

2023年2月16日

日本ライソゾーム病患者家族会協議会と独立行政法人医薬品医療機器総合機構の  
連携による医薬品情報提供について

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という）と日本ライソゾーム病患者家族協議会（以下「協議会」という）では、新たに製造販売承認された次の医薬品について、別添により、協議会会員向けの情報提供を致します。

販売名：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

PMDA と協議会では連携により次の試行的実施を進めていくこととしており（参考資料）、今回の情報提供は1. の取り組みの2例目となります。

1. 今後発売される新薬の有効性及び安全性に関するわかりやすい情報の提供
2. 協議会を介した治療薬使用に関連する安全性情報の収集

<これまでの取り組み>

No	販売名（製造販売業者）	情報提供開始年月
1	ゼンフォザイム点滴静注用 20mg （サノフィ株式会社）	2022年5月
2	ガラフォルドカプセル 123mg （アミカス・セラピューティクス株式会社）	2023年2月

日本ライソゾーム病患者家族会協議会  
独立行政法人医薬品医療機器総合機構

# ガラフォルド<sup>®</sup>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。

## 品目概要

- ◆ ファブリー病の治療薬です。
  - ・ 添付文書の効能・効果は「ミガーラスタートに反応性のある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<sup>注1)</sup>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。



頭痛



吐き気・嘔吐  
おうと



錯感覚<sup>注1)</sup>

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。

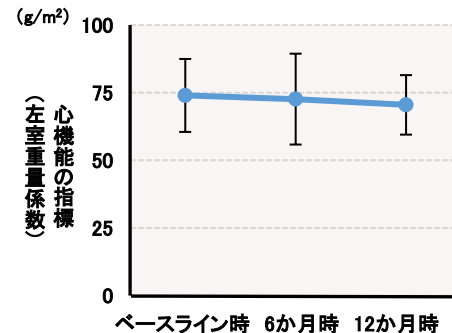
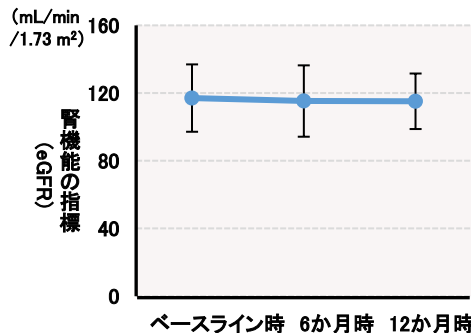


## 有効性について

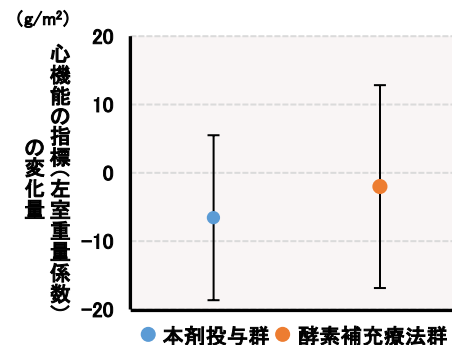
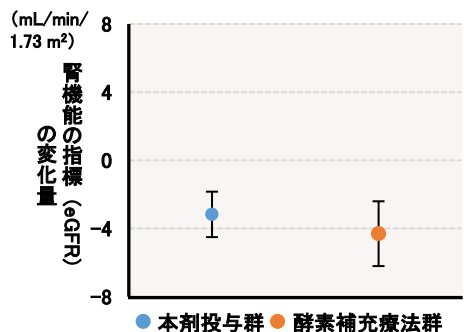
別添

- ◆ 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<sup>注2)</sup>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<sup>注2)</sup>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、日本ライゾゾ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、添付文書等も参考にしてください。  
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@i-isd.com](mailto:post@i-isd.com)

# 患者への迅速・適確な情報提供・収集のための患者会との連携

## 患者への情報伝達

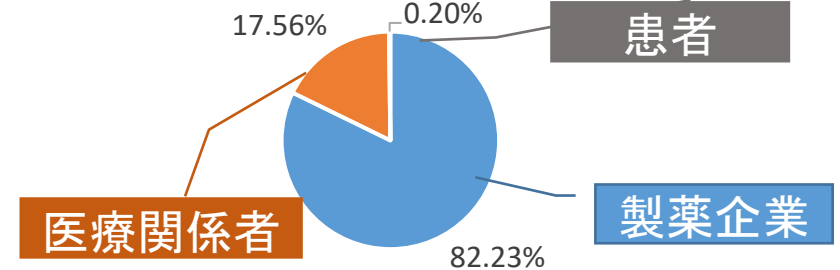
PMDAから患者には、HP掲載による提供など、限定的



○情報提供は製薬企業やPMDAのメディナビ等を介した医療関係者への提供ルートがあるが、患者への情報提供は多忙な医療現場に依存

## 副作用の報告主体

R 2 年度医薬品副作用報告等の状況



○副作用報告は圧倒的に、企業、医療関係者

### <現状認識>

- 情報提供では、PMDAホームページ、メディナビ、患者向け情報提供資材などの媒体を用いているが、ターゲットとなる使用者に確実に情報を伝達できるかが課題
- 情報収集では、患者からの情報収集は報告の質・量ともに課題
- “患者”の属性は極めて多岐にわたり、多様な“患者”全体を対象にしたアプローチは困難であるが、希少疾患、難病等、小規模ながらネットワーク化が進んでいる患者会と連携することで、迅速・確実な情報提供、効率的な情報収集が行える可能性

## 患者会との連携を試行的に実施

### <対応>

- 日本ライソゾーム病患者家族会協議会と共同で、以下を試行的に実施
  - ・今後発売される新薬の有効性・安全性に関するわかりやすい情報の提供
  - ・治療薬使用に関連する安全性情報の患者会ネットワークを活用した収集
- 試行結果を踏まえ、協力対象を拡大していくか検討