ファビハルタカプセル 200 mg に係る
医薬品リスク管理計画書

ノバルティスファーマ株式会社

（別紙様式 2）

ファビハルタカプセル 200 mg に係る
医薬品リスク管理計画書（RMP）の概要

販売名	ファビハルタカプセル 200 mg	有効成分	イプタコパン塩酸塩水和物
製造販売業者	ノバルティスファーマ株式会社	薬効分類	873999
提出年月日		令和8年10月20日	

1.1. 安全性検討事項

【重要な特定されたリスク】	【重要な潜在的リスク】	【重要な不足情報】
肺炎球菌感染症	髄膜炎菌感染症	該当なし
	感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外）	
	発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止後の重篤な溶血	

1.2. 有効性に関する検討事項

該当なし

↓上記に基づく安全性監視のための活動

2. 医薬品安全性監視計画の概要

通常の医薬品安全性監視活動

追加の医薬品安全性監視活動

特定使用成績調査（CLNP023C11401調査）（発作性夜間ヘモグロビン尿症）

特定使用成績調査（CLNP023B11401調査）（C3腎症）

市販直後調査（IgA 腎症）

3. 有効性に関する調査・試験の計画の概要

該当なし

↓上記に基づくリスク最小化のための活動

4. リスク最小化計画の概要

通常のリスク最小化活動

追加のリスク最小化活動

医療従事者向け資材（適正使用ガイド（発作性夜間ヘモグロビン尿症，C3腎症/IgA 腎症））の作成，提供

患者向け資材（ファビハルタを服用される発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）の患者さんへ，ファビハルタを服用される C3腎症の患者さんへ，ファビハルタを服用される IgA 腎症の患者さんへ，ファビハルタ患者安全性カード）の作成，提供

市販直後調査による情報提供（IgA 腎症）

各項目の内容は RMP の本文でご確認ください。

（別紙様式 1）

医薬品リスク管理計画書

会社名：ノバルティスファーマ株式会社

<table>
<tr><td colspan="4">品目の概要</td></tr>
<tr><td>承認年月日</td><td>2024 年 6 月 24 日</td><td>薬効分類</td><td>873999</td></tr>
<tr><td>再審査期間</td><td>発作性夜間ヘモグロビン尿症：8 年
C3 腎症：10 年
IgA 腎症：10 年</td><td>承認番号</td><td>30600AMX00147000</td></tr>
<tr><td>国際誕生日</td><td colspan="3">2023 年 12 月 5 日</td></tr>
<tr><td>販売名</td><td colspan="3">ファビハルタカプセル 200 mg</td></tr>
<tr><td>有効成分</td><td colspan="3">イプタコパン塩酸塩水和物</td></tr>
<tr><td>含量及び剤形</td><td colspan="3">1 カプセル中にイプタコパン塩酸塩水和物 225.8 mg（イプタコパンとして 200 mg）を含有するカプセル剤</td></tr>
<tr><td>用法及び用量</td><td colspan="3">通常，成人にはイプタコパンとして 1 回 200 mg を 1 日 2 回経口投与する。</td></tr>
<tr><td>効能又は効果</td><td colspan="3">1. 発作性夜間ヘモグロビン尿症
2. C3 腎症
3. IgA 腎症</td></tr>
<tr><td>承認条件</td><td colspan="3">1. 医薬品リスク管理計画を策定の上，適切に実施すること。
〈発作性夜間ヘモグロビン尿症〉
2. 日本人での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。
3. 本剤の投与が，発作性夜間ヘモグロビン尿症の診断，治療に精通し，本剤のリスク等についても十分に管理できる医師・医療機関のもとで，髄膜炎菌感染症の診断，治療に精通した医師との連携を取った上でのみ行われるよう，製造販売にあたって必要な措置を講じること。
〈C3 腎症〉</td></tr>
</table>

品目の概要	
	4. 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。 5. 本剤の投与が，C3 腎症の診断，治療に精通し，本剤のリスク等についても十分に管理できる医師・医療機関のもとで，髄膜炎菌感染症の診断，治療に精通した医師との連携を取った上でのみ行われるよう，製造販売にあたって必要な措置を講じること。 〈IgA 腎症〉 6. 本剤の投与が，IgA 腎症の診断，治療に精通し，本剤のリスク等についても十分に管理できる医師・医療機関のもとで，髄膜炎菌感染症の診断，治療に精通した医師との連携を取った上でのみ行われるよう，製造販売にあたって必要な措置を講じること。
備　　考	2025 年 5 月 19 日に，C3 腎症の効能及び効果で承認事項一部変更承認を取得 2026 年 9 月 16 日に，IgA 腎症の効能及び効果で承認事項一部変更承認を取得

変更の履歴
前回提出日：令和 8 年 9 月 16 日
変更内容の概要： 1. 「5.1 医薬品安全性監視計画の一覧」において，CLNP023C11401 調査及び CLNP023B11401 調査の最終報告書作成予定時期を改訂。 2. 医療従事者向け資材「適正使用ガイド（発作性夜間ヘモグロビン尿症）」を改訂。 3. 患者向け資材「ファビハルタを服用される発作性夜間ヘモグロビン尿症の患者さんへ」及び「ファビハルタを服用される C3 腎症の患者さんへ」を改訂。
変更理由： 1. CLNP023C11401 調査及び CLNP023B11401 調査の最終報告書作成予定時期を再検討したため。 2. IgA 腎症に対する承認事項一部変更承認に伴う電子添文改訂のため。電子添文改訂による薬物相互作用の記載改訂のため。その他記載整備。 3. 電子添文改訂による薬物相互作用の記載改訂のため。その他記載整備。

1　医薬品リスク管理計画の概要

1.1　安全性検討事項

重要な特定されたリスク	
肺炎球菌感染症	
	重要な特定されたリスクとした理由： 本剤は，補体 B 因子に結合し，自然免疫系において重要な役割を担う補体第二経路を阻害する。他の補体阻害薬と同様に，本剤による補体阻害は，治療患者における莢膜形成細菌に起因する感染症のリスクを高めるおそれがある。肺炎球菌の主たる殺菌プロセスはオプソニン化による貪食であり，本剤投与は肺炎球菌に対する生体防御機能を低下させる可能性があることから，肺炎球菌感染症に注意が必要である。 本剤の発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）患者を対象とした国際共同第 III 相試験（C12301 試験，C12302 試験），外国第 II 相試験（X2201 試験，X2204 試験），国際共同第 II 相試験（LFG316X2201 試験）及び継続試験（C12001B 試験）の併合解析（以下，PNH 併合解析）*1 において，肺炎球菌による可能性が考えられる細菌性肺炎（細菌性大葉性肺炎）が 2 名（2/170 名）報告されている。 本剤の C3 腎症（C3G）患者を対象とした国際共同第 III 相試験（B12301 試験），外国第 II 相試験（X2202 試験）及び両試験の投与期を完了した被験者が移行できる継続試験（B12001B 試験）の併合解析（以下，C3G 併合解析）*2 において，重篤な肺炎球菌性肺炎が 2 名（2/101 名）及び肺炎球菌性敗血症が 1 名（1/101 名）に報告されており，肺炎球菌感染症の有害事象の発現割合は 2.0%（2/101 名）であった。 本剤の IgA 腎症（IgAN）患者を対象とした国際共同第 III 相試験（A2301 試験），国際共同第 II 相試験（X2203 試験）及び両試験を完了した被験者が移行できる継続投与試験（A2002B 試験）の併合解析（以下，IgAN 併合解析）*3 において，肺炎球菌感染症の有害事象の発現割合は 1.0%（5/495 名）であり，重篤な細菌性肺炎が 0.4%（2/495 名）及び肺炎球菌性肺炎が 0.4%（2/495 名）に報告された。 以上より，本剤の作用機序及び臨床試験での発現状況を踏まえ，肺炎球菌感染症を重要な特定されたリスクとした。 *1：C12301 試験のデータカットオフ日：2022 年 11 月 2 日，C12302 試験及び C12001B 試験のデータカットオフ日：2022 年 9 月 26 日。 *2：B12301 試験（成人の試験終了時）及び B12001B 試験のデータカットオフ日：2024 年 5 月 6 日。 *3：A2002B 試験のデータカットオフ日：2025 年 8 月 11 日。
	医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由： 【内容】 • 通常の医薬品安全性監視活動

【選択理由】
製造販売後における肺炎球菌感染症の発現状況をより詳細に把握するため。

リスク最小化活動の内容及びその選択理由：
【内容】
- 通常のリスク最小化活動として，電子添文の「警告」，「禁忌」，「効能又は効果に関連する注意」，「特定の背景を有する患者に関する注意」及び「副作用」の項，並びに患者向医薬品ガイドに記載して注意喚起する。
- 追加のリスク最小化活動として，以下を実施する。
  - 医療従事者向け資材（適正使用ガイド（発作性夜間ヘモグロビン尿症，C3 腎症/IgA 腎症））の作成，提供
  - 患者向け資材（ファビハルタを服用される発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）の患者さんへ，ファビハルタを服用される C3 腎症の患者さんへ，ファビハルタを服用される IgA 腎症の患者さんへ，ファビハルタ患者安全性カード）の作成，提供

【選択理由】
医療従事者及び患者に対し，本剤投与により肺炎球菌感染症の発症リスクが増加する可能性があること，ワクチン接種の必要性，及び感染症が疑われる異常が認められた場合は適切な治療を速やかに開始することについて情報提供し，医療従事者及び患者の適正使用に関する理解を促すため。

重要な潜在的リスク

髄膜炎菌感染症

重要な潜在的リスクとした理由：
本剤は，補体 B 因子に結合し，自然免疫系において重要な役割を担う補体第二経路を阻害する。他の補体阻害薬と同様に，本剤による補体阻害は，治療患者における莢膜形成細菌に起因する感染症のリスクを高めるおそれがある。中でも，髄膜炎菌感染症は急激に重症化し，死亡に至るおそれがあり，特に注意が必要である。
本剤の PNH 患者を対象とした PNH 併合解析，C3G 患者を対象とした C3G 併合解析及び IgAN 患者を対象とした IgAN 併合解析において，髄膜炎菌感染症は報告されていない。
以上より，本剤の作用機序及び事象の重篤性から重要なリスクと考えたが，本剤の臨床試験において報告がないことから，髄膜炎菌感染症を重要な潜在的リスクとした。

医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由：
【内容】
- 通常の医薬品安全性監視活動
- 追加の医薬品安全性監視活動として，以下を実施する。
  - 特定使用成績調査（CLNP023C11401 調査）（発作性夜間ヘモグロビン尿症）

	• 特定使用成績調査（CLNP023B11401 調査）（C3 腎症） 【選択理由】 製造販売後における髄膜炎菌感染症の発現状況をより詳細に把握するため。
	リスク最小化活動の内容及びその選択理由： 【内容】 • 通常のリスク最小化活動として，電子添文の「警告」，「禁忌」，「効能又は効果に関連する注意」，「特定の背景を有する患者に関する注意」及び「副作用」の項，並びに患者向医薬品ガイドに記載して注意喚起する。 • 追加のリスク最小化活動として，以下を実施する。 • 医療従事者向け資材（適正使用ガイド（発作性夜間ヘモグロビン尿症，C3 腎症/IgA 腎症））の作成，提供 • 患者向け資材（ファビハルタを服用される発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）の患者さんへ，ファビハルタを服用される C3 腎症の患者さんへ，ファビハルタを服用される IgA 腎症の患者さんへ，ファビハルタ患者安全性カード）の作成，提供 【選択理由】 医療従事者及び患者に対し，本剤投与により髄膜炎菌感染症の発症リスクが増加する可能性があること，ワクチン接種の必要性，及び感染症が疑われる異常が認められた場合は適切な治療を速やかに開始することについて情報提供し，医療従事者及び患者の適正使用に関する理解を促すため。
感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外）	
	重要な潜在的リスクとした理由： 本剤は，補体 B 因子に結合し，自然免疫系において重要な役割を担う補体第二経路を阻害する。他の補体阻害薬と同様に本剤による補体阻害は，治療患者において，特にインフルエンザ菌等の莢膜形成細菌に起因する感染症のリスクを高めるおそれがある。これらの感染症は，生命を脅かし緊急の治療を要する場合がある。 本剤の PNH 患者を対象とした PNH 併合解析において，感染症の有害事象の発現割合は 50.6%（86/170 名）であり，重篤な有害事象の発現割合は 6.5%（11/170 名）であった。重篤な有害事象のほとんどは医師により因果関係が否定された。 本剤の C3G 患者を対象とした C3G 併合解析において，感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外）の有害事象の発現割合は 61.4%（62/101 名）であり，重篤な有害事象の発現割合は 8.9%（9/101 名）であった。重篤な有害事象の多くは医師により因果関係が否定された。 本剤の IgAN 患者を対象とした IgAN 併合解析において，感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外）の有害事象の発現割合は 55.6%（275/495 名）であり，重篤な有害事

	象の発現割合は 6.1%（30/495 名）であった。重篤な有害事象が報告された 30 名のうち 18 名で医師により因果関係が否定された。 以上より，感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外）の発現状況に関する情報は限られており，本剤との因果関係が十分に確認されてはいないことから，感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外）を重要な潜在的リスクとした。

	医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由：
	【内容】
	• 通常の医薬品安全性監視活動
	• 追加の医薬品安全性監視活動として，以下を実施する。
	  • 特定使用成績調査（CLNP023C11401 調査）（発作性夜間ヘモグロビン尿症）
	  • 特定使用成績調査（CLNP023B11401 調査）（C3 腎症）
	【選択理由】
	製造販売後における感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外）の発現状況をより詳細に把握するため。

	リスク最小化活動の内容及びその選択理由：
	【内容】
	• 通常のリスク最小化活動として，電子添文の「警告」，「禁忌」，「効能又は効果に関連する注意」，「特定の背景を有する患者に関する注意」及び「副作用」の項，並びに患者向医薬品ガイドに記載して注意喚起する。
	• 追加のリスク最小化活動として，以下を実施する。
	  • 医療従事者向け資材（適正使用ガイド（発作性夜間ヘモグロビン尿症，C3 腎症/IgA 腎症））の作成，提供
	  • 患者向け資材（ファビハルタを服用される発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）の患者さんへ，ファビハルタを服用される C3 腎症の患者さんへ，ファビハルタを服用される IgA 腎症の患者さんへ，ファビハルタ患者安全性カード）の作成，提供
	【選択理由】
	医療従事者及び患者に対し，本剤投与により感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外）の発症リスクが増加する可能性があること，ワクチン接種の必要性，及び感染症が疑われる異常が認められた場合は適切な治療を速やかに開始することについて情報提供し，医療従事者及び患者の適正使用に関する理解を促すため。

発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止後の重篤な溶血	
	重要な潜在的リスクとした理由： 本剤を含む補体阻害薬の投与により，PNH 型赤血球の割合が増加する（Risitano et al. 2021，Peffault et al. 2022）。他の補体阻害薬と同様に，本剤の投与を中止すると，PNH 型

	赤血球は補体介在性溶血から保護されなくなるため，重篤な溶血が発現する可能性がある。 本剤の PNH 患者を対象とした PNH 併合解析において，本剤投与中止後に重篤な溶血の有害事象は認められなかった。 以上より，本剤の臨床試験では発現は認められなかったが，PNH の疾患特性及び本剤の作用機序より本剤投与中止後の重篤な溶血が発現する可能性を否定できないため，類薬での発現状況も踏まえ，本剤投与中止後の重篤な溶血を重要な潜在的リスクとした。
	医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由： 【内容】 • 通常の医薬品安全性監視活動 • 追加の医薬品安全性監視活動として，以下を実施する。 • 特定使用成績調査（CLNP023C11401 調査）（発作性夜間ヘモグロビン尿症） 【選択理由】 製造販売後における本剤投与中止後の重篤な溶血の発現状況をより詳細に把握するため。

	リスク最小化活動の内容及びその選択理由：
	【内容】
	• 通常のリスク最小化活動として，電子添文の「用法及び用量に関連する注意」，「重要な基本的注意」の項，並びに患者向医薬品ガイドに記載して注意喚起する。
	• 追加のリスク最小化活動として，以下を実施する。
	  • 医療従事者向け資材（適正使用ガイド（発作性夜間ヘモグロビン尿症））の作成，提供
	  • 患者向け資材（ファビハルタを服用される発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）の患者さんへ）の作成，提供
	【選択理由】
	医療従事者及び患者に対して本剤投与中止後の重篤な溶血の発現可能性について情報提供し，医療従事者及び患者の適正使用に関する理解を促すため。

重要な不足情報	
該当なし	

引用文献

Risitano AM, Röth A, Soret J, et al. (2021) Addition of iptacopan, an oral factor B inhibitor, to eculizumab in patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria and active haemolysis: an open-label, single-arm, phase 2, proof-of-concept trial. Lancet Haematol; 8(5):e344-54.

Peffault de Latour R, Hosokawa K, Risitano AM (2022) Hemolytic paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: 20 years of medical progress. Semin. Hematol; 59: 38-46.

1.2　　有効性に関する検討事項

該当なし

2　医薬品安全性監視計画の概要

通常の医薬品安全性監視活動
通常の医薬品安全性監視活動の概要： 自発報告，文献・学会情報，外国措置報告，臨床試験及び製造販売後調査より報告される有害事象症例等の収集・確認・分析に基づく安全対策の検討及び実施
追加の医薬品安全性監視活動
特定使用成績調査（CLNP023C11401 調査）（発作性夜間ヘモグロビン尿症）

【安全性検討事項】

重要な潜在的リスク：髄膜炎菌感染症，感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外），発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止後の重篤な溶血

【目的】

PNH 患者における本剤の使用実態下での安全性及び有効性を確認する。

【実施計画】

調査期間：2024 年 8 月（販売開始日）から 2029 年 1 月（データベースロック予定日）

登録期間：2024 年 8 月（販売開始日）から 2027 年 10 月（予定）

目標症例数：100 名

症例登録方法：全例調査方式（中央登録方式）

観察期間：48 週間

【実施計画の根拠】

＜目標症例数＞

国内の PNH 患者数は，特定医療費受給者証所持者数において，2021 年度は 959 名と報告されている（難病情報センター 2021）。このデータに基づき，補体阻害薬を必要とする中等症以上の PNH 患者は約 1,000 名と想定される。未治療 PNH 患者で抗 C5 抗体薬投与により臨床的に意味のある血管内溶血の抑制（LDH≤1.5×ULN）が得られるのは約 9 割である（Kulasekararai et al. 2022）。また，抗 C5 抗体薬投与により C3 を介した血管外溶血がみられる患者は約 3 分の 2 である（Risitano et al. 2019，Debureaux et al. 2021）。現行の標準治療及び新たな補体阻害薬との競合を踏まえると，約 100 名が本剤の推定患者になると想定した。なお，抗 C5 抗体薬投与下で貧血を有する PNH 患者を対象とした国際共同第 III 相試験（C12302 試験）の 48 週の全体（本剤群の主要評価期及び継続投与期並びに抗 C5 抗体薬-本剤群の継続投与期）の結果では，本剤投与下の重篤な有害事象として感染症および寄生虫症（SOC）の発現割合は 5.2%（5/96 名）であったが，髄膜炎菌感染症の有害事象の報告はなかった。重篤な感染症の真の発現割合が 5.2%の場合，99.5%の確率で 100 名中 1 名以上の患者で重篤な感染症が観察される。

＜観察期間＞

	国際共同第 III 相試験（C12302 試験）の試験期間が 48 週間であることから，この試験と同等に観察できる期間と考え，観察期間を 48 週と設定した。 【節目となる予定の時期及びその根拠】 安全性定期報告時，最終報告書作成時：安全性情報について包括的な検討を行うため。 【当該医薬品安全性監視活動の結果に基づいて実施される可能性のある追加の措置及びその開始の決定基準】 節目となる時期に，以下の内容を含めた医薬品リスク管理計画の変更要否を検討する。 • 新たな安全性検討事項の有無も含めて，本調査の計画内容の変更要否を検討する。 • 新たな安全性検討事項が生じた場合は，リスク最小化策の策定要否を検討する。 • 現状の安全性検討事項に対する，リスク最小化活動の内容変更要否を検討する。
特定使用成績調査（CLNP023B11401 調査）（C3 腎症）	
	【安全性検討事項】 重要な潜在的リスク：髄膜炎菌感染症，感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外） 【目的】 C3 腎症患者における本剤の使用実態下での安全性及び有効性を確認する。 【実施計画】 調査期間：2025 年 5 月（承認日）から 2028 年 10 月（データベースロック予定日） 登録期間：2025 年 7 月から 2027 年 7 月（予定） 目標症例数：27 名（安全性解析対象症例として） 症例登録方法：全例調査方式（中央登録方式） 観察期間：360 日 【実施計画の根拠】 ＜目標症例数＞ 国内の C3 腎症患者の疫学に関する報告はないため，C3 腎症が包含される一次性膜性増殖性糸球体腎炎（以下，一次性 MPGN）の疫学データを用いて本剤の投与対象となり得る患者数を推定した。 **既存患者** 既存患者のうち本剤の投与対象となる患者数は，難病情報センターで報告されている一次性 MPGN の患者数，及び一次性 MPGN での特定医療費受給者証所持者数の 2 つの異なるデータを基にそれぞれ推定し，いずれも類似した結果が得られた。 難病情報センターによると，国内の一次性 MPGN の患者数は約 1,000 名と報告されている（難病情報センター 2024a）。そのうち C3 腎症患者は約 20%と推定され，さらに 15 歳以上は約半数と想定される（Nakagawa et al. 2021，成田 2023）。そのうち本剤

	の投与を必要とする可能性のある高蛋白尿の患者が 60%と推定されることから（Nakagawa et al. 2021，Lomax-Browne et al. 2022），約 60 名が本剤の投与対象になると推定される。 一次性 MPGN での特定医療費受給者証所持者数（難病情報センター 2024b）からも，本剤の対象となり得る患者数を推定した。一次性 MPGN の特定医療費受給者証所持者数は 2023 年度末時点で 398 名であり，多くは 15 歳以上の患者と想定される。そのうち C3 腎症患者の割合は上述のとおり約 20%と推定される。さらに，受給者証を所持する患者集団は上述の難病情報センターに報告される患者集団よりも重症な集団であると想定し，本剤の投与を必要とする可能性のある高蛋白尿の患者が 80%と想定すると，約 60 名が本剤の投与対象になると想定される。 以上の推定結果に加えて，医師及び患者の意向や競合製品が使用可能となる状況等を踏まえると，既存患者のうち本剤が投与され得る患者数は約 25 名と想定される。 **新規患者** 腎臓病総合レジストリー（J-RBR/J-KDR）の経過報告では，新規の C3 腎症患者数が年間 8～12 名（杉山 他 2022，杉山 他 2023）と報告されている。難病情報センターの患者数に基づく既存患者の推定時と同様に，成人及び高蛋白尿の患者の割合，さらにレジストリーへの参加施設が限定されている点を鑑みて算出すると，新規に C3 腎症と診断された患者のうち，年間約 5～7 名が本剤の投与対象になると推定される。 以上の推定結果に加えて，医師及び患者の意向や競合製品が使用可能となる状況等を踏まえると，本剤が投与され得る患者数は年間約 2～3 名，本調査の登録期間（2 年間）で約 5 名と想定される。 これらの推定結果より，本剤の投与対象となり得る患者数を既存の患者と新規の患者合わせて算出し，このうち安全性解析対象から除外される症例も見込まれることを踏まえ，安全性解析対象集団として 27 名を調査対象者数に定めた。 ＜観察期間＞ 国際共同第III相試験（B12301 試験）の試験期間が 360 日であり，B12301 試験において投与期間が長くなることで発現割合が高まる有害事象が報告されていないことから，使用実態下でもこの試験と同等に観察できる期間と考え 360 日と設定した。 【節目となる予定の時期及びその根拠】 安全性定期報告時，最終報告書作成時：安全性情報について包括的な検討を行うため。 【当該医薬品安全性監視活動の結果に基づいて実施される可能性のある追加の措置及びその開始の決定基準】 節目となる時期に，以下の内容を含めた医薬品リスク管理計画の変更要否を検討する。 • 新たな安全性検討事項の有無も含めて，本調査の計画内容の変更要否を検討する。

	• 新たな安全性検討事項が生じた場合は，リスク最小化策の策定要否を検討する。 • 現状の安全性検討事項に対する，リスク最小化活動の内容変更要否を検討する。
市販直後調査（IgA 腎症）	
	実施期間：承認から 6 ヵ月間 評価，報告の予定時期：調査終了から 2 ヵ月以内

引用文献

難病情報センター，令和 3 年度末現在 特定医療費（指定難病）受給者証所持者数＜ https://www.nanbyou.or.jp/entry/5354＞

Kulasekararaj AG, Griffin M, Langemeijer S, et al. (2022) Long-term safety and efficacy of ravulizumab in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: 2-year results from two pivotal phase 3 studies. Eur J Haematol; 109(3):205-14.

Risitano AM, Marotta S, Ricci P, et al. (2019) Anti-complement Treatment for Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: Time for Proximal Complement Inhibition? A Position Paper From the SAAWP of the EBMT. Front Immunol; 10:1157.

Debureaux PE, Kulasekararaj AG, Cacace F, et al. (2021) Categorizing hematological response to eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a multicenter real-life study. Bone Marrow Transplant; 56(10):2600-2.

難病情報センター (2024a) 一次性膜性増殖性糸球体腎炎（令和 6 年度） (Internet) Available from:

<https://www.nanbyou.or.jp/entry/4423> (Accessed 14 Nov 2024)

Nakagawa N, Mizuno M, Kato S, et al. (2021) Demographic, clinical characteristics and treatment outcomes of immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis and C3 glomerulonephritis in Japan: A retrospective analysis of data from the Japan Renal Biopsy Registry (Internet) Available from:

<https://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0257397> (Accessed 14 Nov 2024)

成田一衛 (2023) 難治性腎障害に関する調査研究 (Internet) Available from:

< https://mhlw-grants.niph.go.jp/system/files/download_pdf/2022/202211037A.pdf > (Accessed 14 Nov 2024)

Lomax-Browne HJ, Medjeral-Thomas NR, Barbour SJ, et al. (2022) Association of Histologic Parameters with Outcome in C3 Glomerulopathy and Idiopathic Immunoglobulin-Associated Membranoproliferative Glomerulonephritis. Clin J Am Soc Nephrol; 17(7):994-1007.

難病情報センター (2024b) 特定医療費（指定難病）受給者証所持者数（令和 5 年度末） (Internet) Available from:

< https://www.nanbyou.or.jp/entry/5354> (Accessed 14 Nov 2024)

杉山斉，清水章，佐藤博 (2022) 腎臓病総合レジストリー （J-RBR/J-KDR） 2021 年次報告と経過報告. 第 65 回日本腎臓学会学術総会. (Internet) Available from:

<https://jsn.or.jp/news/220610_kp.pdf> (Accessed 14 Nov 2024)

杉山斉，清水章，丸山彰一 (2023) 腎臓病総合レジストリー （J-RBR/J-KDR） 2022 年次報告と経過報告. 第 66 回日本腎臓学会学術総会. (Internet) Available from:

<https://jsn.or.jp/news/230609_kp.pdf> (Accessed 14 Nov 2024)

3　　有効性に関する調査・試験の計画の概要

該当なし

4　　リスク最小化計画の概要

通常のリスク最小化活動
通常のリスク最小化活動の概要： 電子添文及び患者向医薬品ガイドによる情報提供。
追加のリスク最小化活動
医療従事者向け資材（適正使用ガイド（発作性夜間ヘモグロビン尿症，C3 腎症/IgA 腎症））の作成，提供
【安全性検討事項】 重要な特定されたリスク：肺炎球菌感染症 重要な潜在的リスク：髄膜炎菌感染症，感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外），発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止後の重篤な溶血 【目的】 医療従事者に対し，本剤の安全性に関する包括的な情報，当該リスクに関する情報を提供し，適正使用に関する理解を促し，安全性の確保を図るため。 【具体的な方法】 • 本剤の納入時及び本資材の改訂時に MR が医療従事者に提供，説明し，資材の活用を依頼する。 • 企業ホームページに掲載する。 【節目となる予定の時期，実施した結果に基づき採択される可能性がある更なる措置】 安全性定期報告時に，副作用の発現状況と販売量の推移を確認する。本結果から，リスク最小化策の更なる強化が必要と判断される場合，新たな安全性検討事項が認められた場合，また電子添文が改訂された場合には，資材の改訂，追加の資材作成，提供方法等の実施方法の改訂等を検討する。 報告の予定時期：安全性定期報告書提出時
患者向け資材（ファビハルタを服用される発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）の患者さんへ，ファビハルタを服用される C3 腎症の患者さんへ，ファビハルタを服用される IgA 腎症の患者さんへ，ファビハルタ患者安全性カード）の作成，提供
【安全性検討事項】 重要な特定されたリスク：肺炎球菌感染症 重要な潜在的リスク：髄膜炎菌感染症，感染症（肺炎球菌感染症，髄膜炎菌感染症以外），発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止後の重篤な溶血 【目的】 患者に対し，当該リスクに関する情報を提供し，適正使用に関する理解を促し，安全性の確保を図るため。

	【具体的な方法】 • 本剤の納入時及び本資材の改訂時に MR が医療従事者に提供，説明し，資材の活用を依頼する。処方医師は，患者又はその家族に本剤の有効性及び安全性について，本資材等を用いて十分に説明する。 • 企業ホームページに掲載する。 【節目となる予定の時期，実施した結果に基づき採択される可能性がある更なる措置】 安全性定期報告時に，副作用の発現状況と販売量の推移を確認する。本結果から，リスク最小化策の更なる強化が必要と判断される場合，新たな安全性検討事項が認められた場合，また電子添文が改訂された場合には，資材の改訂，追加の資材作成，提供方法等の実施方法の改訂等を検討する。 報告の予定時期：安全性定期報告書提出時
市販直後調査による情報提供（IgA 腎症）	
	実施期間：承認から 6 ヵ月間 評価，報告の予定時期：調査終了から 2 ヵ月以内

5　医薬品安全性監視計画，有効性に関する調査・試験の計画及びリスク最小化計画の一覧

5.1　医薬品安全性監視計画の一覧

通常の医薬品安全性監視活動				
自発報告，文献・学会情報，外国措置報告，臨床試験及び製造販売後調査より報告される有害事象症例等の収集・確認・分析に基づく安全対策の検討（及び実施）				
追加の医薬品安全性監視活動				
追加の医薬品安全性監視活動の名称	節目となる症例数／目標症例数	節目となる予定の時期	実施状況	報告書の作成予定日
市販直後調査（発作性夜間ヘモグロビン尿症）	該当せず	販売開始から6ヵ月後	終了	作成済（2025年3月提出）
特定使用成績調査（CLNP023C11401調査）（発作性夜間ヘモグロビン尿症）	100名	安全性定期報告時 最終報告書作成時	実施中	最終報告書作成時（2027年6月予定）
市販直後調査（C3腎症）	該当せず	承認から6ヵ月後	終了	作成済（2026年1月提出）
特定使用成績調査（CLNP023B11401調査）（C3腎症）	27名	安全性定期報告時 最終報告書作成時	実施中	最終報告書作成時（2027年10月予定）
市販直後調査（IgA腎症）	該当せず	承認から6ヵ月後	実施中	調査終了から2ヵ月以内

5.2　有効性に関する調査・試験の計画の一覧

該当なし

5.3 リスク最小化計画の一覧

通常のリスク最小化活動		
電子添文及び患者向医薬品ガイドによる情報提供。		
追加のリスク最小化活動		
追加のリスク最小化活動の名称	節目となる予定の時期	実施状況
市販直後調査による情報提供（発作性夜間ヘモグロビン尿症）	実施期間：販売開始から 6 ヵ月後 評価の予定時期：調査終了から 2 ヵ月以内に報告の予定	終了
医療従事者向け資材（適正使用ガイド（発作性夜間ヘモグロビン尿症，C3 腎症/IgA 腎症））の作成，提供	安全性定期報告書提出時 電子添文改訂時	実施中
患者向け資材（ファビハルタを服用される発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）の患者さんへ，ファビハルタを服用される C3 腎症の患者さんへ，ファビハルタを服用される IgA 腎症の患者さんへ，ファビハルタ患者安全性カード）の作成，提供	安全性定期報告書提出時 電子添文改訂時	実施中
市販直後調査による情報提供（C3 腎症）	実施期間：承認から 6 ヵ月後 評価の予定時期：調査終了から 2 ヵ月以内に報告の予定	終了
市販直後調査による情報提供（IgA 腎症）	実施期間：承認から 6 ヵ月後 評価の予定時期：調査終了から 2 ヵ月以内に報告の予定	実施中