

Recombinant human acid α -glucosidase, Myozyme

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 acid α -glucosidase, Myozyme
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	筋、肝臓、心筋における糖原の除去、糖原病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30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） 国内臨床試験準備中
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、ヨーロッパ 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	糖原病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 p28-29 1995 年		
小児内科 vol.35 増刊号 p398-400, 2003 年	糖原病Ⅱ型の基本病因、発症機序および基本病態、臨床症候について説明	
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	
Andrea Amalfitano et.al Genetic in Medicine Vol.3 No 2 p132-138, 2001	Phase I/II 遺伝子組み換えヒト酸性 α -glucosidase 酵素を糖原病Ⅱ型の乳幼児 3 例に対して 2 週間に 1 回、14・17 ヶ月投与し、安全性と有効性を評価した	
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	糖原病Ⅱ型は進行性の疾患で、発症時期が早いほど症状が重い。海外において治療薬が開発され治験が行われている。代替薬がないため本邦においても早期開発を望む	
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、進捗状況
患者団体	厚生労働省	日本における早期承認および早期保険収載を要望