

医薬薬審発 0619 第 1 号
令和 6 年 6 月 19 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、下記 1 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

- (1) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 8 号
医 薬 品 の 名 称 : ベネトクラクス
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫
氏 名 又 は 名 称 : アッヴィ合同会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 該 当
- (2) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 0 9 号
医 薬 品 の 名 称 : エンコラフェニブ
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : BRAF 遺伝子変異を有する治癒切除不能な進行・
再発の結腸・直腸癌
氏 名 又 は 名 称 : 小野薬品工業株式会社
優 先 審 査 ・ 優 先 相 談 : 非 該 当
- (3) 指 定 番 号 : (R 6 薬) 第 6 1 0 号
医 薬 品 の 名 称 : カナキヌマブ (遺伝子組換え)

予定される効能又は効果：既存治療で効果不十分な成人発症スチル病
氏名又は名称：ノバルティスファーマ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(4)指 定 番 号：(R6薬)第611号
医薬品の名称：デュルバルマブ(遺伝子組換え)
予定される効能又は効果：根治的化学放射線療法後に疾患進行が認められな
い限局型小細胞肺癌
氏名又は名称：アストラゼネカ株式会社
優先審査・優先相談：該当

(5)指 定 番 号：(R6薬)第612号
医薬品の名称：sepiapterin
予定される効能又は効果：フェニルケトン尿症
氏名又は名称：PTCセラピューティクス株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(6)指 定 番 号：(R6薬)第613号
医薬品の名称：SJP-0008
予定される効能又は効果：網膜中心動脈閉塞症による視力低下の改善
氏名又は名称：千寿製薬株式会社
優先審査・優先相談：該当