

サルグマリン吸入用250 μ g
に係る医薬品リスク管理計画書

ノーベルファーマ株式会社

サルグマリン吸入用 250 μ g に係る 医薬品リスク管理計画書(RMP)の概要

| | | | |
|--------|----------------------|-----------|------------------|
| 販売名 | サルグマリン吸入用250 μ g | 有効成分 | サルグラモスチム(遺伝子組換え) |
| 製造販売業者 | ノーベルファーマ株式会社 | 薬効分類 | 87229 |
| 提出年月日 | | 令和6年9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】 |
| なし | アナフィラキシー | なし |
| | 毛細血管漏出症候群 | |
| | 上室性不整脈 | |
| | 悪性腫瘍 | |
| 1.2. 有効性に関する検討事項 | | |
| 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 |
| 一般使用成績調査 |
| 市販直後調査 |
| 3. 有効性に関する調査・試験の計画の概要 |
| 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 |
| 市販直後調査による情報提供 |

各項目の内容は RMP 本文でご確認下さい。

(別紙様式 1)

医薬品リスク管理計画書

会社名：ノーベルファーマ株式会社

| 品目の概要 | | | |
|---|---|------|------------------|
| 承認年月日 | 2024年3月26日 | 薬効分類 | 87229 |
| 再審査期間 | 10年 | 承認番号 | 30600AMX00117000 |
| 国際誕生日 | 1991年3月5日 | | |
| 販売名 | サルグマリン吸入用250 μ g | | |
| 有効成分 | サルグラモスチム（遺伝子組換え） | | |
| 含量及び剤形 | 1バイアル中にサルグラモスチム（遺伝子組換え）264 μ gを含有する凍結乾燥吸入剤 | | |
| 用法及び用量 | 通常、成人にはサルグラモスチム（遺伝子組換え）として125 μ gを1日2回、ネブライザーを用いて7日間連日吸入投与し、7日間休薬する。これを1クールとし、投与を繰り返す。 | | |
| 効能又は効果 | 自己免疫性肺胞蛋白症 | | |
| 承認条件 | <ul style="list-style-type: none">・ 医薬品リスク管理計画を策定の上、適切に実施すること。・ 製造販売後、一定数の症例に係るデータが蓄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。 | | |
| 備考 | | | |
| 変更の履歴 | | | |
| 前回提出日： 2024年6月12日 | | | |
| 変更内容の概要： 「5.1 医薬品安全性監視計画の一覧」及び「5.3 リスク最小化計画の一覧」の実施状況を更新（軽微な変更） | | | |
| 変更理由： サルグマリン吸入用250 μ gの販売開始に伴い、追加の医薬品安全性監視計画及びリスク最小化計画の実施状況を更新したため | | | |

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 | |
|-------------|---|
| なし | |
| 重要な潜在的リスク | |
| アナフィラキシー | |
| | <p>重要な潜在的リスクとした理由： 本剤の国内臨床試験で報告されていないが、海外においてサルグラモスチム（遺伝子組換え）を皮下又は静脈内投与した症例でアナフィラキシーがあらわれたとの報告があるため、重要な潜在的リスクとして設定した。</p> |
| | <p>医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由：</p> <p>【内容】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 通常の医薬品安全性監視活動を実施する。 ・ 追加の医薬品安全性監視活動として、一般使用成績調査を実施する。 <p>【選択理由】</p> <p>臨床試験での使用経験が限定的であることから使用実態下における副作用の発現状況を把握し、必要に応じて追加のリスク最小化活動を検討するため。</p> |
| | <p>リスク最小化活動の内容及びその選択理由：</p> <p>【内容】</p> <p>通常のリスク最小化活動として、電子添文の「その他の注意」の項に記載して注意喚起する。</p> <p>【選択理由】</p> <p>本剤の製造販売後においてアナフィラキシーの発現を注意喚起するため。</p> |
| 毛細血管漏出症候群 | |
| | <p>重要な潜在的リスクとした理由： 本剤の国内臨床試験で報告されていないが、海外においてサルグラモスチム（遺伝子組換え）を皮下又は静脈内投与した症例で毛細血管漏出症候群があらわれたとの報告があるため、重要な潜在的リスクとして設定した。</p> |
| | <p>医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由：</p> <p>【内容】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 通常の医薬品安全性監視活動を実施する。 ・ 追加の医薬品安全性監視活動として、一般使用成績調査を実施する。 <p>【選択理由】</p> <p>臨床試験での使用経験が限定的であることから使用実態下における副作用の発現状況を把握し、必要に応じて追加のリスク最小化活動を検討するため。</p> |
| | <p>リスク最小化活動の内容及びその選択理由：</p> <p>【内容】</p> <p>なし</p> <p>【選択理由】</p> <p>毛細血管漏出症候群と本剤との関連は明確でないことから、現時点では電子添文における注意喚起は不要であると考え。また、医薬品安全性監視活動による集積情報により、必要があればリスク最小化活動の見直しを行う。</p> |

| | |
|----------------|---|
| 上室性不整脈 | |
| | <p>重要な潜在的リスクとした理由： 本剤の国内臨床試験で報告されていないが、海外においてサルグラモスチム（遺伝子組換え）を皮下又は静脈内投与した症例で上室性不整脈があらわれたとの報告があるため、重要な潜在的リスクとして設定した。</p> |
| | <p>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を実施する。 ・追加の医薬品安全性監視活動として、一般使用成績調査を実施する。 【選択理由】 臨床試験での使用経験が限定的であることから使用実態下における副作用の発現状況を把握し、必要に応じて追加のリスク最小化活動を検討するため。</p> |
| | <p>リスク最小化活動の内容及びその選択理由： 【内容】 なし 【選択理由】 上室性不整脈と本剤との関連は明確でないことから、現時点では電子添文における注意喚起は不要であると考え。また、医薬品安全性監視活動による集積情報により、必要があればリスク最小化活動の見直しを行う。</p> |
| 悪性腫瘍 | |
| | <p>重要な潜在的リスクとした理由： サルグラモスチムは正常な骨髄性前駆細胞を刺激する成長因子であるが、腫瘍細胞の成長因子の役割を果たすおそれがあることから、重要な潜在的リスクとして設定した。</p> |
| | <p>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を実施する。 ・追加の医薬品安全性監視活動として、一般使用成績調査を実施する。 【選択理由】 臨床試験での使用経験が限定的であることから使用実態下における副作用の発現状況を把握し、必要に応じて追加のリスク最小化活動を検討するため。</p> |
| | <p>リスク最小化活動の内容及びその選択理由： 【内容】 なし 【選択理由】 悪性腫瘍と本剤との関連は明確でないことから、現時点では電子添文における注意喚起は不要であると考え。また、医薬品安全性監視活動による集積情報により、必要があればリスク最小化活動の見直しを行う。</p> |
| 重要な不足情報 | |
| なし | |

1. 2 有効性に関する検討事項

| |
|----|
| 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・学会情報及び外国措置報告等の収集・確認・分析に基づく安全対策の検討（及び実行） | |
| 追加 の医薬品安全性監視活動 | |
| 一般使用成績調査 | |
| | <p>【安全性検討事項】 アナフィラキシー、毛細血管漏出症候群、上室性不整脈、悪性腫瘍</p> <p>【目的】 使用実態下における安全性及び有効性を検討する。</p> <p>【実施計画】 調査期間：販売開始日から7年間 登録期間：販売開始日から4年間 調査を予定する症例数：170症例（安全性解析対象症例） 実施方法：中央登録全例調査方式 観察期間：96週間</p> <p>【実施計画の根拠】 調査予定症例数：自己免疫性肺胞蛋白症は希少疾病であり、本邦での患者数は800人程度、本剤の投与対象患者数は170人程度と推定される。登録期間を、4年間とすることで本剤の投与対象患者を概ね登録できる。 観察期間：本剤の投与継続の可否判断の目安である12クール（=24週間）（1クールは7日間連続吸入投与、7日間休薬の2週間）を基本とし、長期間の情報を収集するためにその4倍の96週間として設定した。</p> <p>【節目となる予定の時期及びその根拠】</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 安全性定期報告時：安全性についての包括的検討を定期的に行うため。 2. 最終報告書作成時：調査対象全症例の集計が終了した段階で検討し、報告書を作成する。 <p>【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書の見直しを検討する。</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 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。 2. 新たな安全性検討事項に対するリスク最小化計画の策定要否を検討する。 |
| 市販直後調査 | |
| | 実施期間：販売開始から6ヵ月間 評価、報告の予定時期：調査終了から2ヵ月以内 |

3. 有効性に関する調査・試験の計画の概要

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： ・電子添文による情報提供 ・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 | |
| 市販直後調査による情報提供 | |
| | 実施期間：販売開始から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・学会情報及び外国措置報告等の収集・確認・分析に基づく安全対策の検討（及び実行） | | | | |
| 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 |
| 一般使用成績調査 | 170例／170例 | ・安全性定期報告時 ・最終報告書作成時 | 実施中 | 調査終了時 |
| 市販直後調査 | 該当なし | 販売開始から 6ヵ月後 | 実施中 | 販売開始から 8ヵ月以内 |

5. 2 有効性に関する調査・試験の計画の一覧

| 有効性に関する 調査・試験の名称 | 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 |
|---------------------|--------------------|----------------|------|---------------|
| 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 | | |
|---|------------|------|
| <ul style="list-style-type: none"> ・電子添文による情報提供 ・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 | 販売開始から6ヵ月後 | 実施中 |