

薬食審査発0319第1号
平成24年3月19日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬食品局審査管理課長



希少疾病用医薬品の指定取消し及び希少疾病用医薬品の指定について

薬事法（昭和35年法律第145号）第77条の2の4の規定に基づき試験研究等の中止届が提出された下記の希少疾病用医薬品について、同法第77条の2の5の規定に基づき指定が取り消され、また、同法第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. 指定の取消し

- (1) 指 定 番 号：(13薬) 第149号
医 薬 品 の 名 称：乾燥スルホ化人免疫グロブリン
予定される効能、効果又は対象疾病：多発性硬化症の増悪発作再発頻度の減少及び疾患重篤化の抑制
申 請 者 の 氏 名：一般財団法人化学及血清療法研究所
- (2) 指 定 番 号：(15薬) 第150号
医 薬 品 の 名 称：乾燥スルホ化人免疫グロブリン
予定される効能、効果又は対象疾病：多発性硬化症の増悪発作再発頻度の減少及び疾患重篤化の抑制
申 請 者 の 氏 名：帝人ファーマ株式会社



2. 指定

- (1) 指 定 番 号 : (24薬) 第263号
医 薬 品 の 名 称 : イマチニブメシル酸塩
予定される効能、効果又は対象疾病 : 肺動脈性肺高血圧症
申 請 者 の 氏 名 : ノバルティス ファーマ株式会社
- (2) 指 定 番 号 : (24薬) 第264号
医 薬 品 の 名 称 : 無水ベタイン
予定される効能、効果又は対象疾病 : 以下の欠損又は異常を伴う、ホモシスチン尿症の補助療法
・シスタチオンβ合成酵素 (CBS)
・5,10-メチレンテトラヒドロ葉酸還元酵素 (MTHFR)
・コバラミン補酵素代謝 (cbl)
申 請 者 の 氏 名 : 株式会社レクメド
- (3) 指 定 番 号 : (24薬) 第265号
医 薬 品 の 名 称 : Z-521
予定される効能、効果又は対象疾病 : くる病・骨軟化症を伴う低リン血症
申 請 者 の 氏 名 : ゼリア新薬工業株式会社
- (4) 指 定 番 号 : (24薬) 第266号
医 薬 品 の 名 称 : クロファラビン
予定される効能、効果又は対象疾病 : 再発又は難治性の急性リンパ性白血病
申 請 者 の 氏 名 : ジェンザイム・ジャパン株式会社
- (5) 指 定 番 号 : (24薬) 第267号
医 薬 品 の 名 称 : プレンツキシマブ ベドチン
予定される効能、効果又は対象疾病 : CD30 陽性のホジキンリンパ腫及び未分化大細胞リンパ腫
申 請 者 の 氏 名 : 武田薬品工業株式会社、武田バイオ開発センター株式会社
- (6) 指 定 番 号 : (24薬) 第268号
医 薬 品 の 名 称 : 遺伝子組換え型フォンビルブランド因子 (rVWF)
予定される効能、効果又は対象疾病 : フォンビルブランド病患者に対し、血漿中フォンビルブランド因子を補い、その出血傾向を抑制する。
申 請 者 の 氏 名 : バクスター株式会社

(7) 指 定 番 号 : (24薬) 第269号

医 薬 品 の 名 称 : ルリオクトコグ アルファ (遺伝子組換え)

予定される効能、効果又は対象疾病 : 血漿中の血液凝固第Ⅷ因子濃度が低下しているフォンビルブランド病患者に対し、血漿中の血液凝固第Ⅷ因子を補い、その出血傾向を抑制する。

申 請 者 の 氏 名 : バクスター株式会社