

Agalsidase beta

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）	Agalsidase beta, Fabrazyme
b. 剤型	35mg/vial, 5mg/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	腎臓等の各臓器における GL-3 蓄積の除去、ファブリー病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 200 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） 治験終了、申請中
c. 海外での開発・販売企業	Genzyme Corporation U.S.A
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 EU:2001 年 8 月 US: 2003 年 4 月 小児での承認 有／6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 欧米約 30 カ国で承認
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. 現在の記載でどういう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 腎臓等の各臓器における GL-3 蓄積の除去、ファブリー病と確定診断された患者 用法・用量 体重 1 kg あたり 1mg を 2 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）
欧州の状況	承認状況：2001 年 8 月承認 添付文書の記載内容： 効能・効果、対象疾患 腎臓等の各臓器における GL-3 蓄積の除去、ファブリー病と確定診断された患者 用法・用量 体重 1 kg あたり 1mg を 2 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 （欧州添付文書 別添）
5. エビデンスのレベル（別に添付資料としても可、参考文献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	
Ann.Intern.Med.2003;138 p338-346	ファブリー病治療における推奨ガイドライン	
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	
Christine M, Eng et.al. The New England J of Med, 345(1); p9-16, 2001	プラセ群と実薬群（Fabrazyme）で 58 例を対照に 11 回（20 週）投与を行い、ファブリー病に対する有効性と安全性を確認した。	
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	
衛藤義勝ら 小児科診療 66(8) p151-160 2003 年	日本人ファブリー病男性 13 例を対象に多施設オープン試験にて Fabrazyme11 回（20 週）投与を行い、有効性と安全性を確認した。	
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	ファブリー病は X 染色体劣性遺伝の進行性蓄積症であり、早期に治療を開始することが重要である。症状が進行すると腎・心の障害が現れ、疾患で命に係わる問題となり、現在代替医薬品がない	
開発が行われなかった理由	国内試験は終了しており申請中である	
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
ファブリー病患者会	厚生労働省	早期承認および早期保険適応