

希少疾病用医薬品の指定のお知らせ

ノーベルファーマ株式会社（本社：東京都、社長：塩村 仁）は2021年2月19日付で、開発中の医薬品アセノイラミン酸につきまして、厚生労働大臣より医薬品、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に基づき、希少疾病用医薬品として指定を受けました。

医薬品の名称	アセノイラミン酸
予定される効能又は効果	GNE ミオパチーによる筋力低下の進行抑制

当社は、2003年より必要なのに顧みられない疾患に対する医薬品・医療機器の研究開発を通して医療に貢献して参りました。アンメットメディカルニーズに応える医薬品・医療機器の開発を目的とし、患者団体や学会等が強く望まれる医薬品・医療機器を優先的に開発しています。

現在、アンメットメディカルニーズ医薬品・医療機器を中心に17製品の製造販売承認を取得し、開発中の品目を含め13品目が希少疾病用医薬品・医療機器の指定品目、2品目が先駆け審査指定制度の指定を受けています。

今後ともアンメットメディカルニーズ医薬品・医療機器の提供を通して社会に貢献してまいります。

以上

【本件に関する問合せ先】

ノーベルファーマ株式会社

執行役員管理本部長 早瀬浩三

〒104-0033 東京都中央区新川一丁目17番24号

Tel:03-6670-3802

希少疾病用医薬品指定品目及び先駆け審査指定制度指定品目

	販売名 (一般的名称)	効能又は効果 (予定される効能又は効果)	希少疾病用 医薬品	先駆け審査 指定
1	ノベルジン錠 25mg・錠 50mg、顆粒 5% (酢酸亜鉛水和物)	ウイルソン病(肝レンズ核変性 症)	○	
2	ノーベルバル静注用 250mg (フェノバルビタールナ トリウム)	新生児けいれん	○	
3	アラベル内用剤 1.5g (アミノレブリン酸塩酸	悪性神経膠腫の腫瘍摘出術 中における腫瘍組織の可視化	○	
4	塩)	経尿道的膀胱腫瘍切除術時 における筋層非浸潤性膀胱癌 の可視化 ^{※1}	○	
5	ギリアデル脳内留置用 剤 7.7mg ^{※2} (カルムスチン)	悪性神経膠腫	○	
6	ザノサー点滴静注用 1g (ストレプトシン)	膵・消化管神経内分泌腫瘍	○	
7	レスピア静注・経口液 60mg (無水カフェイン)	早産・低出生体重児における 原発性無呼吸(未熟児無呼吸 発作)	○	
8	ラパリムス錠 1mg (シロリムス)	リンパ脈管筋腫症	○	
9	ラパリムスゲル 0.2% (シロリムス)	結節性硬化症に伴う皮膚病変	○	○
10	サルグラモスチム ^{※3} (申請準備中)	自己免疫性肺胞蛋白症	○	
11	シロリムス ^{※3} (申請中)	難治性脈管腫瘍・脈管奇形	○	
12	アセノイラミン酸 ^{※3} (第Ⅲ相試験実施中)	GNE ミオパチーによる筋力低 下の進行抑制	○	

※1:共同開発企業との協議により、製造販売承認申請を行わずに取り下げています。

※2:エーザイ株式会社に製造販売承認の承継を行っています。

※3:未承認品目は「一般的名称」で、効能又は効果は「予定される効能又は効果」で記載しています。

希少疾病用医療機器指定品目及び先駆け審査指定制度指定品目

	販売名 (一般的名称)	使用目的又は効果	希少疾病用 医療機器	先駆け審査 指定
1	チタンブリッジ※ ¹ (甲状軟骨固定用器具)	内転型痙攣性発声障害にお ける症状の改善	○	○

※1:チタンブリッジは高度管理医療機器です。