

薬生薬審発 0914 第 1 号
平成 30 年 9 月 14 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、希少疾病用医薬品が下記のとおり指定されたので、通知する。

記

1. 指定

- (1) 指 定 番 号：（30薬）第418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：発作性夜間ヘモグロビン尿症
申 請 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：（30薬）第419号
医 薬 品 の 名 称：Defibrotide
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：造血幹細胞移植後の肝中心静脈閉塞症（肝類洞閉塞症候群）
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：日本新薬株式会社
- (3) 指 定 番 号：（30薬）第420号
医 薬 品 の 名 称：セルリポナーゼ アルファ（遺伝子組換え）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：セロイドリポフスチン症 2 型
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社