

医薬薬審発 0807 第 1 号
医薬安発 0807 第 1 号
令和 8 年 8 月 7 日

日本製薬団体連合会 安全性委員会委員長 殿

厚生労働省医薬局医薬品審査管理課長
(公 印 省 略)
厚生労働省医薬局医薬安全対策課長
(公 印 省 略)

ビルトラルセンに係る「使用上の注意」の改訂について

医薬品の品質、有効性及び安全性に関する情報の収集、調査、検討等を踏まえ、医薬品の「使用上の注意」の改訂が必要と考えますので、下記のとおり必要な措置を講ずるよう貴会会員に周知徹底方お願い申し上げます。

記

別紙のとおり、速やかに使用上の注意を改訂し、医薬関係者等への情報提供等の必要な措置を講ずること。

また、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。以下「法」という。）第 68 条の 2 の 3 第 1 項に規定する届出が必要な医薬品の注意事項等情報を改訂するため、法第 68 条の 2 の 4 第 2 項に基づき独立行政法人医薬品医療機器総合機構宛て届出を行うこと。

別紙

【薬効分類】 190 その他の神経系及び感覚器官用医薬品

【医薬品名】 ビルトラルセン

【措置内容】 以下のように使用上の注意を改めること。

下線は変更箇所

現行	改訂案
5. 効能又は効果に関連する注意 遺伝子検査により、エクソン53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（エクソン43-52、45-52、47-52、48-52、49-52、50-52、52欠失等）が確認されている患者に投与すること。 また、臨床試験に組み入れられた患者のジストロフィン遺伝子の変異型について、「17. 臨床成績」の項の内容を熟知し、<u>本剤の有効性及び安全性を十分に理解した上で、適応患者の選択を行うこと。</u> （新設） 永続的な人工呼吸が導入された患者及び歩行不能後期の患者における有効性及び安全性は確立していない。これらの患者に投与す	5. 効能又は効果に関連する注意 遺伝子検査により、エクソン53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（エクソン43-52、45-52、47-52、48-52、49-52、50-52、52欠失等）が確認されている患者に投与すること。 また、臨床試験に組み入れられた患者のジストロフィン遺伝子の変異型について、「17. 臨床成績」の項の内容を熟知し、適応患者の選択を行うこと。 <u>「17. 臨床成績」の項の内容を熟知し、本剤の有効性及び安全性を十分に理解した上で、投与開始及び投与継続の可否を慎重に判断すること。さらに投与継続の可否の判断にあたっては、投与後に患者の状態を慎重に観察し、定期的に有効性を評価すること。効果が認められない場合には投与を中止すること。</u> 永続的な人工呼吸が導入された患者及び歩行不能後期の患者における有効性及び安全性は確立していない。これらの患者に投与す

る場合には、残存している運動機能等を考慮し、投与の可否を判断すること。 <u>投与を行った場合は患者の状態を慎重に観察し、定期的に有効性を評価し投与継続の可否を判断すること。効果が認められない場合には投与を中止すること。</u>	る場合には、残存している運動機能等を考慮し、投与の可否を判断すること。
--	-------------------------------------