

医薬薬審発 0606 第 1 号  
令和 6 年 6 月 6 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 : ( 1 1 薬 ) 第 1 2 8 号  
医 薬 品 の 名 称 : エファビレンツ  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 後天性免疫不全症候群並びに症候性及び無症候性 HIV-1 感染症  
氏 名 又 は 名 称 : MSD 株式会社
- (2) 指 定 番 号 : ( R 3 薬 ) 第 5 1 8 号  
医 薬 品 の 名 称 : TransCon PTH  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 副甲状腺機能低下症  
氏 名 又 は 名 称 : Ascendis Pharma Bone Diseases A/S
- (3) 指 定 番 号 : ( R 5 薬 ) 第 5 8 5 号  
医 薬 品 の 名 称 : Obexelimab

予定される効能又は効果：IgG4 関連疾患  
氏名又は名称：Zenas BioPharma LLC

## 2. 指定

(1) 指定番号：(R 3 薬) 第 5 1 8 号  
医薬品の名称：TransCon PTH  
予定される効能又は効果：副甲状腺機能低下症  
氏名又は名称：帝人ファーマ株式会社

(2) 指定番号：(R 5 薬) 第 5 8 5 号  
医薬品の名称：Obexelimab  
予定される効能又は効果：IgG4 関連疾患  
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：(R 6 薬) 第 6 0 1 号  
医薬品の名称：MSA-01  
予定される効能又は効果：多系統萎縮症  
氏名又は名称：ノーベルファーマ株式会社  
優先審査・優先相談：該当

(4) 指定番号：(R 6 薬) 第 6 0 2 号  
医薬品の名称：ブデソニド  
予定される効能又は効果：IgA 腎症  
氏名又は名称：ヴィアトリス製薬株式会社  
優先審査・優先相談：該当

(5) 指定番号：(R 6 薬) 第 6 0 3 号  
医薬品の名称：cannabidiol  
予定される効能又は効果：Dravet 症候群におけるてんかん発作  
氏名又は名称：ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会社  
優先審査・優先相談：該当

(6) 指定番号：(R 6 薬) 第 6 0 4 号  
医薬品の名称：cannabidiol  
予定される効能又は効果：Lennox-Gastaut 症候群におけるてんかん発作  
氏名又は名称：ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会社  
優先審査・優先相談：該当

(7)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 5 号

医 薬 品 の 名 称 : cannabidiol

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 結 節 性 硬 化 症 に お け る て ん かん 発 作

氏 名 又 は 名 称 : ジャズファーマシューティカルズジャパン株式会  
社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(8)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 6 号

医 薬 品 の 名 称 : イボシデニブ

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : *IDH1* 遺 伝 子 変 異 陽 性 の 急 性 骨 髄 性 白 血 病

氏 名 又 は 名 称 : 日 本 セ ル ヴ ィ エ 株 式 会 社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当

(9)指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 7 号

医 薬 品 の 名 称 : KD-416

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 血 液 凝 固 第 X 因 子 欠 乏 症 患 者 の 出 血 傾 向 の 抑 制

氏 名 又 は 名 称 : KM バ イ オ ロ ジ ク ス 株 式 会 社

優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当