

薬生薬審発 1125 第 9 号  
令和 2 年 11 月 25 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 2 薬) 第 4 8 9 号  
医 薬 品 の 名 称 : BIIB067  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 筋萎縮性側索硬化症  
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称 : バイオジェン・ジャパン株式会社
- (2) 指 定 番 号 : (R 2 薬) 第 4 9 0 号  
医 薬 品 の 名 称 : Rozanolixizumab  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 全身型重症筋無力症  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : ユーシービージャパン株式会社
- (3) 指 定 番 号 : (R 2 薬) 第 4 9 1 号  
医 薬 品 の 名 称 : シロリムス  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 難治性脈管腫瘍・脈管奇形  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : ノーベルファーマ株式会社
- (4) 指 定 番 号 : (R 2 薬) 第 4 9 2 号  
医 薬 品 の 名 称 : アバルグルコシダーゼ アルファ（遺伝子組換え）  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 糖原病Ⅱ型  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : サノフィ株式会社

- (5)指 定 番 号：(R 2薬) 第493号  
医 薬 品 の 名 称：ダラツムマブ（遺伝子組換え）・ボルヒアルロニダ  
ーゼアルファ（遺伝子組換え）配合注射剤  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：全身性ALアミロイドーシス  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：ヤンセンファーマ株式会社
- (6)指 定 番 号：(R 2薬) 第494号  
医 薬 品 の 名 称：ボルテゾミブ  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：全身性ALアミロイドーシス  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：ヤンセンファーマ株式会社
- (7)指 定 番 号：(R 2薬) 第495号  
医 薬 品 の 名 称：セルペルカチニブ  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：*RET* 融合遺伝子陽性の切除不能な進行・再発の非小  
細胞肺癌  
*RET* 融合遺伝子陽性の根治切除不能な甲状腺癌  
*RET* 遺伝子変異陽性の根治切除不能な甲状腺髄様癌  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：日本イーライリリー株式会社