



エムパベリ[®]による治療を始める
.....
発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) の
.....
患者さんとそのご家族の方へ

目次

1	エムパベリによる治療を始める前に	2
2	発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) とは	3
3	エムパベリとは	4
4	重篤な感染症のリスクについて	5
5	ワクチン接種について	7
6	「エムパベリ®患者安全性カード」の使い方について	8
7	エムパベリの中止／中断後の溶血のリスクについて	9
8	エムパベリ投与開始前の注意点について	10
9	エムパベリ投与中の注意点について	11
10	エムパベリの投与方法について	12
11	「エムパベリ®スターターキット」について	16
12	Q&A	17
13	患者団体	18



1 エムパベリによる治療を始める前に

- エムパベリは、すでに補体 (C5) 阻害剤 (エクリズマブ又はラプリズマブ) による適切な治療を受けているにも関わらず、効果が不十分であった発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) 患者さんに投与される注射のお薬です。
- エムパベリによる治療を開始するにあたっては、以下のステップが必要となります。
- エムパベリは、主治医により適用が妥当と判断された場合には、在宅自己投与も可能です。

Step
1

エムパベリによる治療が可能か否かについての
主治医による説明 (☞p. 10)



Step
2

エムパベリの有効性及び安全性 (副作用) に関する説明
(☞p. 4~6、9~11)



Step
3

「患者同意書」への署名



Step
4

「髄膜炎菌ワクチン」、「肺炎球菌ワクチン」、
「インフルエンザ菌b型ワクチン」の接種 (☞p. 7)



Step
5

「エムパベリ[®]患者安全性カード」への記入 (☞p. 8)



Step
6

エムパベリによる治療開始 (☞p. 12~15)



Step
7

エムパベリの在宅自己投与の検討と
「エムパベリ[®]スターターキット」の説明 (☞p. 15、16)



2 発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) とは

- 発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) は、血液を作る造血幹細胞に異常が生じることで、身体を守る免疫機能の1つである補体によって赤血球が攻撃、破壊される病気です。
- 赤血球が破壊されることを溶血と呼び、その結果として疲労感や貧血などの症状があらわれます。



疲労感



貧血

(脈が速いや息切れ、めまいなどの症状)

など

- 溶血には2つの種類があり、血管の中で溶血するものを「血管内溶血」、肝臓や脾臓など、血管の外で溶血するものを「血管外溶血」と呼びます。

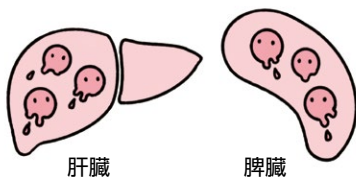
血管内溶血



血管

赤血球

血管外溶血



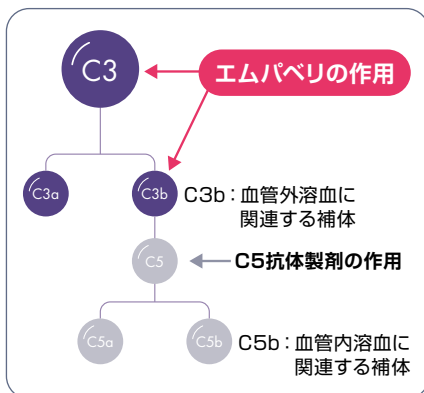
肝臓

脾臓

3 エムパベリとは

- エムパベリは、すでに補体(C5)阻害剤(エクリズマブ又はラブリズマブ)による適切な治療を受けているにも関わらず、効果が不十分であったPNH患者さんに投与される注射のお薬です。
- エムパベリは免疫機能を担う補体C3及びC3bを阻害することで、補体による赤血球への攻撃を抑制し、血管内溶血とともに血管外溶血(※p.3)も防ぐことが期待されています。

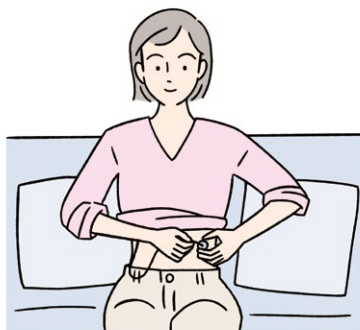
■ 補体系とエムパベリの作用



- エムパベリは注射のお薬であり、投与開始時は必ず医療施設において、PNHに十分な知識・経験を持つ医師が投与を行うか、医師の直接の監督のもとで投与を行います。
- エムパベリの投与開始後、主治医により適用が妥当と判断された場合は、在宅自己投与も可能です。



エムパベリ投与開始時は、必ず医療施設での投与



患者さんによっては、在宅自己投与も可能

4 重篤な感染症のリスクについて

- エムパベリの投与により、髄膜炎や敗血症などの重篤あるいは致死的な感染症の発症リスクが高まる可能性があります。
- たとえワクチンを接種していたとしても、重篤な感染症は早期発見、早期治療が行われない場合、急激に重症化し死に至ることもあります。
- 重篤な感染症に関連する症状や初期徴候には以下のようなものがあります。
- あてはまる症状がみられた場合は、たとえ軽度であっても直ちに主治医に連絡し、緊急の治療を受けてください。**
- 主治医と連絡がつかない場合は、直ちに救急車を呼び、救急室のスタッフに「エムパベリ®患者安全性カード」(p.8)を提示してください。**

重篤な感染症が疑われる際の主な徴候及び症状



発熱



寒気



頭痛



吐き気や嘔吐



発疹



筋肉の痛み
(インフルエンザのときのような)



エムパベリの投与中及び投与終了後数週間は、重篤な感染症を発症するリスクがあります。



皮下出血
(青あざ・点状出血)



息切れ



脈が速い



冷や汗



首筋や
背中のかばり



光に対する
過敏な感覚



錯乱
(考えがまとまらない、感情が混乱する)



激しい痛みや
不快感 など

この他にも、エムパペリの使用中に気になる症状があらわれた場合は、
主治医や薬剤師、看護師にご相談ください。



5 ワクチン接種について

- エムパペリは、免疫系の一部を阻害するため、髄膜炎菌、肺炎球菌、インフルエンザ菌b型などによる重篤な感染症にかかる可能性が高まります。
- 重篤な感染症のリスクを低下させるためには、エムパペリを初めて使用する2週間前までに、以下の3種のワクチン接種が必要です。



- エムパペリによる治療が直ちに必要と判断された場合は、できるだけ早くワクチン接種を受けてください。
- ワクチン接種を受けておらず、エムパペリによる治療を直ちに開始する必要がある場合は、ワクチン接種と同時に、主治医の判断によって、2週間、抗生物質を投与する必要があります。
- 過去にワクチンを接種している場合でも、主治医の判断によって、エムパペリの使用を開始する前にワクチン接種が必要となる場合があります。
- ワクチン接種は重篤な感染症にかかるリスクを減らすことができますが、完全に感染症にかからなくなるわけではありません。
- ワクチンの効果の持続期間は、髄膜炎菌ワクチン、肺炎球菌ワクチンともに5年であるため、これらのワクチンは5年毎を目安に追加接種を受けてください。

6 「エムパベリ®患者安全性カード」の使い方について



「エムパベリ®患者安全性カード」は、エムパベリの投与中及び投与終了後2ヵ月間は常に携帯してください。

- 「エムパベリ®患者安全性カード」は、患者さんがエムパベリによる治療を受けていることを知らせるカードです（三つ折りカードサイズ）。
- カードに患者さん氏名、主治医氏名、病院名、主治医電話番号、緊急時受診可能医療機関などの必要事項を記入してください。
- カードに記載されたいずれかの症状がある場合、緊急時に受診可能な医療機関にご連絡ください。
- 主治医と連絡がつかない場合は、直ちに救急車を呼び、救急室のスタッフに本カードを提示してください。
- PNHの診察、PNH以外の診察のいずれの場合でも、医療機関を受診される場合には、受診先及び薬剤部/調剤薬局の医療関係者（医師、看護師、薬剤師など）に本カードを必ず提示してください。

■エムパベリ®患者安全性カード

RMP

エムパベリ®患者安全性カード

エムパベリ®で治療中の発作性夜間へモグロビン尿症患者さんはこのカードを常に携帯してください。
また、医療機関受診の際には、治療に携わる医療従事者全員にこのカードを提示してください。

【秘密保持及びデータ保護について】あなたが提供するすべての情報は、弊社のデータプライバシー方針に従って管理され、提供される目的を遵守して管理いたします。弊社の個人データの保護方針についての詳細は、<https://www.sobi.com/en/privacy>をご参照ください。これに同意しない場合は、ウェブページに掲載されている連絡先までご連絡をお願いいたします。

Swedish Orphan Biovitrum Japan株式会社
旭化成ファーマ株式会社

【2023年6月作成】
GAEM-202300006001
PEG30-003-2306

主治医電話番号

緊急時受診可能医療機関

患者コード
(エムパベリ®交付番号)

※エムパベリ®を受け取るときに、薬剤師さんに提示してください。

「緊急時受診可能医療機関」をあらかじめ主治医と相談してください。



7 エムパベリの中止／中断後の 溶血のリスクについて

- エムパベリの中止／中断に際しては、主治医との十分な話し合いがとても重要です。
- エムパベリによる治療に伴うリスクだけでなく、エムパベリを中止／中断した場合にも異なったリスクが生じる可能性があります。
- **中止／中断後は溶血のリスクがあるため、以下のような徴候や症状がみられた場合には、直ちに主治医に連絡し、緊急の治療を受けてください。**

溶血が疑われる際の主な徴候及び症状

- 息切れや息苦しさ(ヘモグロビン値の低下)
- 疲労感
- 尿が赤い、あるいは褐色(コーラ色)
- お腹が痛い
- 足が急に腫れる、心臓発作、脳卒中など
- 食べ物が飲み込みにくい
- 勃起不全

など



この他にも、エムパベリの使用中に気になる症状があらわれた場合は、
主治医や薬剤師、看護師にご相談ください。

8 エムパベリ投与開始前の注意点について

● 投与対象の確認



- エムパベリは、すでに補体 (C5) 阻害剤 (エクリズマブ又はラブリズマブ) による適切な治療を受けているにも関わらず、効果が不十分であったPNH患者さんが投与対象となります。
- 以下のような患者さんはエムパベリによる治療を受けられなかったり、治療を慎重に行う必要がありますので、主治医にご相談ください。

以下のような患者さんはエムパベリによる治療を受けられません。

- 髄膜炎菌、肺炎球菌、インフルエンザ菌b型などの莢膜形成細菌による重篤な感染症が回復していない患者さん
- エムパベリに対して過敏症を起こしたことがある患者さん

以下のような患者さんはエムパベリによる治療を慎重に行う必要があります。

- 髄膜炎菌感染症の既往のある患者さん
- 感染症又は感染症が疑われる患者さん
- 妊婦又は妊娠している可能性のある患者さん

※妊娠可能な女性の患者さんは、以下の注意が必要です。

エムパベリ投与中及び最終投与後少なくとも8週間は、適切な避妊をしてください。

● ワクチン接種の確認



- エムパベリは、免疫系の一部を阻害するため、髄膜炎菌、肺炎球菌、インフルエンザ菌b型などによる重篤な感染症にかかる可能性が高まります。
- 重篤な感染症のリスクを低下させるためには、エムパベリを初めて使用する2週間前までに、髄膜炎菌ワクチン、肺炎球菌ワクチン、インフルエンザ菌b型ワクチンの接種が必要です(☞p. 7)。

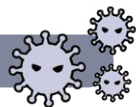


ワクチン接種は重篤な感染症にかかるリスクを減らすことができますが、完全に感染症にかからなくなるわけではありません。

投与対象やワクチン接種に関して、疑問や不明点がございましたら、主治医や薬剤師、看護師にご相談ください。

9 エムパベリ投与中の注意点について

● 感染症



- エムパベリの投与により、髄膜炎や敗血症などの重篤あるいは致死的な感染症の発症リスクが高まる可能性があります。
- 重篤な感染症に関連する症状や初期徴候には以下のようなものがあります。
- **あてはまる症状がみられた場合は、たとえ軽度であっても直ちに主治医に連絡し、緊急の治療を受けてください。**
- **主治医と連絡がつかない場合は、直ちに救急車を呼び、救急室のスタッフに「エムパベリ®患者安全性カード」(☞p.8)を提示してください。**

- | | | |
|-----------------------------|----------------------|---------------------------------|
| ● 発熱 | ● 皮下出血
(青あざ・点状出血) | ● 光に対する過敏な感覚 |
| ● 寒気 | ● 息切れ | ● 錯乱
(考えがまとまらない、
感情が混乱する) |
| ● 頭痛 | ● 脈が速い | ● 激しい痛みや不快感 |
| ● 吐き気や嘔吐 | ● 冷や汗 | |
| ● 発疹 | ● 首筋や背中のかぼり | |
| ● 筋肉の痛み
(インフルエンザのときのような) | | など |

● アレルギー反応



- エムパベリの投与により、アレルギー反応がみられる場合があります。
- アレルギー反応に関連する症状や初期徴候には以下のようなものがあります。
- **あてはまる症状がみられた場合は、たとえ軽度であっても直ちに主治医に連絡し、緊急の治療を受けてください。**
- **主治医と連絡がつかない場合は、直ちに救急車を呼び、救急室のスタッフに「エムパベリ®患者安全性カード」(☞p.8)を提示してください。**

- | | | |
|----------------|----------------|------------|
| ● 胸の痛み、胸のしめつけ感 | ● 皮膚の激しいかゆみ、腫れ | ● めまい、意識消失 |
| ● 息切れや息苦しさ | ● 顔や舌、のどの腫れ | など |

● その他



- 妊娠又は妊娠している可能性、あるいは授乳する可能性のある場合には、直ちに主治医に連絡してください。
- PNHの診察、PNH以外の診察のいずれの場合でも、医療機関を受診される場合には、受診先及び薬剤部/調剤薬局の医療関係者(医師、看護師、薬剤師など)に「エムパベリ®患者安全性カード」(☞p.8)を必ず提示してください。

この他にも、エムパベリの使用中に気になる症状があらわれた場合は、主治医や薬剤師、看護師にご相談ください。

10 エムパベリの投与方法について

● 投与方法



- エムパベリは、通常、週に2回、皮下に投与する治療薬です。
- 投与開始時は必ず医療施設において、PNHIに十分な知識・経験を持つ医師が投与を行うか、医師の直接の監督のもとで投与を行います。
- 医師が自己投与が可能と判断した場合は、自宅での投与も可能となります。
- エムパベリの投与方法の詳細に関しては、「エムパベリ®自己投与マニュアル」(p. 15)に記載されておりますので、そちらをご参照ください。

● 保存方法



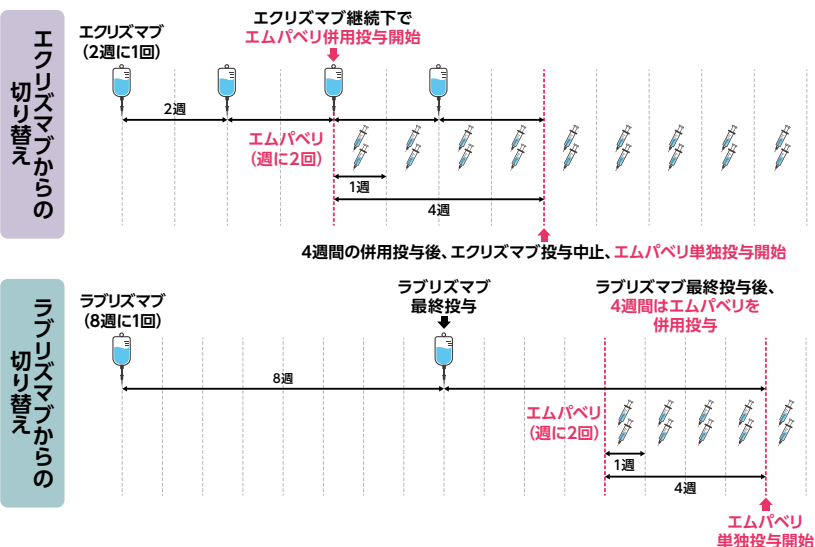
- 冷蔵庫内(2~8℃)で保存し、使用期限を超えない範囲で使用してください。

● C5抗体製剤からエムパベリへの切り替え方法



- 補体(C5)阻害剤(エクリズマブ又はラプリズマブ)からエムパベリに切り替える場合は、補体(C5)阻害剤中止による溶血を抑えるため、エムパベリ投与開始後4週間は補体(C5)阻害剤を併用します。
- 4週間の併用投与後に補体(C5)阻害剤の投与を中止し、エムパベリの単独投与を開始します。

■ C5抗体製剤からエムパベリへの切り替え方法(例)



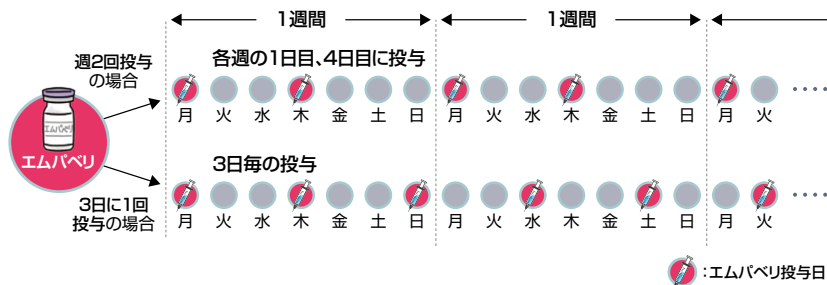
10 エムパベリの投与方法について

● 投与間隔



- エムパベリの投与間隔については、週2回の投与では各週の1日目、4日目の投与です。
- 臨床試験では、乳酸脱水素酵素 (LDH) 値が基準値上限の2倍超の場合、1080mgを3日に1回の間隔 (1日目、4日目、7日目、10日目、13日目など) での投与に増量可能としていました。

■ エムパベリの投与スケジュール (月曜日から投与開始する場合の例)



エムパベリ®治療記録冊子

「エムパベリ®治療記録冊子」を

ご用意しておりますので、

投与日毎に

必要事項を記入して

ください。



【エムパベリ増量後の注意点】

エムパベリ増量後、溶血及びそれに付随する臨床症状の変化などの観察が行われます。

● 投与時間

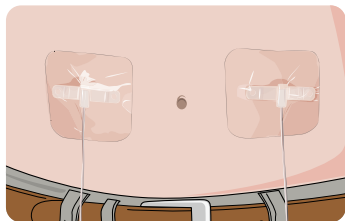


- 標準的な投与時間は約15～30分(投与部位が2ヵ所の場合)又は約30～60分(投与部位が1ヵ所の場合)です。

投与部位が2ヵ所の場合

約15～30分

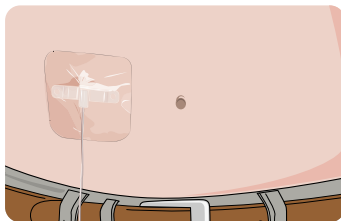
(標準的な投与時間)



投与部位が1ヵ所の場合

約30～60分

(標準的な投与時間)



● 投与を忘れた場合の対処方法



- 投与を忘れた場合、できるだけ早くエムパペリを投与します(2日連続投与までは可能ですが、1日に2回分を投与してはいけません)。
- 投与を忘れた分の投与後は、通常のスケジュールで投与を再開します。



10 エムパベリの投与方法について

● 在宅自己投与の適用



- エムパベリは注射のお薬であり、投与開始時は必ず医療施設において、PNHに十分な知識・経験を持つ医師が投与を行うか、医師の直接の監督のもとで投与を行います。
- エムパベリの投与開始後、主治医により適用が妥当と判断された場合は、在宅自己投与も可能です。

■ 在宅自己投与の適用の目安

- 主治医が在宅自己投与が可能か否かを慎重に検討した上で、十分な教育訓練の実施、エムパベリ投与による危険性と対処法について理解し、確実に投与できると判断される。
- 投与方法及び製剤と医療機器の安全な廃棄方法が理解できている。
- エムパベリ投与後に感染症の徴候や症状などの副作用の発現が疑われる場合は、直ちに医療機関へ連絡できる。

● エムパベリ[®]自己投与マニュアル



- 「エムパベリ[®]自己投与マニュアル」には、エムパベリの使用手順が説明されています。
- 主治医による自己投与の説明と本冊子を確認の上、確実に自己投与ができるように練習をお願いいたします。



11 「エムパベリ[®]スターターキット」について

- 「エムパベリ[®]スターターキット」には、エムパベリの自己投与に必要なものがまとめられています。
- 主治医による自己投与の説明時に本キットの内容を確認し、それぞれどのように使用するのか、主治医より説明を受けてください。

■エムパベリ[®]スターターキット



12 Q&A



Q1 「エムパベリ®患者安全性カード」はいつ必要になりますか？

- A1** ・PNH治療中の医療機関、それ以外で医療機関を受診する場合のいずれも、常に携帯し、医療スタッフ(医師、看護師、受付スタッフ、救命救急士など)に提示してください。エムパベリを処方してもらう場合も薬局に提示する必要があります。

Q2 エムパベリによる治療中に旅行や出張は可能ですか？

- A2** ・エムパベリによる治療中も、旅行や出張などの長期間の外出は可能です。
・ただし、エムパベリは、決められたスケジュールで自己投与する必要があるため、外出期間中の投与回数を確認し、「エムパベリ®患者安全性カード」も忘れずに携帯してください。
・旅行や出張などで長期間外出する予定がある場合には、事前に主治医に相談するのが良いでしょう。

Q3 エムパベリを持ち運ぶ際の注意点は？

- A3** ・エムパベリは2~8℃で保存する必要があるお薬です。
・持ち運びの際は、エムパベリを保冷剤を入れた保冷バッグに入れて運んでください(適宜、保冷剤を入れ替えて、2~8℃を維持してください)。
・旅行や出張等では、滞在先に冷蔵庫がある場合、冷蔵庫でエムパベリを保存してください(部屋を離れた際に冷蔵庫の電源が切れないよう注意してください)。また、冷凍庫でないことを必ず確認してください。
・エムパベリは外箱に入れたまま保存し、光に当たったり、衝撃が加わって破損したりしないように注意してください。

Q4 エムパベリを投与し忘れた場合の対処方法は？

- A4** ・投与を忘れた場合、できるだけ早くエムパベリを投与します(2日連続投与までは可能ですが、1日に2回分を投与してはいけません)。
・投与を忘れた分の投与後は、通常のスケジュールで投与を再開します。

Q5 エムパベリによる治療中に妊娠又は妊娠した可能性がある場合は？

- A5** ・妊娠又は妊娠している可能性、あるいは授乳する可能性のある場合には、直ちに主治医に連絡してください。

Q6 エムパベリの在宅自己投与を行うには？

- A6** ・エムパベリ投与開始時は必ず医療施設において、PNHに十分な知識・経験を持つ医師が投与を行うか、医師の直接の監督のもとで投与を行います。
・エムパベリの投与開始後、主治医により適用が妥当と判断された場合には、在宅自己投与が可能となります。

エムパベリやPNHに関して、疑問や不明点がございましたら、
主治医や薬剤師、看護師にご相談ください。

13 患者団体

- 患者団体には、同じ病気を持つ患者さんやそのご家族がいらっしゃることから、情報交換を行ったり、悩みごとを相談したりすることで、病気についての理解が深まったり、心の支えが得られたりするかもしれません。
- PNHにおいても患者団体があり、主なものとして「PNH倶楽部」、「再生つばさの会」があります。

●PNH倶楽部 <https://www.pnhclub.jp/>

PNH倶楽部は、発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH) や自己免疫性溶血性貧血 (AIHA) の患者さんとそのご家族を総合的に支援し、患者さんたちのQOLの向上、社会復帰、闘病に伴う負担軽減等に寄与することを目的として活動している患者団体です。

●再生つばさの会 <http://www.iplus.jp/~tsubasa/> (再生不良性貧血及び関連する疾患の患者と家族の会)

再生つばさの会は、血液の病気である再生不良性貧血 (AA) 及び関連する疾患 [骨髄異形成症候群 (MDS)、発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH)、ファンコニー貧血 (FA)、ダイヤモンドブラックファン貧血 (DBA)、先天性角化不全症 (DC)、シュワックマン・ダイヤモンド症候群 (SDS)] と診断された患者さんとそのご家族によって構成され、病気の苦しみと不安をなくすために、会員同士が互いに連絡し合い、励まし助け合い、病気に対する認識の向上と治療方法の情報交換を行っていくことを目的として活動している患者団体です。



個人情報について

提供されるすべての情報は、Sobiのデータプライバシーポリシーに従って、また提供された目的に従って管理されます。Sobiでの個人データの保護方法に関するすべての情報については、<https://www.sobi.com/en/policies>にある当社のポリシーを参照してください。これらの情報の使用に同意しない場合は、Webページに記載されている連絡先までご連絡ください。

旭化成ファーマ株式会社

Swedish Orphan Biovitrum Japan株式会社

【2023年7月作成】
GAEM-202300007002
PEG30-002-2307