の 名 称：トラスツズマブ デルクステカン (遺伝子組換え)

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：HER2 遺伝子変異陽性の切除不能な進行・再発の非
小細胞肺癌

氏 名 又 は 名 称：第一三共株式会社