

薬生薬審発 0824 第 5 号
令和 3 年 8 月 24 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等について

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の希少疾病用医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項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、通知いたします。

記

1. 指定の取消し

(1) 指 定 番 号：（29薬）第407号
医 薬 品 の 名 称：モガムリズマブ（遺伝子組換え）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：HTLV-1 関連脊髄症（HAM）
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：協和キリン株式会社

(2) 指 定 番 号：（R3薬）第515号
医 薬 品 の 名 称：amifampridine
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ランバート・イートン筋無力症候群による筋力低下
の改善
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：Catalyst Pharmaceuticals, Inc.

2. 指定

(1) 指 定 番 号：（R3薬）第515号
医 薬 品 の 名 称：amifampridine
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ランバート・イートン筋無力症候群による筋力低下
の改善
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：ダイドーフーマ株式会社

(2)指 定 番 号：(R3薬)第519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
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：Zogenix Japan 株式会社

(3)指 定 番 号：(R3薬)第520号
医 薬 品 の 名 称：アシミニブ塩酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：前治療薬に抵抗性又は不耐容の慢性骨髄性白血病
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：ノバルティスファーマ株式会社

(4)指 定 番 号：(R3薬)第521号
医 薬 品 の 名 称：ボソリチド(遺伝子組換え)
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社