

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