

薬生薬審発 0918 第 6 号  
令和 2 年 9 月 18 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取消し及び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 5 の規定に基づき、試験研究等の中止届が提出された医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき下記 1. の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. 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 : ( 3 1 薬 ) 第 4 4 5 号

医 薬 品 の 名 称 : andexanet alfa

予定される効能又は効果 : 直接作用型第 Xa 因子阻害剤（アピキサバン、リバーロキサバン又はエドキサバン）投与中の患者における、生命を脅かす出血又は止血困難な出血の発現時の抗凝固作用の中和

届け出た者の氏名又は名称 : ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

### 2. 指定

(1) 指 定 番 号 : ( 3 1 薬 ) 第 4 4 5 号

医 薬 品 の 名 称 : andexanet alfa

予定される効能又は効果 : 直接作用型第 Xa 因子阻害剤（アピキサバン、リバーロキサバン又はエドキサバン）投与中の患者における、生命を脅かす出血又は止血困難な出血の発現時の抗凝固作用の中和

届け出た者の氏名又は名称 : アレクシオンファーマ合同会社

- (2)指 定 番 号：(R2薬)第484号  
医 薬 品 の 名 称：サルグラモスチム (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：自己免疫性肺胞蛋白症  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：ノーベルファーマ株式会社
- (3)指 定 番 号：(R2薬)第485号  
医 薬 品 の 名 称：イピリムマブ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：悪性胸膜中皮腫  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社
- (4)指 定 番 号：(R2薬)第486号  
医 薬 品 の 名 称：パビナフスプ アルファ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ムコ多糖症Ⅱ型  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：JCRファーマ株式会社
- (5)指 定 番 号：(R2薬)第487号  
医 薬 品 の 名 称：オリプダーゼ アルファ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：酸性スフィンゴリエリナーゼ欠損症  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：サノフィ株式会社
- (6)指 定 番 号：(R2薬)第488号  
医 薬 品 の 名 称：ミドスタウリン  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：*FLT3* 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：ノバルティスファーマ株式会社