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取消し及び指定について

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: (R4薬)第544号

医薬品の名称:ペミガチニブ

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果: *FGFR1* 融合遺伝子陽性の骨髄性又はリンパ性腫瘍 氏 名 又 は 名 称:インサイト・バイオサイエンシズ・ジャパン合同 会社

(2)指 定 番 号: (R4薬)第545号

医薬品の名称: アザシチジン

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果:急性骨髄性白血病における寛解導入療法後の維持

療法

氏 名 又 は 名 称:ブリストル・マイヤーズスクイブ株式会社

(3)指 定 番 号: (R4薬)第546号

医薬品の名称: TAK-611

予 定 さ れ る 効 能 又 は 効 果:異染性白質ジストロフィー 氏 名 又 は 名 称:武田薬品工業株式会社