

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）	
Cochran Review の評価 （全文は資料として別添）	
Cochran 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 臨時増刊号遺伝病マニュアル 上 p102-103 1995 年	ムコ多糖の症 I 型の病因、病態生理、症候について記載
小児内科 vol 35 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
Emil D. Kakkis et al. The New England J of Med. Vol.334 No.3 p 182-188, 2001	10 例を対象に 1 週間に 1 回 125,000U/kg の遺伝子組み換え α -L-iduronidase を 52 週間投与した。肝臓への蓄積物除去および症状の改善がみられた。
6. 臨床現場での必要性和、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 I 型は進行性の蓄積症であり、骨変形、心肥大などの症状を伴う。重症例では 10 歳くらいまでに死亡するため早期に治療を開始することが重要である。代替医薬品はない。
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
ジェンザイムジャパン	厚生労働省	わが国独自の臨床試験を行うことが困難であることから、海外での使用経験と個人輸入により使用されている日本人の使用状況をもって早期に承認されることを要望した。厚労省は個人輸入による日本人の使用記録の提出をジェンザイムジャパンに要請した。