

薬生薬審発 1216 第 1 号  
令和 4 年 12 月 16 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 番 号：(R 4 薬) 第 5 5 0 号  
医 薬 品 の 名 称：Maralixibat chloride  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：アラジール症候群  
氏 名 又 は 名 称：武田薬品工業株式会社
- (2) 指 定 番 号：(R 4 薬) 第 5 5 1 号  
医 薬 品 の 名 称：Maralixibat chloride  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：進行性家族性肝内胆汁うっ滞症  
氏 名 又 は 名 称：武田薬品工業株式会社
- (3) 指 定 番 号：(R 4 薬) 第 5 5 2 号  
医 薬 品 の 名 称：ケノデオキシコール酸  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：脳腱黄色腫症  
氏 名 又 は 名 称：藤本製薬株式会社
- (4) 指 定 番 号：(R 4 薬) 第 5 5 3 号  
医 薬 品 の 名 称：Rilzabrutinib  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：慢性特発性血小板減少性紫斑病  
氏 名 又 は 名 称：サノフィ株式会社

(5)指 定 番 号：(R 4 薬) 第 5 5 4 号  
医 薬 品 の 名 称：エフガルチギモド アルファ (遺伝子組換え)  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：慢性特発性血小板減少性紫斑病  
氏 名 又 は 名 称：アルジェニクスジャパン株式会社

(6)指 定 番 号：(R 4 薬) 第 5 5 5 号  
医 薬 品 の 名 称：apadamtase alfa/cinaxadamtase alfa  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：血栓性血小板減少性紫斑病  
氏 名 又 は 名 称：武田薬品工業株式会社