

医薬薬審発 1121 第 13 号  
令和 5 年 11 月 21 日

各都道府県衛生主管部（局）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医薬品について、同法第 77 条の 6 第 1 項の規定に基づき、下記 1 の希少疾病用医薬品の指定を取り消し、また、同法第 77 条の 2 第 1 項の規定に基づき、下記 2 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 指定の取消し

- (1) 指 定 番 号 : ( 3 1 薬 ) 第 4 3 2 号  
医 薬 品 の 名 称 : evinacumab  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 家族性高コレステロール血症（ホモ接合体）  
届 け 出 た 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 株式会社 Integrated Development Associates

### 2 指定

- (1) 指 定 番 号 : ( 3 1 薬 ) 第 4 3 2 号  
医 薬 品 の 名 称 : evinacumab  
予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 家族性高コレステロール血症（ホモ接合体）  
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : Ultragenyx Japan 株式会社