

# **エラプレース点滴静注液 6mg**

## **特定使用成績調査**

- エラプレース点滴静注液の安全性及び有効性の検討 -

## **特定使用成績調査実施要綱**

ジェンザイム・ジャパン株式会社

第1版（2007年10月作成）

## 1. 調査の目的

「エラブレース点滴静注液 6mg」は、ムコ多糖症 型の酵素補充療法に使用する薬剤であり、ムコ多糖症 型患者さんに対し本剤は日常診療下において長期にわたり使用されることが考えられます。よって使用成績調査に代えて、長期使用に関する特定使用成績調査として、製造販売後の使用実態下での長期使用における安全性及び有効性に関する次の項目について確認します。

- (1) 使用上の注意から予測できない新規の副作用(特に重要な副作用について)
- (2) 医薬品の使用実態下における副作用の発生状況
- (3) 安全性に影響を与えと考えられる要因
- (4) 長期使用における有効性評価

本調査で収集した情報は、医薬品の安全確保、適正使用の目的として国内外の規制当局への報告及び調査参加医師への情報提供のために使用します。

なお、本調査は以下の承認条件に基づき実施します。

「日本人における投与経験が極めて限られていることから、製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は、全症例を対象に使用成績調査を実施することにより、本剤使用患者の背景情報を把握するとともに、本剤の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じること。」

## 2. 調査の対象となる患者さん

本剤の効能・効果である「ムコ多糖症 型」の患者さんの内、調査期間内に本剤の投与を受ける全症例。

本剤は、希少疾病用医薬品の指定を受けており、本調査の対象となる患者数は極めて少数であること、また、日本人の投与経験が極めて限られていることから、承認条件に基づき本剤の使用全症例を対象といたします。

他院にてエラブレースの投与を受け、検査等で通院されている患者さんも調査対象となります。

## 3. 調査薬剤

「エラブレース点滴静注液 6mg」

剤型・含量： 1 バイアル(3mL)中にイデュルスルファーゼ(遺伝子組換え)6.0mgを含有する点滴静注液

用法・用量：通常、イデュルスルファーゼ(遺伝子組換え)として、1回体重1kgあたり0.5mgを週1回点滴静脈内投与する。(別添資料の最新の添付文書をご参照下さい。)

#### 4. 調査方法

本調査は、中央登録方式にて行います。調査対象は「エラブレース点滴静注液 6mg」を投与するムコ多糖症 型の全ての患者さんとして、登録票により登録を行い、調査を実施します。

なお、契約締結日以前より本剤が投与されている症例については、可能な限り本剤投与開始日からの情報の収集をお願いいたします。

また、遺伝子検査の情報につきましては、当該情報を収集される際に患者さんの同意を取得していただきますようお願いいたします。

##### 1) 患者さんの登録

「エラブレース点滴静注液 6mg」を投与する全てのムコ多糖症 型患者さんを対象に、登録票により患者登録を行っていただきます。

登録票は2枚複写になっておりますので、必要事項をご記入のうえ、2枚目(白色)のみ弊社製造販売後調査等管理部門までファックスしていただきますようお願いいたします。登録票を受領しましたら登録が完了した旨をご連絡いたします。

##### 2) 調査票への記入

調査票は、患者背景・開始時調査用、治療経過時調査用、及び検査データ調査用がございます。調査施設での投与および検査実施状況によってご記載いただく調査票の組み合わせが異なります。

例：

##### 投与を中心とした調査施設の場合

患者背景・開始時調査用調査票に調査開始時の情報をご記入ください。

治療経過時調査用調査票に投与状況、併用薬剤、バイタルサイン、有害事象、治療状況、エラブレース評価等をご記入ください。

##### 検査を中心とした調査施設の場合

患者背景・開始時調査用調査票に調査開始時の情報をご記入ください。

治療経過時調査用調査票にバイタルサイン、治療状況、エラブレース評価等をご記入ください。

検査データ調査用調査票には、実施している検査のみご記入ください。

##### 投与および検査を実施している調査施設の場合

患者背景・開始時調査用調査票に調査開始時の情報をご記入ください。

治療経過時調査用調査票に投与状況、併用薬剤、バイタルサイン、有害事象、治療状況、エラブレース評価等をご記入ください。

検査データ調査用調査票には、実施している検査のみご記入ください。

3) 調査票の回収

ご記入いただきました調査票につきましては、速やかに弊社医薬情報担当者にお渡しください。

転院、併院症例の症例ごとの識別及び長期投与症例のフォローのため、患者情報(イニシャル、生年月日、性別) ご記入にご協力をお願いいたします。

5. 調査期間

調査期間は、発売日より8年とし、以下のとおり調査を行います。

登録期間：2007年10月17日(発売日)より2015年10月16日(8年)

調査期間：2007年10月17日(発売日)より2015年10月16日(8年)

契約締結日以前より本剤が投与されている症例については、可能な限り本剤投与開始日からの情報の収集を行います。

なお、各症例の観察期間は投与開始後1~8年間です。長期使用の評価のためには、1年以上8年までの観察期間が必要ですが、観察期間が1年に満たない症例についても、得られた情報により可能な限り安全性評価の対象とします。

6. 調査項目および収集スケジュール

	調査票	登録票	患者背景・調査開始時調査			治療経過調査
			患者背景	酵素補充療法 (ERT) 開始前	調査開始時	6ヶ月毎
調査実施施設名、担当医師署名、投与実施施設名						
投与開始(予定)日						
患者情報(性別、生年月日)、病型						
患者情報(イニシャルまたは登録症例識別コード)						
遺伝子型*1			(別紙)			
発症日、初診断日						
白血球中イズロン酸 - 2 - スルファターゼ酵素活性値	治					(実施時)
酵素補充療法治療歴、造血幹細胞移植施行歴						
既往歴、合併症、手術歴						
エラブレース投与記録	治					↔
併用薬剤、併用療法、補助器具使用	治					↔
尿中ウロン酸濃度	治					治療開始初年度 は3ヶ月毎
ムコ多糖症 型の症状、重症度	治					
身体計測・バイタルサイン(身長、体重、頭囲、胸囲、 腹囲(臍囲)、体温、血圧、脈拍、呼吸数、酸素飽和 度、酸素依存、肝腫大(触診)、脾腫大(触診))	治		ERT1年前 ERT 開始時	調査開始1年前 調査開始時		治療開始初年度 は3ヶ月毎
血液学的検査、生化学的検査、尿検査	治					
妊娠の有無	治					↔
免疫学的検査(IgG)	治					治療開始初年度 は3ヶ月毎
免疫学的検査(IgE)	治					(実施時)
有害事象	治					↔
エラブレース治療(治療継続、投与中止・脱落)	治					↔
死亡についての情報	治					↔
エラブレースの総合評価	治					
心電図、心エコー、NYHA 心機能分類	検					
脳画像、腹部画像診断、整形外科撮影・脊柱・腰部、 関節可動域、6分間歩行検査、	検					
精神運動発達検査、MILESTONES	検					
肺機能検査、夜間睡眠検査(睡眠時無呼吸検査)	検					
眼科検査、神経学的検査、聴覚検査、 神経生理学的検査	検					
嚥下検査	検					

\* 1.遺伝子検査情報の提供にあたっては、患者様の同意を取得する。

治. 治療経過時調査用の調査票に記載していただく項目

検. 検査データ用の調査票に記載していただく項目

## 7. 有害事象

(有無、事象名、発現日、過敏反応、重症度、重篤性、本剤の各投与、処置、転帰、本剤との因果関係、本剤以外の要因、関連性に関するコメント)

有害事象とは 本調査中に患者さんに生じたあらゆる好ましくない、あるいは意図しない徴候(臨床検査値の異常を含む)、症状、または病気のことであり、使用した薬剤との因果関係の有無は問いません。

原疾患の悪化および原疾患の進行により調査開始時に認められた症状が明らかに悪化した場合や新たな症状が認められた場合には、有害事象として収集します。

未知の副作用を確実に拾い上げることを目的に有害事象について収集します。重篤な有害事象又は、添付文書の使用上の注意から予測できない有害事象の発現が報告され、より詳細な調査の必要がある場合には、有害事象詳細調査票等を用いて当該症例を調査します。

## 8. 抗体検査

本剤に対する抗体産生が infusion associated reaction に影響を与える因子であるかどうかを検討することを目的とします。可能な限り、ベースライン時として本剤の投与開始前に抗体検査のための検体を採取し、酵素補充療法治療開始初年度は3ヵ月毎、2年目以降は6ヵ月毎に採取します。抗体検査に供する検体は、各投与日の本剤投与前に採取します。

## 9. 有害事象時の対応

「エラブレース点滴静注液 6mg」の使用により重篤または新規な有害事象(添付文書「使用上の注意」に記載のない有害事象)が発現した場合には、直ちに弊社医薬情報担当者にご連絡くださいますようお願いいたします。また、後日、必要に応じて別途詳細な調査をご依頼することがありますが、ご協力をお願いいたします。

<連絡先> ジェンザイム・ジャパン株式会社

〒102-0073 東京都千代田区九段北四丁目2番1号 市ヶ谷東急ビル9階

実施部門：バイオ医薬品事業本部 営業統括部 TEL03-3230-8281 FAX03-3230-8398

管理部門：市販後調査管理部 TEL03-3230-8360 FAX03-3230-8396