

アガルシダーゼアルファ

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）	アガルシダーゼアルファ（リプラガル）
b. 剤型	注射用製剤 1mg/ml
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	特になし
e. 効能・効果、対象疾患	Fabry 病 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？）	300－500人
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	住友製薬(株)
b. 国内での成人および小児の開発状況	成人での承認 ・無 承認年月日 小児での承認 ・無 開発状況（製剤追加の場合も含む） 申請中
c. 海外での開発・販売企業	Transkaryotic therapies 社
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／ 承認年月日 2001年8月3日 小児での承認 /無 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 未定	
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： 審査中 添付文書の記載内容： 未定 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
EU の状況	承認状況： 2001年8月 添付文書の記載内容： 効能・効果、対象疾患 Fabry 病 用法・用量 0.2mg/kg 静脈内投与 1回/2週間 使用上の注意、慎重投与、禁忌等の記載内容 アナフィラキシーを発現する患者（禁忌） 投与時反応（慎重投与）
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
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	
Schiffmann R et al: JAMA 285: 2743-2749(2001)	アガルシダーゼアルファとプラセボの二重盲検。CTA の減少、疼痛の改善、 腎病理の改善および腎機能の維持、改善がみられた。	
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 小児科臨床 56: 133-143 (2003)	日本人ファブリー病患者にアガルシダーゼアルファを投与。CTH の減少、 疼痛の改善が認められた。	
Schiffmann R et al :JAMA Proc Natl Acad Sci 97: 365-370(2000)	0.07-0.110mg/kg でアガルシダーゼアルファの薬物動態、薬力学的試験を実施。血中濃度の直線性と肝臓中の CTH の減少がみられた。	
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		
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