

1

患者会との連携による情報提供資材の作成について（PMDAの取組）

1. はじめに

PMDAでは、ホームページ、メディナビ配信サービス等を用いて、医薬品の安全性に関する情報提供をしていますが、医薬品の使用者である患者の皆様には、確実に情報を提供することが課題となっています。また、安全性情報収集の面でも、副作用報告の多くは製薬企業または医療関係者によるものです。患者の皆様からの報告も安全対策に活用することも同様にこれからの課題です。

患者の皆様への適切な情報提供や効率的な情報収集の課題解決に向けて、今般、「日本ライソゾーム病患者家族会協議会」とPMDAにおいて試行的に開始した、医薬品に関する情報提供の取り組みを紹介します。

2. 取り組みの概要

日本ライソゾーム病患者家族会協議会とPMDAとの連携業務の一環として、新しく承認された医薬品等の有効性・安全性に関するわかりやすい情報提供資材を作成しました。本資材は、日本ライソゾーム病患者家族会協議会、PMDAのHPに掲載しています。

また、患者会に関連する医薬品の使用上の注意の改訂等についても、タイムリーに情報提供を行いました。

ゼンフォザイム[®]点滴静注用20mg

製造販売業者：サノフィ株式会社

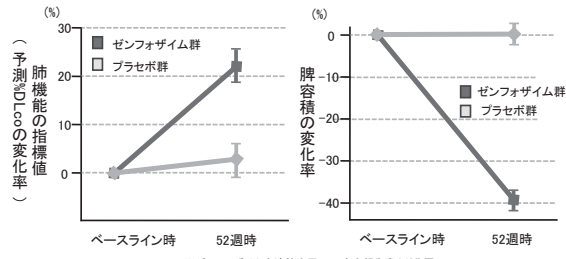
目録概要

- ◆ ニーマン・ピック病A型およびB型の治療薬です。
添付文書の効能・効果は「酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症」とされています。
- ◆ 2週間に1回、点滴静脈注射されます。
- ◆ 投与時間はおよそ18分～220分です。

有効性について

- ◆ 成人の患者さんを対象とした臨床試験では、肺機能および脾容積^{注1)}のいずれも改善効果が認められました。

注1) ニーマン・ピック病A型およびB型では、肝脾腫（肝臓や脾臓が大きくなること）や、肺の機能の低下などが一般的に認められます。



- ◆ 小児の患者さんを対象とした臨床試験でも、投与前と比較して、肺機能や脾容積の改善などが認められました。
- ◆ なお、中枢神経系症状に対する有効性は認められていません。



安全性について

- ◆ 重度のインフルエンザリアクション^{注2)}や、アナフィラキシーという症状が、本剤の投与中まれにみられることがあり、代表的な症状は、以下のとおりです。このような場合には、速やかに医師や看護師に連絡してください。

注2) 投与後およそ24時間以内にかかる、アレルギーのような症状



- ◆ また、本剤の臨床試験では、頭痛、吐き気、腹痛なども認められています。在宅中でも、気になる症状がありましたら、医療機関に連絡してください。
- ◆ 投与量を徐々に増やす段階などで、肝機能異常があらわれることがあるため、肝機能の検査が行われます。
- ◆ 本剤は国内の治験症例が1名と非常に少ないため、一定のデータ集積まで、この薬を使用された患者さん全員を対象とした調査が行われる予定です。
- ◆ 長期間投与における安全性は、まだ十分明らかになっておりませんので、上記の調査において、併せて確認することになっています。



この資料は、医薬品の有効性・安全性情報を簡潔にまとめ、医薬品の適正使用の推進や、患者さん参画型安全対策の発展・向上を目的として、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）と、日本ライゾノーム病患者家族会協議会（患者会）が連携し、共同で作成したものです。

医薬品の情報収集には、添付文書等も参考してください。
PMDA 医療用医薬品添付文書等検索 <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/IyakuSearch/>
資料に対するご意見等は、患者会でまとめてPMDAに連絡しています。
下記連絡先までお伝えください。
<連絡先> 電話/FAX: 03-5786-1551 e-mail: post@j-lsd.com



ガラフォルドカプセル123mg

製造販売業者：アミカス・セラピューティクス株式会社

本資料について：本剤は2022年12月23日に12歳以上の小児に使用する際の用法・用量の追加が認められました。その内容を主にお知らせするために作成したものです。

目録概要

- ◆ ファブリー病の治療薬です。
添付文書の効能・効果は「ミガラスタットに反応性のあるGLA遺伝子変異を伴うファブリー病」とされています。
- ◆ 本剤に反応性のあるGLA遺伝子変異を持つ患者さんにのみ投与されます。
- ◆ 1日1カプセルを、2日に1回内服します。
食事の前後2時間は、本剤は内服しないようにしてください。

安全性について

- ◆ 今回実施された小児を対象とした臨床試験では、これまでと同様、頭痛、吐き気・嘔吐（おうと）、錯感覚^{注1)}などの副作用が認められています。気になる症状がありましたら、医療機関に連絡してください。



注1) 軽く触れるだけでびりびりする症状

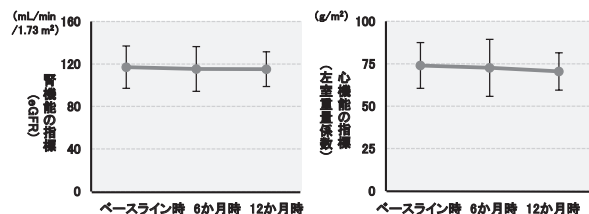
- ◆ 本剤は対象の患者さんが非常に少ないため、一定のデータ集積まで、この薬を使用された患者さん全員を対象とした調査が行われています。
- ◆ 長期間投与における安全性と腎機能障害のある患者さんにおける安全性は、まだ十分明らかになっておりませんので、上記調査において、併せて確認することになっています。



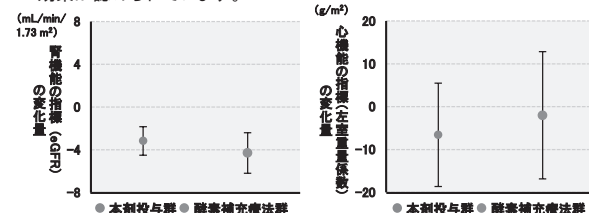
有効性について

- ◆ 今回の小児の用法・用量の追加の根拠になった、12歳～18歳の患者さんを対象とした臨床試験で、腎機能・心機能^{注2)}の維持効果が認められました。

注2) 腎機能の指標であるeGFR、心機能の指標である左室重量係数を用いて検討されました。



- ◆ また、これまで酵素補充療法を受けていた16歳～74歳の患者さんを対象とした臨床試験では、酵素補充療法と同程度の腎機能・心機能^{注2)}の維持効果が認められています。



- ◆ 本剤と酵素補充療法を併用したときの有効性は確認されていません。

この資料は、医薬品の有効性・安全性情報を簡潔にまとめ、医薬品の適正使用の推進や、患者さん参画型安全対策の発展・向上を目的として、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）と、日本ライゾノーム病患者家族会協議会（患者会）が連携し、共同で作成したものです。
医薬品の情報収集には、添付文書等も参考してください。
PMDA 医療用医薬品添付文書等検索 <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/IyakuSearch/>
資料に対するご意見等は、患者会でまとめてPMDAに連絡しています。
下記連絡先までお伝えください。
<連絡先> 電話/FAX: 03-5786-1551 e-mail: post@j-lsd.com



3. おわりに

PMDAでは、引き続き、患者会と連携して資材を作成するなど適正使用推進に取り組むこととして
います。医薬関係者の皆様におかれましては、引き続き患者の皆様への適切な情報提供や、患者の皆様
からの副作用等情報収集へのご協力をお願いいたします。

(参考情報)

- ・患者会との連携に関する取り組み

<https://www.pmda.go.jp/safety/0004.html>