

薬生薬審発 0820 第 3 号
令和元年 8 月 20 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、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

(1) 指 定 品 番 号 : (31 薬) 第 440 号

医 薬 品 の 名 称 : ビルトラルセン

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : エクソン 53 スキップイングにより治療可能なジ
ストロフィン遺伝子の欠失が確認されている
デュシエンヌ型筋ジストロフィー

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 日本新薬株式会社

(2) 指 定 品 番 号 : (31 薬) 第 441 号

医 薬 品 の 名 称 : チラゾルチニブ塩酸塩

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果 : 中枢神経系原発リンパ腫
申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称 : 小野薬品工業株式会社

