

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	ペボネジスタ 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	日本イーラ イリリー株 式会社	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	アッヴィ合 同会社	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）	—	—	—	—	—	指定取消 (2025.3.28)
(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	ビライトバ イオ株式会 社	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	<u>2026.8.24</u>	<u>ヒブサーゴ皮下 注 150 mg シリ ンジ</u>	<u>ベピロビル センナトリ ウム</u>	<u>グラクソ・ス ミスクライン 株式会社</u>	<u>B 型肝炎ウイルス 持続感染における 機能的治癒</u>	
(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	イクレペルチ 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	—	—	—	—	—	指定取消 (2025.3.28)

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	プロギジルセ ン	日本新薬株 式会社	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	—	—	—	—	—	
(R7 先駆薬) 第 14 号	2025.9.29	Oveporexton	武田薬品工 業株式会社	ナルコレプシータイプ 1	2026.8.24	<u>オーゼイフル錠</u> <u>0.5 mg、</u> <u>同錠 1 mg、</u> <u>同錠 2 mg</u>	<u>オベポレク</u> <u>ストーン</u>	<u>武田薬品工業</u> <u>株式会社</u>	<u>ナルコレプシータ</u> <u>イプ 1</u>	
(R8 先駆薬) 第 15 号	2026.6.23	etentamig	アッヴィ合 同会社	再発又は難治性の全身性 AL アミロイドーシス	—	—	—	—	—	
(R8 先駆薬) 第 16 号	2026.8.25	<u>NS-035</u>	<u>日本新薬株</u> <u>式会社</u>	<u>福山型先天性筋ジストロフィ</u> <u>ニ</u>	—	—	—	—	—	
(R8 先駆薬) 第 17 号	2026.8.25	<u>MSA-01</u>	<u>ノーベルフ</u> <u>ァーマ株式</u> <u>会社</u>	<u>多系統萎縮症</u>	—	—	—	—	—	

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。