

薬食審査発0513第1号
平成26年5月13日

都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬食品局審査管理課長
（ 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

薬事法（昭和35年法律第145号）第77条の2の4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2の5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：(21薬)第221号
医 薬 品 の 名 称：MC710（乾燥濃縮人血液凝固第X因子加活性化第VII因子）
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：血液凝固第VIII因子又は第IX因子に対するインヒビターを保有する先天性血友病患者の出血抑制
申 請 者 の 氏 名：一般財団法人 化学及血清療法研究所

2. 指定

- (1) 指 定 番 号：(26薬)第332号

医薬品の名称：EPI-743
予定される効能又は効果：リー脳症
申請者の氏名：大日本住友製薬株式会社

(2) 指定番号：(26薬)第333号
医薬品の名称：catridecacog
予定される効能又は効果：先天性血液凝固第 XIII 因子 A サブユニット欠乏患者の出血抑制
申請者の氏名：ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

(3) 指定番号：(26薬)第334号
医薬品の名称：カナキヌマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：メバロン酸キナーゼ欠乏症
申請者の氏名：ノバルティス ファーマ株式会社

(4) 指定番号：(26薬)第335号
医薬品の名称：カナキヌマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：TNF 受容体関連周期性症候群
申請者の氏名：ノバルティス ファーマ株式会社

(5) 指定番号：(26薬)第336号
医薬品の名称：カナキヌマブ（遺伝子組換え）
予定される効能又は効果：家族性地中海熱
申請者の氏名：ノバルティス ファーマ株式会社

(6) 指定番号：(26薬)第337号
医薬品の名称：MC710（乾燥濃縮人血液凝固第 X 因子加活性化第 VII 因子）
予定される効能又は効果：血液凝固第 VIII 因子又は第 IX 因子に対するインヒビターを保有する患者の出血抑制
申請者の氏名：一般財団法人 化学及血清療法研究所