

Recombinant Human Iduronidase-2-sulphatase

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）	Recombinant Human Iduronidase-2-sulphatase
b. 剤型	
c. 現在市販されている剤型で対応可能か	はい・いいえ
d. 対象年齢	
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Ⅱ型と確定診断された患者 成人と同一か否か：はい・いいえ 他にも適応となる効能・効果、対象疾患があるか：はい・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 5 0 例程度（5 万人以下）
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） 国内臨床治験準備中
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 小児での承認 有／無 開発中であれば開発国と開発状況を記載 米国 phase Ⅱ/Ⅲ
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： 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
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
Molecular Medicine vol 32	ムコ多糖症Ⅱ型の病因、病態生理、症候等について記載

臨時増刊号 遺伝病マニュアル上 p104-105 1995		
小児内科 vol35 増刊号 p483-487 2003 年		臨床症状、診断治療等について記載
5-2. エビデンスとして重要な論文名と記載内容（カテゴリーについては適宜変えて可）		
対象とする年齢の小児の PK データ		
著者、雑誌名、ページ、 発行年など		記載内容のサマリー
2 重盲検等の対照薬を用いた比較試験		
著者、雑誌名、ページ、 発行年など		記載内容のサマリー
その他の試験（国内における公的研究費による委託研究などがある場合は、どのような委託研究によって行われたかも必ず記入）		
著者、雑誌名、ページ、 発行年など		記載内容のサマリー
J Muenzer et al. Acta Paediatr Suppl 439: P98-99, 2002		モデル動物を用いた GAG 蓄積除去について記載。またヒトに対する酵素補充療法 Phase I/II の簡単な説明
6. 臨床現場での必要性と、なぜ開発が行われていないのか		
臨床現場の必要性		ムコ多糖体蓄積症Ⅱ型は進行性の蓄積症であり、早期に治療を開始することが重要である。また代替薬がない
開発が行われなかった理由		
7. どのような開発が適切であると考えられるか		
開発へのアプローチ法		その根拠
8. 現在までの働きかけとそれに対する反応		
誰（どこ）が	誰（どこ）に	どのような働きかけをしたかと、それに対する相手の反応、進行状況