

薬生薬審発 0524 第 2 号
令和 3 年 5 月 24 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 番 号：(R 3 薬) 第 5 1 4 号

医 薬 品 の 名 称：エクリズマブ（遺伝子組換え）

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ギラン・バレー症候群

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：アレクシオンファーマ合同会社

(2) 指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 1 5 号

医 薬 品 の 名 称：amifampridine

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：ランバート・イートン筋無力症候群による筋力低下
の改善

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：Catalyst Pharmaceuticals, Inc.

(3) 指 定 番 号：(R 3 薬) 第 5 1 6 号

医 薬 品 の 名 称：バルドキソロンメチル

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果：アルポート症候群における腎機能の改善

申 請 者 の 氏 名 又 は 名 称：協和キリン株式会社