

医薬機審発 0312 第 2 号
令和 7 年 3 月 12 日

各都道府県衛生主管部（局）長 殿

厚生労働省医薬局医療機器審査管理課長
（ 公 印 省 略 ）

希少疾病用再生医療等製品の指定について

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（昭和 35 年法律第 145 号）第 77 条の 2 第 1 項の規定に基づき、希少疾病用再生医療等製品が下記のとおり指定されましたので、通知します。

記

指 定 番 号：(R7再) 第 31 号

再生医療等製品の名称：Avalotcagene ontaparvovec

予定される効能、効果又は性能：オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症

申請者の氏名又は名称：Ultragenyx Japan 株式会社