

日本ライソゾーム病患者家族会協議会と独立行政法人医薬品医療機器総合機構の
連携による医薬品情報提供について

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という）と日本ライソゾーム病患者家族協議会（以下「協議会」という）では、新たに製造販売承認された次の医薬品について、別添により、協議会会員向けの情報提供を新たに開始致します。

販売名：ゼンフォザイム点滴静注用 20mg
製造販売業者：サノフィ株式会社

PMDA と協議会では連携により次の試行的実施を進めていくこととしており（参考資料）、今回の情報提供は 1. の取り組みの 1 例目となります

1. 今後発売される新薬の有効性及び安全性に関するわかりやすい情報の提供
2. 協議会を介した治療薬使用に関連する安全性情報の収集

日本ライソゾーム病患者家族会協議会
独立行政法人医薬品医療機器総合機構

ゼンフォザイム[®]点滴静注用20mg

製造販売業者: サノフィ株式会社

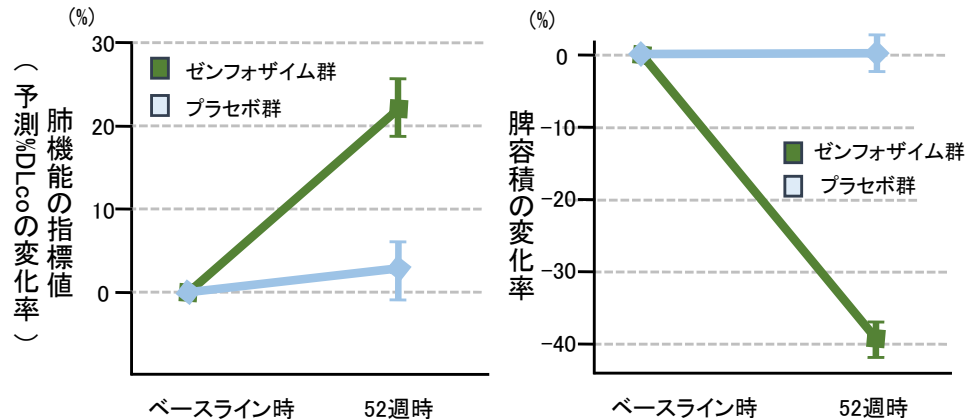
品目概要

- ◆ ニーマン・ピック病A型およびB型の治療薬です。
添付文書の効能・効果は「酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症」とされています。
- ◆ 2週間に1回、点滴静脈注射されます。
- ◆ 投与時間はおよそ18分～220分です。

有効性について

- ◆ 成人の患者さんを対象とした臨床試験では、肺機能および脾容積^{注1)}のいずれも改善効果が認められました。

注1) ニーマンピック病A型およびB型では、肝脾腫(肝臓や脾臓が大きくなること)や、肺の機能の低下などが一般的に認められます。



※ゼンフォザイム点滴静注用20mg審査報告書より作図

- ◆ 小児の患者さんを対象とした臨床試験でも、投与前と比較して、肺機能や脾容積の改善などが認められました。
- ◆ なお、中枢神経系症状に対する有効性は認められていません。

安全性について

- ◆ 重度のインフュージョンリアクション^{注2)}や、アナフィラキシーという症状が、本剤の投与中まれにみられることがあり、代表的な症状は、以下のとおりです。このような場合には、速やかに医師や看護師に連絡してください。

注2) 投与後およそ24時間以内に起こる、アレルギーのような症状



全身のかゆみ



息苦しさ



意識の低下、ふらつき



悪寒、さむけ

- ◆ また、本剤の臨床試験では、頭痛、吐き気、腹痛なども認められています。在宅中でも、気になる症状がありましたら、医療機関に連絡してください。
- ◆ 投与量を徐々に増やす段階などで、肝機能異常があらわれることがあるため、肝機能の検査が行われます。
- ◆ 本剤は国内の治験症例が1名と非常に少ないため、一定のデータ集積まで、この薬を使用された患者さん全員を対象とした調査が行われる予定です。
- ◆ 長期間投与における安全性は、まだ十分明らかになっておりませんので、上記の調査において、併せて確認することになっています。



➢ この資料は、医薬品の有効性・安全性情報を簡潔にまとめ、医薬品の適正使用の推進や、患者さん参画型安全対策の発展・向上を目的として、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)と、日本ライソゾーム病患者家族会協議会(患者会)が連携し、共同で作成したものです。

➢ 医薬品の情報収集には、添付文書等も参考にしてください。
PMDA 医療用医薬品添付文書等検索 <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/>

➢ 資料に対するご意見等は、患者会でまとめてPMDAに連絡しています。
下記連絡先までお伝えください。

<連絡先> 電話/FAX: 03-5786-1551 e-mail: post@j-isd.com

患者への迅速・適確な情報提供・収集のための患者会との連携

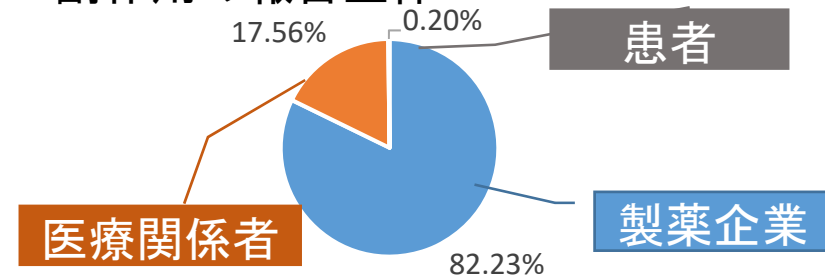
患者への情報伝達



○情報提供は製薬企業やPMDAのメディナビ等を介した医療関係者への提供ルートがあるが、患者への情報提供は多忙な医療現場に依存

副作用の報告主体

R 2 年度医薬品副作用報告等の状況



○副作用報告は圧倒的に、企業、医療関係者

<現状認識>

- 情報提供では、PMDAホームページ、メディナビ、患者向け情報提供資材などの媒体を用いているが、ターゲットとなる使用者に確実に情報を伝達できるかが課題
- 情報収集では、患者からの情報収集は報告の質・量ともに課題
- “患者”の属性は極めて多岐にわたり、多様な“患者”全体を対象にしたアプローチは困難であるが、希少疾患、難病等、小規模ながらネットワーク化が進んでいる患者会と連携することで、迅速・確実な情報提供、効率的な情報収集が行える可能性

患者会との連携を試行的に実施

<対応>

- 日本ライソゾーム病患者家族会協議会と共同で、以下を試行的に実施
 - ・今後発売される新薬の有効性・安全性に関するわかりやすい情報の提供
 - ・治療薬使用に関連する安全性情報の患者会ネットワークを活用した収集
- 試行結果を踏まえ、協力対象を拡大していくか検討