

医薬薬審発 0915 第 4 号
令和 5 年 9 月 15 日

各 都 道 府 県 衛 生 主 管 部 (局) 長 殿
独立行政法人医薬品医療機器総合機構 理事長 殿
国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所 理事長 殿

厚生労働省医薬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 1. 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

- (1) 指 定 番 号 : (R 5 薬) 第 5 8 1 号
医 薬 品 の 名 称 : ダブラフェニブメシル酸塩
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : BRAFV600 遺伝子変異を有する再発又は難治性の有毛細胞白血病
氏 名 又 は 名 称 : ノバルティスファーマ株式会社
- (2) 指 定 番 号 : (R 5 薬) 第 5 8 2 号
医 薬 品 の 名 称 : ترامチニブ ジメチルスルホキシド付加物
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : BRAFV600 遺伝子変異を有する再発又は難治性の有毛細胞白血病
氏 名 又 は 名 称 : ノバルティスファーマ株式会社
- (3) 指 定 番 号 : (R 5 薬) 第 5 8 3 号
医 薬 品 の 名 称 : セルペルカチニブ
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : RET 融合遺伝子陽性の進行・再発の固形癌（非小細胞肺癌及び甲状腺癌を除く）

氏名又は名称：日本イーライリリー株式会社

(4)指 定 番 号：(R5薬)第584号

医薬品の名称：Treosulfan

予定される効能又は効果：同種造血幹細胞移植の前治療

氏名又は名称：日本メダック株式会社