## 先駆的医薬品 指定品目一覧表

指定番号	指定日	医薬品の名称	申請者	予定される効能又は効果	承認日	製造販売承認 を受けた販売名	有効成分の 一般名	製造販売承認を受けた者	製造販売承認を受けた効能又は効果	備考
(R3 先駆薬) 第 1 号	2021.8.24	ペポネジスタット塩酸塩	武田薬品工業株式会社	骨髄異形成症候群(骨髄芽球比率が 20~30%の急性骨髄性白血病を含む)	_	_	_	_	_	指定取消 (2021.12.9)
(R3 先駆薬) 第 2 号	2021.11.26	バリシチニブ		I型インターフェロン関連自己 炎症性疾患(中條-西村症候 群、乳児発症性 STING 関連血 管炎、エカルディ・グティエー ル症候群)	_	_	_	_	_	指定取消 (2024.9.20)
(R5 先駆薬) 第 3 号	2023.3.7	telisotuzumab vedotin		c-Met 高度過剰発現が確認され たがん化学療法後に増悪した切 除不能な進行・再発の非小細胞 肺癌(扁平上皮癌を除く)	_	_	_	_	_	
(R5 先駆薬) 第 4 号	2023.3.24	Lu AF82422	ルンドベッ ク・ジャパ ン株式会社	多系統萎縮症	_	_	_	_	_	
(R5 先駆薬) 第 5 号	2023.3.24	サトラリズマ ブ(遺伝子組 換え)	中外製薬株式会社	自己免疫介在性脳炎	_	_	_	_	_	
(R5 先駆薬) 第 6 号	2023.3.24	サトラリズマ ブ(遺伝子組 換え)	中外製薬株式会社	抗ミエリンオリゴデンドロサイ ト糖タンパク質抗体関連疾患	_	_	_	_	_	

指定番号	指定日	医薬品の名称	申請者	予定される効能又は効果	承認日	製造販売承認 を受けた販売名	有効成分の 一般名	製造販売承認 を受けた者	製造販売承認を受けた効能又は効果	備考
(R6 先駆薬) 第 7 号	2024.3.25	brigimadlin	日本ベーリ ンガーイン ゲルハイム 株式会社	進行・再発の脱分化型脂肪肉腫	_	_	_	-	_	指定取消 (2025.2.19)
(R6 先駆薬) 第 8 号	2024.06.19	キセビナパント	メルクバイ オファーマ 株式会社	局所進行の頭頸部癌	_	_	_	-	_	指定取消 (2024.9.20)
(R6 先駆薬) 第 9 号	2024.06.19	tinlarebant	Belite Bio, Inc.	スタルガルト病	_	_	_	_	_	
(R6 先駆薬) 第 10 号	2024.08.27	ベピロビルセ ンナトリウム	グラクソ・ スミスクラ イン株式会 社	核酸アナログによる治療中で HBs 抗原量が 3000 IU/mL 以下 の B 型肝炎ウイルス持続感染患 者(肝硬変を除く)における治 療	_	_	_	-	_	
(R6 先駆薬) 第 11 号	2024.08.27	Nerandomilast	日本ベーリ ンガーイン ゲルハイム 株式会社	特発性肺線維症	_	_	_	_	_	指定取消 (2025.2.19)
(R6 先駆薬) 第 12 号	2024.11.27	<u>イクレペルチ</u> ン	日本ベーリンガーインゲルハイム株式会社	統合失調症の認知機能障害	_	_	_	-	_	

2025年2月28日現在

指定番号	指定日	医薬品の名称	申請者	予定される効能又は効果	承認日	製造販売承認 を受けた販売名	有効成分の 一般名	製造販売承認 を受けた者	製造販売承認を受けた効能又は効果	備考
(R6 先駆薬) 第 13 号	2024.11.27	ブロギジルセ ン	日本新薬株	エクソン 44 スキッピ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ェンヌ型筋ジストロフィー	_	_	_	-	_	

なお、指定医薬品の使用に際して体外診断用医薬品等が必要とされる場合には併せて対応を行う。