

2021年4月1日

ノーベルファーマ株式会社

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参ります。

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 | ノーベルパール静注用 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。