

医薬機審発 0312 第 1 号  
令和 7 年 3 月 12 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長  
（ 公 印 省 略 ）

希少疾病用再生医療等製品の指定について

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、希少疾病用再生医療等製品が下記のとおり指定されましたので、通知します。

記

指 定 番 号：(R7再) 第 30 号

再生医療等製品の名称：mRNA-3927

予定される効能、効果又は性能：プロピオン酸血症

申請者の氏名又は名称：モデルナ・ジャパン株式会社

医薬機審発 0312 第 2 号  
令和 7 年 3 月 12 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長  
（ 公 印 省 略 ）

希少疾病用再生医療等製品の指定について

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、希少疾病用再生医療等製品が下記のとおり指定されましたので、通知します。

記

指 定 番 号 : (R7 再) 第 31 号  
再生医療等製品の名称 : Avalotcagene ontaparvovec  
予定される効能、効果又は性能 : オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症  
申請者の氏名又は名称 : Ultragenyx Japan 株式会社

医薬機審発 0312 第 3 号  
令和 7 年 3 月 12 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長  
（ 公 印 省 略 ）

希少疾病用再生医療等製品の指定について

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、希少疾病用再生医療等製品が下記のとおり指定されましたので、通知します。

記

指 定 番 号：(R7再) 第 32 号  
再生医療等製品の名称：nadofaragene firadenovec  
予定される効能、効果又は性能：Bacillus Calmette-Guerin (BCG) が十分に奏  
効しない筋層非浸潤性膀胱癌  
申請者の氏名又は名称：フェリング・ファーマ株式会社