

Laronidase

1. 医薬品名、剤型、必要と考えられる対象年齢、効能・効果（対象疾患）、対象患者数	
a. 医薬品名（一般名・商標名）	Laronidase, Aldurazyme
b. 剤型	5ml/vial
c. 現在市販されている剤型で対応可能か	はい・
d. 対象年齢	6歳未満の小児に対する安全性は確立していない
e. 効能・効果、対象疾患	各臓器における GAG 蓄積の除去、ムコ多糖体蓄積症Ⅰ型と確定診断された患者 成人と同一か否か：はい・ 他にも適応となる効能・効果、対象疾患があるか：・いいえ（はいの場合は以下に記載）
f. 年間症例数の予測（5万例を超えるか？）	本邦では 50 例程度（5 万例以下）
2. 国内外での開発・販売企業と開発状況	
a. 国内での開発・販売企業	ジェンザイム・ジャパン（株）
b. 国内での成人および小児の開発状況	成人での承認 有・無 承認年月日 小児での承認 有・無 開発状況（製剤追加の場合も含む） 国内治験準備中
c. 海外での開発・販売企業	Genzyme Corporation USA
d. 海外での成人および小児の開発・承認状況	成人での承認 有／無 承認年月日 2003 年 4 月、台湾；2003 年 11 月 小児での承認 有／無 5 歳未満の安全性は確立していない 開発中であれば開発国と開発状況を記載
3. 日本の添付文書の記載内容	
a. 商標名	
b. 効能・効果、対象疾患	
c. 用法・用量	
d. 使用上の注意、慎重投与、禁忌等の記載内容	
e. その他の問題点	
f. 現在の記載でどのような現実的な問題があるのか	
4. 海外の添付文書の記載内容、承認状況（できれば数ヶ国について）	
米国の状況	承認状況：2003 年 4 月承認 添付文書の記載内容： 効能・効果、対象疾患 各臓器における GAG 蓄積の除去、ムコ多糖体蓄積症Ⅰ型と確定診断された患者 用法・用量 体重 kg あたり 1ml を 1 週間に 1 回点滴静注 使用上の注意、慎重投与、禁忌等の記載内容（米国添付文書 別添）
の状況	承認状況： 添付文書の記載内容： 効能・効果、対象疾患 用法・用量 使用上の注意、慎重投与、禁忌等の記載内容
5. エビデンスのレベル（別に添付資料としても可、レファレンスはコピーを必ず保存）	
Cochrane Review の評価（全文は資料として別添）	
Cochrane Review の採用文献	（別添可）
5-1. 国内外の代表的な教科書、一流雑誌の総説、ガイドラインにおける記載	
教科書（雑誌）名、ページ、版、発行年など	記載内容のサマリー