○ 根据药事法第 77-2 条第 1 款的规定指定孤儿药或孤儿医疗器械

（2007 年 4 月 3 日）

（厚生省告示第86号）

根据药事法（昭和 35 年第 145 号法律）第 77 条第 2 款第 1 项的规定，自 2007 年 4 月 1 日起，以下项目已被指定为孤儿药和孤儿病医疗器械，并按照该条第 2 款的规定进行公告。

1. 孤儿药

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| 药物名称 | 计划的适应症或效果 | 申请人的姓名和地址 | 指定日期 |
| 克拉屈滨 | 毛细胞白血病 | Janssen Kyowa Co.， Ltd.， 3-15 Higashi-Gotanda， Shinagawa-ku， 东京都 | 2007 年 4 月 1 日 |
| 环磷酰胺 | 急性白血病、慢性髓系白血病、骨髓增生异常综合征、恶性淋巴、 多发性骨髓再生障碍性贫血等骨髓移植的预处理。 | Shionogi Pharmaceutical Co.， Ltd.， Osaka， Osaka-shi， Chuo-ku， Doshomachi， 3-chōme-ichihachi | 2007 年 4 月 1 日 |
| 斯塔夫津 | 获得性免疫缺陷综合征和有症状和无症状 HIV 感染 6 号 | Bristol-Myers Squibb Co.， Ltd.， 7-chome， Ichiban， Akasaka， Minato-ku， 东京都 | 2007 年 4 月 1 日 |
| 膦甲酸钠水合物 | 获得性免疫缺陷综合征中的巨细胞病毒性视网膜炎 | Astra Japan Co.， Ltd.， Osaka， 大阪， Chuo-ku， Kyutaro-cho， 3-6-8 | 2007 年 4 月 1 日 |
| 美司那 | 与环磷酰胺相关的泌尿系统疾病（骨髓移植前治疗）（出血性抑制炎症、排尿困难等的表达。 | Shionogi Pharmaceutical Co.， Ltd.， Osaka， Osaka-shi， Chuo-ku， Doshomachi， 3-chōme-ichihachi | 2007 年 4 月 1 日 |
| 异构细胞酶（基因重组） | 戈谢病患者的症状（贫血、血小板减少症、肝脏改善骨骼症状等 | Genzyme Japan Co.， Ltd.， 333 Yamabuki-cho， Shinjuku-ku， 东京都 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 盐酸吉西他滨 | 癌症 | Japan Eli Lilly Co.， Ltd. 三宫广场 神户市中央区矶神通一番一护 7 丁目 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 氧氟沙星 | 麻风 | Daiichi Pharmaceutical Co.， Ltd. 东京都中央区日本桥 3-14-10 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 干磺类人免疫球蛋白 | 吉兰-巴雷综合征（行走困难的严重急性加重病例） | 化学和血清疗法研究所，熊本县，熊本县，熊本市，清水町，大久保，668 帝人有限公司，1-6-7 南本町，中央区，大阪 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 氯法齐明 | 麻风 | 日本 千叶嘉基有限公司 兵库县 宝冢市 美雪町 10-66 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 凝血因子 IX（基因重组） | B 型血友病患者出血或并发症的预防和治疗 | 遗传学研究所，美国马萨诸塞州剑桥市，剑桥公园大道，87 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 抗人 TNF-α 嵌合单克隆抗体 | 克罗恩病 | Tanabe Pharmaceutical Co.， Ltd. 3-2-10 Doshomachi， 大阪市 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 阿糖胞苷 | 复发或难治性急性白血病（包括慢性粒细胞白血病的急性转化） ) | Japan Shinyaku Co.， Ltd.， 14-ban， Kichijoin Nishinoshomonguchi-cho， Minami-ku， Kyoto | 2008 年 4 月 1 日 |
| 人促甲状腺激素 α（重组） | 甲状腺癌症引起的甲状腺切除后残留甲状腺发现与心痛补充体内诊断以识别转移性癌症中的转移部位和放射性碘治疗的预处理以促进放射性碘治疗中的碘摄取 | Sato Pharmaceutical Co.， Ltd.， 1-5-27 Motoakasaka， Minato-ku， 东京都 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 贝拉前列素钠 | 原发性肺动脉高压和肺动脉高压并发原发性疾病 | Kaken Pharmaceutical Co.， Ltd. 东京都文京区本驹込 2-28-8 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 利托那韦 | 获得性免疫缺陷综合征以及有症状和无症状的 HIV 感染 | Dynabot Co.， Ltd.， 1-9-9 Roppongi， Minato-ku， 东京都 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 利福平 | 麻风 | Kaken Pharmaceutical Co.， Ltd. 东京都文京区本驹込 2-28-8 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 利福平 | 麻风 | 5-17-4 Sumida， Sumida-ku， 东京都 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 利福平 | 麻风 | Daiichi Pharmaceutical Co.， Ltd. 东京都中央区日本桥 3-14-10 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 利福平 | 麻风 | 日本 千叶嘉基有限公司 兵库县 宝冢市 美雪町 10-66 | 2008 年 4 月 1 日 |
| 利福平 | 麻风 | Hishiyama Pharmaceutical Co.， Ltd.， 2-2-7 Doshomachi， Chuo-ku， Osaka | 2008 年 4 月 1 日 |
| 茚地那韦乙醇加合物硫酸盐 | 获得性免疫缺陷综合征以及治疗前 CD 四淋巴细胞计数小于或等于每立方毫米 500 的有症状和无症状 HIV 感染 | Manyu Pharmaceutical Co.， Ltd. 2-2-3 Japan Hashimoto-cho， Chuo-ku， 东京都 | 2008 年 4 月 1 日 |
| α-半乳糖苷酶 A | Fabry 病患者症状的改善 | Sumitomo Pharma Co.， Ltd.， Osaka， Chuo-ku， Doshomachi， 2-chōme-2-8 | 1911 年 5 月 27 日 |
| 巴利昔单抗 | 抑制肾移植后急性排斥反应 | Novartis Pharma Co.， Ltd.， 4-17-30 Nishiazabu， Minato-ku， 东京都 | 八月 25， 11 |
| 环孢素滴眼液 | 春季卡他症（当抗过敏药效果不佳时） | Santen Pharmaceutical Co.， Ltd.， Osaka， Osaka， Higashiyodogawa-ku， Shimoshinjo 3-chōme-19 | 八月 25， 11 |
| 曲妥珠单抗 | 确诊 HER2 过表达的转移性乳腺癌 | Japan Roche Co.， Ltd. 东京都港区柴 2-6-1 | 八月 25， 11 |
| α-L-伊兹罗尼酶 | 缓解 I 型粘多糖贮积症患者的症状 | Genzyme Japan Co.， Ltd.， 333 Yamabuki-cho， Shinjuku-ku， 东京都 | 八月 25， 11 |
| α-半乳糖苷酶 A | Fabry 病患者症状的改善 | Genzyme Japan Co.， Ltd.， 333 Yamabuki-cho， Shinjuku-ku， 东京都 | 八月 25， 11 |
| 生长激素（转基因） | Prader-Willi 综合征体成分异常的改善 | Pharmacia Upjohn Co.， Ltd.， 3-20-2 Nishi-Shinjuku， Shinjuku-ku， 东京都 | 六月 16， 12 |
| 巴氯芬（鞘内连续给药） | 脑（小儿）麻痹、脊髓血管意外、颈椎病、后纵韧带骨化、多发性硬化症、脊髓小脑变性（遗传性痉挛性截瘫）或外伤后遗症（脊髓损伤或头部受伤）引起的严重痉挛性麻痹 | Daiichi Pharmaceutical Co.， Ltd. 东京都中央区日本桥 3-14-10 | 四月 23， 13 |
| 万古霉素眼膏 | 眼部感染，如耐甲氧西林-头孢黄葡萄球菌和金黄色葡萄球菌引起的睑缘炎、结膜炎或角膜炎 | Toa Pharmaceutical Co.， Ltd. 富山县富山市美里 26 号 | 四月 23， 13 |
| 抗 II 型志贺样毒素人源化单克隆抗体 | II. 抑制因大肠埃希菌感染产生志贺样毒素的溶血性尿毒症综合征、脑病或溶血性贫血 | Teijin Co.， Ltd. 大阪市 大阪市 南本町 1-chōme-6-7 | 四月 23， 13 |
| Tara Polfin 钠 | 恶性脑肿瘤 | Meiji Seika Pharma Co.， Ltd. 东京都中央区京桥 2-4-16 | 八月 12， 2015 |
| BYM338 | 包涵体肌炎 | Novartis Pharma Co.， Ltd. 4-17-30， Nishiazabu， Minato-ku， 东京都 | 九月 3， 2015 |
| 美泊利单抗 | Churg-Strauss 综合征 | GlaxoSmithKline K.K. 4-6-15 千驮谷， 涩谷区， 东京都 | 九月 13， 2015 |
| 多替拉韦钠 | HIV 感染 | ViiV Healthcare Co.， Ltd. 东京都涩谷区千驮谷 4-6-15 | 九月 13， 2015 |
| Sorafenib Tosylate | 甲状腺癌 | Bayer Pharmaceutical Co.， Ltd. 2-4-9 梅田， 北区， 大阪 | 九月 13， 2015 |
| 盐酸阿来替尼 | ALK 融合基因阳性的不可切除的晚期或复发性非小细胞肺癌 | Chugai Pharmaceutical Co.， Ltd. 东京都北区浮间 5-5-1 | 九月 13， 2015 |

2. 孤儿病医疗器械

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| 医疗器械名称 | 预期用途、适应症或效果 | 申请人的姓名和地址 | 指定日期 |
| 磁性细胞分离系统 | 同种异体骨髓移植、自体骨髓移植和自体外周血干细胞移植过程中造血干细胞（CD34 阳性细胞）的分离和收集 | Baxter Co.， Ltd.， 东京都千代田区 | 2007 年 4 月 1 日 |
| 植入式心室辅助装置 | 它用于扩张型心肌病、缺血性心脏病、获得性瓣膜病、已转变为慢性心力衰竭的急性心肌炎症等终末期心力衰竭患者，以及心源性循环功能不全等其他终末期心力衰竭患者，他们正在等待心脏移植，其症状需要长期循环支持，即使使用日本批准使用的辅助循环和最大程度的药物治疗也难以生存， 通过预防和改善心力衰竭引起的次级器官功能障碍，减少术前服用药物的种类和用量，改善终末期心力衰竭患者的心脏功能和一般状况。 | Nissho Co.， Ltd.， Osaka， Osaka， Kita-ku， 本庄 Nishi 3-chōme-9-3 | 1911 年 5 月 27 日 |
| 吸附式血液净化器 | 诱导活动期克罗恩病患者的缓解 | Japan Antibody Research Institute， Inc. 群马县高崎市西横手町 351 号 | 四月 23， 13 |
| 用于连续计量的植入式可编程泵 | 脑（小儿）麻痹、脊髓血管意外、颈椎病、后纵韧带骨化、多发性硬化症、脊髓小脑变性（遗传性痉挛性截瘫）或外伤后遗症（脊髓损伤或头部受伤）引起的严重痉挛性麻痹 | Japan Medtronic Co.， Ltd. 神奈川县 川崎市 西外区 堀川町 580 Solid Square West Building | 八月 1， 13 |
| 血细胞去除净化器 | 白塞病伴难治性视网膜葡萄膜炎患者的眼部癫痫发作抑制 | JIMRO Co.， Ltd. 群马县 Takasaki-shi， Nishiyokote-cho， 351-ji1 | 十月 14， 17 |
| 中枢循环系统血管内插头促进补充剂材料 | 本产品不适用于外科手术（夹闭手术等）或插头线圈：单手线圈难以用堵塞治疗的未破裂的大脑动脉在最大直径为 10 毫米或以上的患者中，宽颈型（定义为颈部为 4 毫米或以上或圆顶/颈比小于 2）脑动脉对于弹簧圈它用于防止栓塞过程中线圈块突出或偏向载瘤动脉。 | Johnson & Johnson K.K. 3-5-2 Nishikanda， Chiyoda-ku， 东京 | 十二月 9， 17 |
| 植入式心室辅助装置系统 | 改善和维持符合心脏移植条件、符合心脏移植条件的患者，以及由于心脏功能恶化而面临迫在眉睫死亡风险的患者，例如扩张型心肌病或缺血性心脏病，这些患者预计无法通过常规药物治疗（药物或 IABP 的辅助循环）恢复。 | Sun Medical Technology Research Institute， Inc. 长野县诹访市诹访市 1-3-11 | 7月 6， 19 |
| 同种异体培养的角膜上皮细胞片 | 角膜上皮干细胞耗竭患者角膜上皮修复或视觉功能改善 | Alblast Co.， Ltd. 兵库县， 神户市， 中央区， 港岛南町， 5丁目-5-2 | 6月 11， 2020 |
| 植入式心室辅助装置系统 | 它用于对符合心脏移植受者适应症标准且因心脏功能恶化而面临迫在眉睫死亡风险的严重终末期心力衰竭患者使用心脏移植桥。 | Century Medical Co.， Ltd. 东京都品川区大崎 1-6-4 | 12月 4， 2020 |
| 植入式心室辅助装置系统 | 本品是一种植入式左心室辅助装置，用于改善需要心脏移植的终末期心力衰竭患者的血液循环。 | Terumo Corporation 东京都涩谷区幡谷 2-44-1 | 2011 年 3 月 11 日 |
| 血细胞去除净化器 | 脓疱型银屑病患者临床表现的改善 | JIMRO Co.， Ltd. 群马县 高崎市 西横手町 351-1 | 2011 年 7 月 7 日 |
| 支气管填充物 | 手术困难的继发性难治性气胸、支气管治疗等 | Harada Sangyo Co.， Ltd. 2-10-14 南船场，中央区，大阪市，大阪府 | 2011 年 10 月 28 日 |
| 胎儿分流 | 这个产品在里面使用分流管的胎儿乳房母体羊水来自在整个地方，胎儿乳房胸腔积液中储存的羊水目的是连续排放量。 因此胎水改善和预防肺发育不全，延长妊娠时间。 | Hachiko Co.， Ltd. 长野县 千曲市 Oaza Tokura Onsen 3055 | 2012 年 3 月 19 日 |
| 人自体移植组织 | 表皮水它适用于疾病患者发生的难治性糜烂和溃疡。 本品应用于难治性糜烂和溃疡部位，以达到快速上皮化的目的。 | Japan Tissue Engineering Co.， Ltd. 爱知县蒲郡市三谷北通 6-209 | 2013 年 3 月 18 日 |
| 体外心室辅助装置泵 | 本品用于改善血液循环或恢复心脏功能，直至心脏移植的儿童严重心力衰竭患者，其症状通过常规药物治疗和辅助循环（体表面积 1.5 m2 或更小，体重 2 kg 至 60 kg 或更少）。 | Cardio Co.， Ltd. 兵库县神户市中央区港岛南町 1-5-5 神户生物医学创造中心 2 楼 | 2013 年 6 月 17 日 |
| PDT 二极管激光器 | 该医疗器械与光敏物质他拉泊啡钠制剂一起使用，用于治疗恶性脑肿瘤。 | Panasonic Healthcare Co.， Ltd. 爱媛县卡通市南方 1 号 213 号 | 九月 19， 2015 |
| PDT 二极管激光器 | 放化疗或放疗后局部复发的食管癌 | Panasonic Healthcare Co.， Ltd. 爱媛县卡通市南方 1 号 213 号 | 九月 17， 2016 |
| HAL 医用下肢型 | 对于患有缓慢进展或慢性进展的顽固性神经和肌肉疾病的患者，定期、间歇和治疗性地应用它以帮助肌肉收缩，以抑制肌肉萎缩和肌无力的进展。 | CYBERDYNE 公司  茨城县 筑波市学园 南 2丁目 2-ban-1 | 十二月 19， 2016 |
| 轮式硬性隐形眼镜 CS-100 | 严重多形性渗出性红斑（Stevens-Johnson 综合征、中毒性表皮坏死松解症）眼部后遗症的视力矫正和症状缓解 | Sun Contact Lens Co., Ltd.  475 Sasaya-cho， Nakagyo-ku， Kyoto-shi， Kyoto-shi， Fuya-cho， 川上楼， 京都 | 十二月 19， 2016 |
| 钛桥 | 内收性惊厥性发音障碍症状的改善 | Nobelpharma Inc.  东京都中央区日本桥小船町 12-10 号 | 九月 2， 28 |
| 体外光分离疗法系统 | 它被用作类固醇耐药或不耐受慢性移植物抗宿主病的体外光分离法 （ECP） 治疗。 | Vorpal 技术公司  4-15-1 Akasaka， Minato-ku， 东京都 | 一月 18， 2019 |
| PDA 闭合套件 II. AS | 它适用于满足以下所有条件的动脉导管未闭，用于经皮闭合动脉导管。  动脉导管的直径必须为 4 毫米或更小。  动脉导管的长度必须至少为 3 毫米。 | Abbott Medical Japan K.K.  东京都港区东新桥 1-5-2 | 十月 19， 30 |