

Xyrem (Oxybate)

希少医薬品指定日: 1994/11/7
販売承認交付日: 2005/11/18
指定された希少医薬品適応症: Treatment of narcolepsy
承認された治療適応症: Treatment of excessive daytime sleepiness in patients with narcolepsy

希少医薬品指定日: 1994/11/7
販売承認交付日: 2002/7/17
指定された希少医薬品適応症: Treatment of narcolepsy.
承認された治療適応症: Treatment of cataplexy associated with narcolepsy.
医薬品製造販売承認取得者: Jazz Pharmaceuticals

Exjade (Deferasirox)

希少医薬品指定日: 2002/11/21
販売承認交付日: 2005/11/2
指定された希少医薬品適応症: Treatment of chronic iron overload in patients with transfusion-dependent anemias
承認された治療適応症: Treatment of chronic iron overload due to blood transfusions (transfusional hemosiderosis) in patients 2 years of age or older
医薬品製造販売承認取得者: Novartis Pharmaceuticals Corporation

Arranon (Nelarabine)

希少医薬品指定日: 2004/8/10
販売承認交付日: 2005/10/28
指定された希少医薬品適応症: Treatment of acute lymphoblastic leukemia and lymphoblastic lymphoma
承認された治療適応症: Treatment of patients with T-cell acute lymphoblastic leukemia and T-cell lymphoblastic lymphoma whose disease has not responded to or has relapsed following treatment with at least two chemotherapy regimens
医薬品製造販売承認取得者: GlaxoSmithKline

Increlex (Mecasermin)

希少医薬品指定日: 1995/12/12
販売承認交付日: 2005/8/30
指定された希少医薬品適応症: Treatment of growth hormone insensitivity syndrome.
承認された治療適応症: Long-term treatment of growth failure in children with severe

primary IGF-1 deficiency (Primary IGFD) or with growth hormone (GH) gene deletion who have developed neutralizing antibodies to growth hormone.

医薬品製造販売承認取得者: Tercica, Inc.

n/a (Quinine Sulfate)

希少医薬品指定日: 2004/6/3
販売承認交付日: 2005/8/12
指定された希少医薬品適応症: Treatment of malaria
承認された治療適応症: Treatment of uncomplicated Plasmodium falciparum malaria
医薬品製造販売承認取得者: AR Holding Company, Inc.

Mobic (Meloxicam)

希少医薬品指定日: 2002/11/22
販売承認交付日: 2005/8/11
指定された希少医薬品適応症: Treatment of juvenile rheumatoid arthritis
承認された治療適応症: For relief of the signs and symptoms of pauciarticular or polyarticular course Juvenile Rheumatoid Arthritis in patients 2 years of age or older
医薬品製造販売承認取得者: Boehringer Ingelheim Pharmaceuticals, Inc.

Naglazyme (N-Acetylgalactosamine-4-Sulfatase, Recombinant Human)

希少医薬品指定日: 1999/2/17
販売承認交付日: 2005/5/31
指定された希少医薬品適応症: Treatment of mucopolysaccharidosis Type VI (Maroteaux-Lamy syndrome).
承認された治療適応症: For patients with mucopolysaccharidosis VI. Galsulfase has been shown to improve walking and stair-climbing capacity.
医薬品製造販売承認取得者: BioMarin Pharmaceutical, Inc.

Retisert (Fluocinolone)

希少医薬品指定日: 2000/7/31
販売承認交付日: 2005/4/8
指定された希少医薬品適応症: Treatment uveitis involving the posterior segment of the eye.
承認された治療適応症: Treatment of chronic non-infectious uveitis affecting the posterior segment of the eye

医薬品製造販売承認取得者: Bausch & Lomb Pharmaceuticals, Inc.

Velcade (Bortezomib)

希少医薬品指定日: 2003/1/15
販売承認交付日: 2005/3/25
指定された希少医薬品適応症: Treatment of multiple myeloma
承認された治療適応症: Treatment of multiple myeloma patients who have received at least one prior therapy

希少医薬品指定日: 2003/1/15
販売承認交付日: 2003/5/13
指定された希少医薬品適応症: Treatment of multiple myeloma
承認された治療適応症: Treatment of multiple myeloma patients who have received at least two prior therapies and have demonstrated disease progression on the last therapy

医薬品製造販売承認取得者: Millennium Pharmaceuticals, Inc.

Temodar (Temozolomide)

希少医薬品指定日: 1998/10/5
販売承認交付日: 2005/3/15
指定された希少医薬品適応症: Treatment of malignant glioma
承認された治療適応症: Treatment of adult patients with newly diagnosed glioblastoma multiforme concomitantly with radiotherapy and then as maintenance treatment

医薬品製造販売承認取得者: Schering-Plough Research Institute

n/a (Vaccinia Immune Globulin [Human] Intravenous)

希少医薬品指定日: 2004/6/18
販売承認交付日: 2005/2/18
指定された希少医薬品適応症: Treatment of severe complications from the smallpox vaccine
承認された治療適応症: Treatment and modification of aberrant infections induced by vaccinia virus that include its accidental implantation in eyes (except in cases of isolated keratitis), mouth, or other areas where vaccinia infection would constitute a special hazard; eczema vaccinatum; progressive vaccinia; severe generalized vaccinia, and vaccinia infections in individuals who have skin conditions such as burns, impetigo, varicella-zoster, or poison ivy; or in individuals who have eczematous skin lesions because of either the activity or

extensiveness of such lesions

医薬品製造販売承認取得者: DynPort Vaccine Company LLC

Ammonul (Benzoate/Phenylacetate)

希少医薬品指定日: 1993/11/22
販売承認交付日: 2005/2/17
指定された希少医薬品適応症: Treatment of acute hyperammonemia and associated encephalopathy in patients with deficiencies in enzymes of the urea cycle.
承認された治療適応症: Adjunctive therapy in the treatment of acute hyperammonemia and associated encephalopathy in patients with deficiencies in enzymes of the urea cycle.
医薬品製造販売承認取得者: Medicis Pharmaceutical Corp.

Ventavis (Iloprost Inhalation Solution)

希少医薬品指定日: 2004/8/17
販売承認交付日: 2004/12/29
指定された希少医薬品適応症: Treatment of pulmonary arterial hypertension
承認された治療適応症: Treatment of pulmonary arterial hypertension (WHO Group I) in patients with NYHA Class III or IV symptoms
医薬品製造販売承認取得者: CoTherix, Inc.

Clolar (Clofarabine)

希少医薬品指定日: 2002/2/7
販売承認交付日: 2004/12/28
指定された希少医薬品適応症: Treatment of acute lymphoblastic leukemia
承認された治療適応症: Treatment of pediatric patients 1 to 21 years old with relapsed or refractory acute lymphoblastic leukemia after at least two prior regimens
医薬品製造販売承認取得者: Genzyme Corporation

Luveris (Recombinant Human Luteinizing Hormone)

希少医薬品指定日: 1994/10/7
販売承認交付日: 2004/10/8
指定された希少医薬品適応症: For use in association with recombinant human follicle stimulating hormone for the treatment of women with chronic anovulation due to hypogonadotropic hypogonadism.

承認された治療適応症: Luveris (lutropin alfa for injection), concomitantly administered with Gonal-f (follitropin alfa for injection), is indicated for stimulation of follicular development in infertile hypogonadotropic hypogonadal women with profound LH deficiency (LH (less than) 1.2 IU/L).

医薬品製造販売承認取得者: EMD Serono, Inc.

M.VI.-12 (Multi-Vitiam Infusion Without Vitamin K)

希少医薬品指定日: 2004/3/8

販売承認交付日: 2004/9/9

指定された希少医薬品適応症: Prevention of vitamin deficiency and thromboembolic complications in people receiving home parenteral nutrition and warfarin-type anticoagulant therapy

承認された治療適応症: Prevention of vitamin deficiency and thrombormbolic complications in people receiving home parenteral nutrition who also receive warfarin-type anticoagulant therapy

医薬品製造販売承認取得者: Mayne Pharma (USA) Inc.

n/a (Diethylenetriaminepentaacetic Acid [Dtpa])

希少医薬品指定日: 2004/4/28

販売承認交付日: 2004/8/11

指定された希少医薬品適応症: Treatment of patients with known or suspected internal contamination with plutonium, americium, or curium to increase the rates of elimination.

承認された治療適応症: Treatment of internal contamination with plutonium, americium or curium

医薬品製造販売承認取得者: Hameln Pharmaceuticals gmbh

Nutrestore (Glutamine)

希少医薬品指定日: 1995/3/6

販売承認交付日: 2004/6/10

指定された希少医薬品適応症: For use with human growth hormone in the treatment of short bowel syndrome (nutrient malabsorption from the gastrointestinal tract resulting from an inadequate absorptive surface).

承認された治療適応症: Treatment of short bowel syndrome in patients receiving specialized nutritional support when used in conjunction with a recombinant human growth hormone that is approved for this indication.

医薬品製造販売承認取得者: Nutritional Restart Pharmaceutical, L.P.

Vidaza (Azacitidine)

希少医薬品指定日:	2001/12/3
販売承認交付日:	2004/5/19
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of myelodysplastic syndromes
承認された治療適応症:	Treatment of patients with the following myelodysplastic syndrome subtypes: refractory anemia or refractory anemia with ringed sideroblasts (if accompanied by neutropenia or thrombocytopenia and requiring transfusions), refractory anemia with excess blasts, refractory anemia with excess blasts in transformation, and chronic myelomonocytic leukemia
医薬品製造販売承認取得者:	Celgene Corporation

Tindamax (Tinidazole)

希少医薬品指定日:	2002/4/18
販売承認交付日:	2004/5/17
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of giardiasis
承認された治療適応症:	Treatment of giardiasis caused by <i>G. duodenalis</i> (also termed <i>G. lamblia</i>) in both adults and pediatric patients older than three years of age
希少医薬品指定日:	2003/8/20
販売承認交付日:	2004/5/17
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of amebiasis
承認された治療適応症:	Treatment of intestinal amebiasis and amebic liver abscess caused by <i>E. histolytica</i> in both adults and pediatric patients older than three years of age. It is not indicated for the treatment of asymptomatic cyst passage.
医薬品製造販売承認取得者:	Presutti Laboratories, Inc.

Apokyn (Apomorphine Hcl)

希少医薬品指定日:	1993/4/22
販売承認交付日:	2004/4/20
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of the on-off fluctuations associated with late-stage Parkinson's disease.
承認された治療適応症:	For the acute, intermittent treatment of hypomobility, "off" episodes ("end-of-dose-wearing-off" and unpredictable "on/off" episodes) associated with advanced Parkinson's disease
医薬品製造販売承認取得者:	Ipsen Limited

Sensipar (Cinacalct)

希少医薬品指定日: 2003/5/12
販売承認交付日: 2004/3/8
指定された希少医薬品適応症: Treatment of hypercalcemia in patients with parathyroid carcinoma
承認された治療適応症: Treatment of hypercalcemia in patients with parathyroid carcinoma
医薬品製造販売承認取得者: Amgen, Inc.

Alimta (Pemetrexed Disodium)

希少医薬品指定日: 2001/8/28
販売承認交付日: 2004/2/4
指定された希少医薬品適応症: Treatment of malignant pleural mesothelioma
承認された治療適応症: Treatment of patients with malignant pleural mesothelioma whose disease is either unresectable or who are otherwise not candidates for curative surgery
医薬品製造販売承認取得者: Eli Lilly and Company

Acetadote (Acetylcysteine)

希少医薬品指定日: 2001/10/19
販売承認交付日: 2004/1/23
指定された希少医薬品適応症: For the intravenous treatment of moderate to severe acetaminophen overdose
承認された治療適応症: For the use of Acetadote(registered TM) Injection, administered intravenously within 8 to 10 hours after ingestion of a potentially hepatotoxic quantity of acetaminophen, to prevent or lessen hepatic injury
医薬品製造販売承認取得者: Cumberland Pharmaceuticals, Inc.

Zorbtive (Somatropin [R-Dna])

希少医薬品指定日: 1995/3/6
販売承認交付日: 2003/12/1
指定された希少医薬品適応症: For use alone or in combination with glutamine in the treatment of short bowel syndrome.
承認された治療適応症: Treatment of short bowel syndrome in patients receiving specialized nutritional support
医薬品製造販売承認取得者: EMD Serono, Inc.

Babybig (Botulism Immune Globulin)

希少医薬品指定日: 1989/1/31
販売承認交付日: 2003/10/23
指定された希少医薬品適応症: Treatment of infant botulism.
承認された治療適応症: Indicated for treatment of infant botulism caused by type A or type B Clostridium botulinum.
医薬品製造販売承認取得者: California Department of Health Services

Radiogardase (Iron[III]-Hexacyanoferrate[II])

希少医薬品指定日: 2003/5/1
販売承認交付日: 2003/10/2
指定された希少医薬品適応症: Treatment of patients with known or suspected internal contamination with radioactive or non-radioactive cesium or thallium
承認された治療適応症: Treatment of patients with known or suspected internal contamination with radioactive cesium and/or radioactive or non-radioactive thallium to increase their rates of elimination
医薬品製造販売承認取得者: Heyl Chemisch-Pharmzeutische Fabrik GMBH & Co, KG

Photofrin (Porfimer)

希少医薬品指定日: 2001/10/19
販売承認交付日: 2003/8/1
指定された希少医薬品適応症: For the ablation of High-Grade Dysplasia in Barrett's Esophagus in patients who are not considered to be candidates for esophagectomy
承認された治療適応症: For the ablation of high-grade dysplasia in Barrett's esophagus patients who do not undergo esophagectomy
医薬品製造販売承認取得者: Axcan Scandipharm Inc.

Zavesca (Miglustat)

希少医薬品指定日: 1998/5/29
販売承認交付日: 2003/7/31
指定された希少医薬品適応症: Treatment of Gaucher disease.
承認された治療適応症: Treatment of mild to moderate Type I Gaucher disease in adults for whom enzyme replacement therapy is not a therapeutic option (e.g., due to constraints such as allergy, hypersensitivity, or poor venous access).
医薬品製造販売承認取得者: Actelion Pharmaceuticals Ltd

Rebetol (Ribavirin)

希少医薬品指定日:	2003/4/4
販売承認交付日:	2003/7/29
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of chronic hepatitis C in pediatric patients
承認された治療適応症:	Treatment of chronic hepatitis C among previously untreated pediatric patients at least three years of age or older.
医薬品製造販売承認取得者:	Schering Corporation

Bexxar (Tositumomab And Iodine I 131 Tositumomab)

希少医薬品指定日:	1994/5/16
販売承認交付日:	2003/6/27
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of non-Hodgkin's B-cell lymphoma.
承認された治療適応症:	Treatment of patients with CD20 positive, follicular, non-Hodgkin's lymphoma, with and without transformation, whose disease is refractory to Rituximab and has relapsed following chemotherapy
医薬品製造販売承認取得者:	GlaxoSmithKline

Aldurazyme (Laronidase)

希少医薬品指定日:	1997/9/24
販売承認交付日:	2003/4/30
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of patients with mucopolysaccharidosis-I.
承認された治療適応症:	Treatment for patients with Hurler and Hurler-Scheie forms of Mucopolysaccharidosis I (MPS I) and for patients with the Scheie form who have moderate to severe symptoms
医薬品製造販売承認取得者:	BioMarin Pharmaceutical, Inc.

Fabrazyme (Ceramide Trihexosidase/Alpha-Galactosidase A)

希少医薬品指定日:	1988/1/19
販売承認交付日:	2003/4/24
指定された希少医薬品適応症:	Treatment of Fabry's disease.
承認された治療適応症:	For use in patients with Fabry disease to reduce globotriaosylceramide (GL-3) deposition in capillary endothelium of the kidney and certain other cell types
医薬品製造販売承認取得者:	Genzyme Corporation

Somavert (Pegvisomant)

希少医薬品指定日: 1997/6/24
販売承認交付日: 2003/3/25
指定された希少医薬品適応症: Treatment of acromegaly.
承認された治療適応症: Treatment of acromegaly in patients who have had an inadequate response to surgery and/or radiation therapy and/or other medical therapies, or for whom these therapies are not appropriate
医薬品製造販売承認取得者: Sensus Corporation

Gliadel (Polifeprosan 20 With Carmustine)

希少医薬品指定日: 1989/12/13
販売承認交付日: 2003/2/25
指定された希少医薬品適応症: Treatment of malignant glioma
承認された治療適応症: Expanding the indication to include patients with malignant glioma undergoing primary surgical resection.
医薬品製造販売承認取得者: Guilford Pharmaceuticals, Inc.

Extraneal (With 7.5% Icodextrin) Peritoneal Dialysis Solutio (Icodextrin 7.5% With Electrolytes Peritoneal Dialysis Solution)

希少医薬品指定日: 1997/7/18
販売承認交付日: 2002/12/20
指定された希少医薬品適応症: Treatment of those patients having end stage renal disease and requiring peritoneal dialysis treatment.
承認された治療適応症: For use as a single daily exchange for the long (8-16 hour) dwell during continuous ambulatory peritoneal dialysis (CAPD) or automated peritoneal dialysis (APD) for the management of chronic renal failure.
医薬品製造販売承認取得者: Baxter Healthcare Corporation

Alinia (Nitazoxanide)

希少医薬品指定日: 1996/12/12
販売承認交付日: 2002/11/22
指定された希少医薬品適応症: Treatment of cryptosporidiosis.
承認された治療適応症: Treatment of diarrhea caused by *Cryptosporidium parvum* and *Giardia lamblia*

希少医薬品指定日: 2002/2/14
販売承認交付日: 2002/11/22

指定された希少医薬品適応症: Treatment of intestinal giardiasis
承認された治療適応症: Treatment of diarrhea caused by *Cryptosporidium parvum* and *Giardia lamblia*
医薬品製造販売承認取得者: Romark Laboratories, L.C.

Subutex (Buprenorphine Hydrochloride)

希少医薬品指定日: 1994/6/15
販売承認交付日: 2002/10/8
指定された希少医薬品適応症: Treatment of opiate addiction in opiate users.
承認された治療適応症: Treatment of opioid dependence in patients 16 years of age or older
医薬品製造販売承認取得者: Reckitt Benckiser Pharmaceuticals, Inc.

Suboxone (Buprenorphine In Combination With Naloxone)

希少医薬品指定日: 1994/10/27
販売承認交付日: 2002/10/8
指定された希少医薬品適応症: Treatment of opiate addiction in opiate users.
承認された治療適応症: Treatment of opioid dependence in patients 16 years of age or older
医薬品製造販売承認取得者: Reckitt Benckiser Pharmaceuticals, Inc.

Elitek (Rasburicase)

希少医薬品指定日: 2000/10/11
販売承認交付日: 2002/7/12
指定された希少医薬品適応症: Treatment of malignancy-associated or chemotherapy-induced hyperuricemia.
承認された治療適応症: Initial management of plasma uric acid levels in pediatric patients with leukemia, lymphoma, and solid tumor malignancies who are receiving anti-cancer therapy expected to result in tumor lysis and subsequent elevation of plasma uric acid.
医薬品製造販売承認取得者: Sanofi-Synthelabo Research

Remodulin (Treprostinil)

希少医薬品指定日: 1997/6/4
販売承認交付日: 2002/5/21
指定された希少医薬品適応症: Treatment of pulmonary arterial hypertension.
承認された治療適応症: Treatment of pulmonary arterial hypertension.
医薬品製造販売承認取得者: United Therapeutics Corp.

n/a (Synthetic Porcine Secretin)

希少医薬品指定日: 1999/6/18
販売承認交付日: 2002/11/1
指定された希少医薬品適応症: For use in the evaluation of exocrine pancreas function.
承認された治療適応症: For use in secretin stimulation testing for: Stimulation of pancreatic secretions to facilitate the identification of the ampulla of Vater and accessory papilla during endoscopic retrograde cholangio-pancreatography (ERCP)

希少医薬品指定日: 2000/3/7
販売承認交付日: 2002/4/4
指定された希少医薬品適応症: For use in conjunction with diagnostic procedures for pancreatic disorders to increase pancreatic fluid secretion.
承認された治療適応症: Use in secretin stimulation testing for stimulation of pancreatic secretions, including bicarbonate, to aid in the diagnosis of pancreatic exocrine dysfunction

希少医薬品指定日: 1999/6/18
販売承認交付日: 2002/4/4
指定された希少医薬品適応症: For use in the diagnosis of gastrinoma associated with Zollinger-Ellison syndrome.
承認された治療適応症: Use in secretin stimulation testing for stimulation of gastrin secretion to aid in the diagnosis of gastrinoma
医薬品製造販売承認取得者: ChiRhoClin, Inc.

Zevalin (Ibritumomab Tiuxetan)

希少医薬品指定日: 1994/9/6
販売承認交付日: 2002/2/19
指定された希少医薬品適応症: Treatment of B-cell non-Hodgkin's lymphoma.
承認された治療適応症: Treatment of patients with relapsed or refractory low-grade, follicular, or transformed B-cell non-Hodgkin's lymphoma, including patients with Rituximab (Rituxan?) refractory follicular non-Hodgkin's lymphoma
医薬品製造販売承認取得者: Spectrum Pharmaceuticals, Inc.

Orfadin (Nitisinone)

希少医薬品指定日: 1995/5/16
販売承認交付日: 2002/1/18
指定された希少医薬品適応症: Treatment of tyrosinemia type 1.

承認された治療適応症: Adjunctive therapy to dietary restriction of tyrosine and phenylalanine in the treatment of hereditary tyrosinemia type 1
医薬品製造販売承認取得者: Rare Disease Therapeutics, Inc.

Tracleer (Bosentan)

希少医薬品指定日: 2000/10/6
販売承認交付日: 2001/11/20
指定された希少医薬品適応症: Treatment of pulmonary arterial hypertension.
承認された治療適応症: Treatment of pulmonary arterial hypertension.
医薬品製造販売承認取得者: Actelion Life Sciences Ltd.

Topamax (Topiramate)

希少医薬品指定日: 1992/11/25
販売承認交付日: 2001/8/28
指定された希少医薬品適応症: Treatment of Lennox-Gastaut syndrome.
承認された治療適応症: As adjunctive therapy in patients two years and older with seizures associated with Lennox-Gastaut syndrome.
医薬品製造販売承認取得者: Johnson & Johnson Pharmaceutical R & D, LLC

Zometa, Zabel (Zoledronate)

希少医薬品指定日: 2000/8/18
販売承認交付日: 2001/8/20
指定された希少医薬品適応症: Treatment of tumor induced hypercalcemia.
承認された治療適応症: Treatment of hypercalcemia of malignancy.
医薬品製造販売承認取得者: Novartis Pharmaceuticals Corp.

Genotropin (Somatropin [Rdna])

希少医薬品指定日: 2000/12/27
販売承認交付日: 2001/7/25
指定された希少医薬品適応症: Treatment of growth failure in children who were born small for gestational age.
承認された治療適応症: For long-term treatment of growth failure in children born small for gestational age who fail to manifest catch-up growth by two years of age.
医薬品製造販売承認取得者: Pharmacia and Upjohn Company

Campath (Alemtuzumab)

希少医薬品指定日: 1997/10/20

販売承認交付日: 2001/5/7

指定された希少医薬品適応症: Treatment of chronic lymphocytic leukemia.

承認された治療適応症: The treatment of patients with B-cell chronic lymphocytic leukemia who have been treated with alkylating agents and who have failed fludarabine therapy.

医薬品製造販売承認取得者: Genzyme Corporation

3.5. 欧州連合において上市許可を得た希少医薬品指定医薬品一覧

(2008年11月6日現在)¹⁰

希少疾患(欧州連合で罹患患者数が1万人中5人未満の疾患と定義されている)を治療、予防または診断するための医薬品に対して、欧州医薬品庁(EMA)希少医薬品委員会(Committee for Orphan Medicinal Products, COMP)の肯定的な評価に基づき、欧州委員会は「希少医薬品指定」を交付することができる。

特定の患者群を標的とする多くの治療適応症に対して開発が可能な場合、希少医薬品は多岐にわたる疾病に対して指定される。指定疾患の診断、予防または治療に対する潜在的な使用が希少医薬品指定の対象である。

希少医薬品の指定は、EMAのヒトへの使用に関する医薬品委員会(Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP)の肯定的評価に基づいて欧州共同体の上市許可(欧州連合加盟国全てで有効)が交付されるのと同様に、中央承認方式でおこなわれる。

以下のリストは、希少医薬品指定と欧州共同体上市許可の双方を取得している医薬品の一覧であり、それぞれの欧州一般向評価報告書にリンクしている(ただし、現在、欧州委員会レベルで審議中のVidazaとKuvanは除く)。リスト項目は、欧州共同体の販売承認が得られた年度別に列挙されている。

以下も参照されたい:

希少医薬品の件数(p.259)

治療領域別にみた上市許可を得た希少医薬品指定医薬品のリスト(p.261)

¹⁰ 出典: 欧州医薬品庁 <http://www.ema.europa.eu/pdfs/human/comp/56357508en.pdf> (2010年2月25日アクセス)

2008

Thalidomide Pharmion (サリドマイド)

希少医薬品指定日:2001年11月20日

販売承認交付日:2008年4月16日

指定された希少医薬品適応症:多発性骨髄腫の治療

承認された治療適応症:ミエローマの治療

治療領域:血液系

医薬品製造販売承認取得者:Pharmion Ltd

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/thalidomidepharmion/thalidomidepharmion.htm>

Volibris (アンブリセンタン)

希少医薬品指定日:2005年4月11日

販売承認交付日:2008年4月21日

指定された希少医薬品適応症:肺動脈高血圧症および慢性血栓塞栓性肺高血圧症の治療

承認された治療適応症:肺動脈高血圧症の治療

治療領域:心血管系および呼吸器系

医薬品製造販売承認取得者:Glaxo Group Limited - 英国

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/volibris/volibris.htm>

Firazyr (酢酸イカチバント)

希少医薬品指定日:2003年2月17日

販売承認交付日:2008年7月11日

指定された希少医薬品適応症:血管浮腫の治療

承認された治療適応症:遺伝性血管浮腫の治療

治療領域:その他

医薬品製造販売承認取得者:Jerini AG - ドイツ

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/firazyr/firazyr.htm>

Ceplene (ヒスタミンジヒドロクロライド)

希少医薬品指定日:2005年4月11日

販売承認交付日:2008年10月7日

指定された希少医薬品適応症:急性骨髄性白血病の治療

承認された治療適応症:インターロイキン2の併用治療によって初回寛解が得られた成人の急性骨髄性白血病患者の治療

治療領域:腫瘍

医薬品製造販売承認取得者:EpiCept GmbH

欧州公的評価報告書:(完成後に EMEA ウェブサイトで入手可能)

Vidaza (アザンチジン)

希少医薬品指定日:2002年2月6日

販売承認交付日:委員会決定保留中

指定された希少医薬品適応症:骨髄異形成症候群の治療

承認された治療適応症:造血幹細胞移植が適切でない成人の骨髄異形成症候群と急性骨髄性白血病の治療

治療領域:腫瘍

医薬品製造販売承認取得者: Celgene Europe Ltd

欧州公的評価報告書: (販売承認交付後に EMEA ウェブサイトで入手可能)

Kuvan (サブプロテリンジヒドロクロライド)

希少医薬品指定日:2005年8月26日

販売承認交付日:委員会決定保留中

指定された希少医薬品適応症:高フェニルアラニン血症

承認された治療適応症:当該治療に反応を示すことが確認されているフェニルケトン尿症 (PKU) を伴う成人および4歳以上の小児患者の高フェニルアラニン血症 (HPA) の治療。また、Kuvan は、当該治療に反応を示すことが確認されているテトラヒドロビオプテリン (BH4) 欠損症の成人および小児患者の PHA 治療も適応症とする

治療領域:内分泌系および代謝系

医薬品製造販売承認取得者: Merck KGaA

欧州公的評価報告書: (販売承認交付後に EMEA ウェブサイトで入手可能)

2007

Diacomit (ステリルペンツール)

希少医薬品指定日:2001年12月5日

販売承認交付日:2007年1月4日

指定された希少医薬品適応症:乳幼児期の重度ミオクローヌスてんかんの治療

承認された治療適応症:クロバザムおよびバルプロエートで発作を十分にコントロールすることのできない乳幼児期の重度ミオクローヌスてんかん (SMEI, Dravet 症候群) を伴う患者の難治性全身性强直性間代性発作の補助療法として、クロバザムおよびバルプロエートと併用

治療領域:神経系

医薬品製造販売承認取得者: BIOCODEX

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/diacomit/diacomit.htm>

Elaprase (iduronate-2-sulfatase)

希少医薬品指定日:2001年12月11日

販売承認交付日:2007年1月8日

指定された希少医薬品適応症:ムコ多糖症 II 型 (ハンター症候群) の治療

承認された治療適応症:ハンター症候群 (ムコ多糖症 II 型、MPS II) 患者の長期治療

治療領域:内分泌系および代謝系

医薬品製造販売承認取得者: Shire Human Genetic Therapies AB

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/elaprase/elaprase.htm>

Inovelon (ルフィナミド)

希少医薬品指定日:2004年9月9日

販売承認交付日:2007年1月16日

指定された希少医薬品適応症:レノックス・ガストー症候群の治療

承認された治療適応症:4歳以上の患者のレノックス・ガストー症候群に伴う発作の治療における補助療法

治療領域:神経系

医薬品製造販売承認取得者:Esai Limited

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/inovelon/inovelon.htm>

Cystadane (無水ベタイン)

希少医薬品指定日:2001年7月9日

販売承認交付日:2007年2月15日

指定された希少医薬品適応症:ホモシスチン尿の治療

承認された治療適応症:以下の欠損症や欠陥を伴うホモシスチン尿の補助療法:

- ・シスタチオニンβ-シクターゼ(CBS)
- ・5,10-メチレンテトラヒドロ葉酸還元酵素(MTHFR)
- ・コバラミン補酵素代謝(cbl)

Cystadaneは、ビタミンB6(ピリドキシン)、ビタミンB12(コバラミン)、葉酸および規定食などの他の療法に対する補助薬として使用すべきである

治療領域:内分泌系および代謝系

医薬品製造販売承認取得者:Orphan Europe SARL

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/cystadane/cystadane.htm>

Revlimid [3-(4' aminoisoindoline-1'-one)-1-piperidine-2,6-dione]

希少医薬品指定日:2003年12月12日

販売承認交付日:2007年1月14日

指定された希少医薬品適応症:多発性骨髄腫の治療

承認された治療適応症:過去に1回以上治療を受けたことのある多発性骨髄腫患者に対するデキサメタゾンとの併用療法

治療領域:腫瘍

医薬品製造販売承認取得者: Celgene Europe Limited - 英国

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/revlimid/revlimid.htm>

Soliris (エクリズマブ)

希少医薬品指定日:2003年10月17日

販売承認交付日:2007年6月20日

指定された希少医薬品適応症:発作性夜間血色素尿症の治療

承認された治療適応症:発作性夜間血色素尿症の治療

治療領域:血液系

医薬品製造販売承認取得者: Alexion Europe SAS

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/soliris/soliris.htm>

Siklos (ヒドロキシンウレア)

希少医薬品指定日:2003年7月9日

販売承認交付日:2007年6月29日

指定された希少医薬品適応症:鎌状赤血球症候群の治療

承認された治療適応症:症候性鎌状赤血球症候群に罹患している小児および成人患者にみられる急性胸部症候群を含む再発性疼痛性血管閉塞性クレーゼの予防

治療領域:血液系

医薬品製造販売承認取得者: Addmedica SAS

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/siklos/siklos.htm>

Increlex (メカセルミン)

希少医薬品指定日:2005年8月26日

販売承認交付日:2007年8月3日

指定された希少医薬品適応症:分子的または遺伝的欠陥による一次インスリン様成長因子-1欠損症の治療

承認された治療適応症:成長不全の治療

治療領域:内分泌系および代謝系

医薬品製造販売承認取得者: Tercica Europe Limited

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/increlex/increlex.htm>

Atriance (ネアラビン)

希少医薬品指定日:2005年6月16日

販売承認交付日:2007年8月22日

指定された希少医薬品適応症:急性リンパ芽球性白血病の治療

承認された治療適応症:2回以上化学療法を行った後に治療効果が得られないか再発を来したT細胞急性リンパ芽球性白血病(T-ALL)およびT細胞リンパ芽球性リンパ腫(T-LBL)に罹患している患者の治療

治療領域:腫瘍

医薬品製造販売承認取得者: Glaxo Group Limited

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/atriance/atriance.htm>

Gliolan (5-aminolevulinic hydrochloride)

希少医薬品指定日:2002年11月13日

販売承認交付日:2007年9月7日

指定された希少医薬品適応症:残存神経膠腫の術中光学的診断

承認された治療適応症:悪性神経膠腫(WHOグレードIIIおよびIV)の手術中における悪性組織の視覚化

治療領域:腫瘍

医薬品製造販売承認取得者:Medac

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/gliolan/gliolan.htm>

Yondelis(エクチナサイジン743)

希少医薬品指定日:2001年5月30日

販売承認交付日:2007年9月17日

指定された希少医薬品適応症:軟部組織肉腫の治療

承認された治療適応症:アントラサイクリン類およびイフォスファミドが無効であるか、これらの薬剤を投与するのが適切でない進行した軟部組織肉腫を伴う患者の治療

治療領域:腫瘍

医薬品製造販売承認取得者:PharmaMar SA

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/yondelis/yondelis.htm>

Torisel(テムシロリムス)

希少医薬品指定日:2006年4月6日

販売承認交付日:2007年11月19日

指定された希少医薬品適応症:腎細胞癌の治療

承認された治療適応症:6つの予後リスク因子のうち3つ以上を保有している進行した腎細胞癌患者のファーストライン治療

治療領域:腫瘍

医薬品製造販売承認取得者:Wyeth Europa Limited - 英国

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/torisel/torisel.htm>

Tasigna(ニロチニブ)

希少医薬品指定日:2006年5月22日

販売承認交付日:2007年11月19日

指定された希少医薬品適応症:慢性骨髄性白血病の治療

承認された治療適応症:イマチニブを含む過去の治療に対して抵抗性または不耐性を示した慢性期および移行期のフィラデルフィア染色体陽性慢性骨髄性白血病(CML)に罹患している成人の治療

治療領域:腫瘍

医薬品製造販売承認取得者:Novartis Europharm Limited - 英国

欧州公的評価報告書:

<http://www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/tasigna/tasigna.htm>

2006

Naglazyme(N-acetylgalactosamine 4-sulfatase)

希少医薬品指定日:2001年2月14日