

薬生薬審発0524第1号  
平成30年5月24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下記の希少疾病用医薬品について、同法第77条の6第1項の規定に基づき指定が取り消され、また、同法第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. 指定の取消し

- (1) 指 定 番 号：(22薬)第237号  
医 薬 品 の 名 称：ドリサペルセンナトリウム  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：Duchenne型筋ジストロフィー  
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称：BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社

### 2. 指定

- (1) 指 定 番 号：(30薬)第414号  
医 薬 品 の 名 称：タファミジスメグルミン  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：トランスサイレチン型心アミロイドーシス  
(TTR-CM)  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：ファイザー株式会社
- (2) 指 定 番 号：(30薬)第415号  
医 薬 品 の 名 称：ブロスマブ（遺伝子組換え）  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：FGF23 関連低リン血症性くる病・骨軟化症  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：協和発酵キリン株式会社