

医薬薬審発 0627 第 3 号
令和 7 年 6 月 27 日

日本製薬団体連合会会長 殿
各 地 方 厚 生 局 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

今般、別添写しのとおり、各都道府県衛生主管部（局）長等宛てに通知したので、御了知願います。



医薬薬審発 0627 第 2 号
令和 7 年 6 月 27 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下記 1. の医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき、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. の医薬品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：(31薬)第429号
医 薬 品 の 名 称：sutimlimab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：寒冷凝集素症患者における溶血抑制
氏 名 又 は 名 称：サノフィ株式会社

2. 指定

(1)指 定 番 号：(31薬)第429号
医 薬 品 の 名 称：sutimlimab
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：寒冷凝集素症患者における溶血抑制
氏 名 又 は 名 称：レコルダティ・レア・ディジーズ・ジャパン株式会社

(2)指 定 番 号：(R7薬)第698号
医 薬 品 の 名 称：setrusumab

予定される効能又は効果：骨形成不全症
氏名又は名称：Ultragenyx Japan 株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(3)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 6 9 9 号
医 薬 品 の 名 称：タミバロテン
予定される効能又は効果：常染色体顕性（優性）多発性嚢胞腎
氏名又は名称：リジェネフロ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(4)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 0 0 号
医 薬 品 の 名 称：ラブリズムブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：造血幹細胞移植後血栓性微小血管症
氏名又は名称：アレクシオンファーマ合同会社
優先審査・優先相談：非該当

(5)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 0 1 号
医 薬 品 の 名 称：リツキシマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：頻回再発型あるいはステロイド依存性のネフローゼ
症候群
氏名又は名称：全薬工業株式会社
優先審査・優先相談：非該当
備 考：今回の申請における対象疾患は、成人期発症の頻
回再発型あるいはステロイド依存性のネフローゼ
症候群に限定される。

(6)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 0 2 号
医 薬 品 の 名 称：リネリキシバット
予定される効能又は効果：原発性胆汁性胆管炎におけるそう痒症
氏名又は名称：グラクソ・スミスクライン株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(7)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 0 3 号
医 薬 品 の 名 称：Riliprubart
予定される効能又は効果：慢性炎症性脱髄性多発根神経炎
氏名又は名称：サノフィ株式会社
優先審査・優先相談：非該当

(8)指 定 番 号：(R 7 薬) 第 7 0 4 号
医 薬 品 の 名 称：golcadomide hydrochloride

予定される効能又は効果：濾胞性リンパ腫

氏名又は名称：ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

優先審査・優先相談：非該当

(9)指 定 番 号：(R7薬)第705号

医薬品の名称：イボシデニブ

予定される効能又は効果：がん化学療法後に増悪した *IDH1* 遺伝子変異陽性の
治癒切除不能な胆道癌

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：非該当

(10)指 定 番 号：(R7薬)第706号

医薬品の名称：リソバリシブメシル酸塩水和物

予定される効能又は効果：がん化学療法後に増悪した *PIK3CA* 遺伝子変異を有
する進行・再発の卵巣明細胞癌

氏名又は名称：海和製薬株式会社

優先審査・優先相談：該当

(11)指 定 番 号：(R7薬)第707号

医薬品の名称：anakinra

予定される効能又は効果：全身型若年性特発性関節炎、成人発症スチル病

氏名又は名称：Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社

優先審査・優先相談：非該当