

医薬品リスク管理計画
(RMP)

本資料はRMPの一環として
位置付けられた資料です

パリンジック®皮下注2.5mg/10mg/20mgで
治療される患者さんとお家族の方へ

パリンジック®とは



● 総監修 ●

新宅 治夫 先生 大阪公立大学大学院医学研究科 名誉教授
大阪公立大学大学院医学研究科障がい医学・再生医学寄付講座 特任教授

● 監 修 ● (五十音順)

石毛 美夏 先生 日本大学医学部小児科学系小児科学分野 准教授

伊藤 哲哉 先生 藤田医科大学医学部小児科 教授

濱崎 考史 先生 大阪公立大学大学院医学研究科発達小児医学 教授

フェニルケトン尿症とは？

フェニルケトン尿症とは？

わたしたちの体をつくるタンパク質は、20種類のアミノ酸から合成されています。そのうち体内で作り出すことができない9種類のアミノ酸のことを「必須アミノ酸」といいます。「フェニルケトン尿症」は、必須アミノ酸の1つである「フェニルアラニン(Phe)」の代謝・分解が十分に行われないため、Pheが体内に蓄積され、血中Phe濃度が高くなってしまう疾患です。日本では難病に指定されています。

必須アミノ酸(体内でつくることができないアミノ酸)

イソロイシン、ロイシン、リジン、メチオニン、フェニルアラニン、トレオニン(スレオニン)、トリプトファン、バリン、ヒスチジン

非必須アミノ酸(体内でつくることができるアミノ酸)

チロシン、システイン、アスパラギン酸、アスパラギン、セリン、グルタミン酸、グルタミン、プロリン、グリシン、アラニン、アルギニン

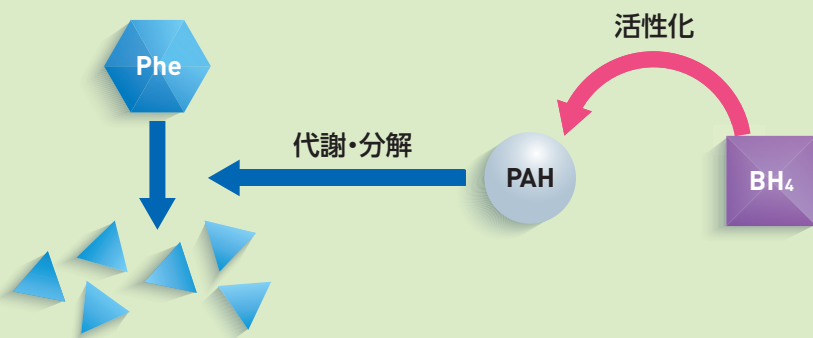
フェニルケトン尿症の原因

体内において、Pheは「フェニルアラニン すいさん か こう そ ビーエーエイチ Phe水酸化酵素(PAH)」によって代謝・分解されます。フェニルケトン尿症では、遺伝子の変異によりPAHの働きが落ちて、Pheが代謝・分解されにくくなっています。そのため、フェニルケトン尿症は、「ビーエーエイチ けっ そん しょう PAH欠損症」と呼ばれることもあります。

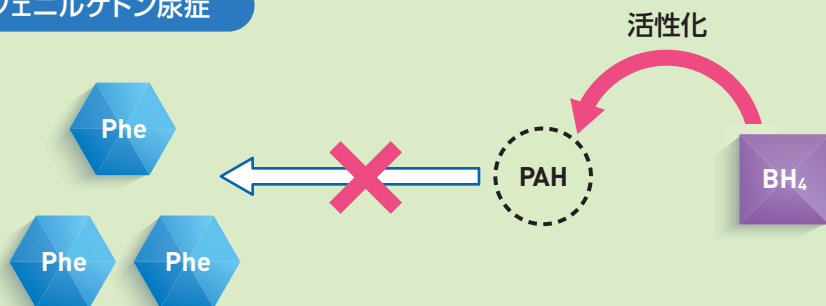
ビーエーフォー けっ そん しょう BH₄欠損症

「フェニルケトン尿症」とは異なる原因で血中Phe濃度が高くなる疾患として、「テトラヒドロビオプテリン(BH₄)欠損症」が知られています。BH₄はPAHを活性化させる酵素ですが、「BH₄欠損症」ではBH₄の働きが低下して、PAHを活性化できなくなってしまうです。

正常なPheの代謝・分解



フェニルケトン尿症



フェニルケトン尿症の症状

血液中のPhe濃度が異常に上昇すると、脳に悪影響を及ぼします。成人患者さんでも十分に治療できていないと、以下のような精神症状を起こすことがあります。患者さんの生活に重大な影響を与える可能性があるため、生涯にわたって治療を行い、血中Phe濃度を適切にコントロールすることが重要です。

うつ

不安

集中
困難

もの
忘れ

フェニルケトン尿症の 治療法

食事療法

フェニルケトン尿症の治療の原則は、食事療法です。

フェニルアラニン

Pheの摂取を制限しながら、エネルギー量や栄養素をきちんと摂取する必要があります。低タンパク食と治療用特殊ミルク(食事で不足するたんぱく質を補うためのPhe除去ミルク)が基本です。

血中Phe濃度の治療目標値

フェニルケトン尿症の治療では、血中Phe濃度を治療目標値内に保つことが重要です。

治療目標値

妊婦を含む全年齢で

2～6mg/dL(120～360μmol/L)

薬物療法

食事療法を行っても血中Phe濃度を治療目標値内に保つことができない場合は、薬物療法が選択されることがあります。

薬物療法では、PAHの代わりとなる酵素製剤(パリンジック®[ペグバリ^{ビーエーエイチ}アーゼ]皮下注)または天然型BH₄製剤を投与することで、血中Phe濃度を低下させます。

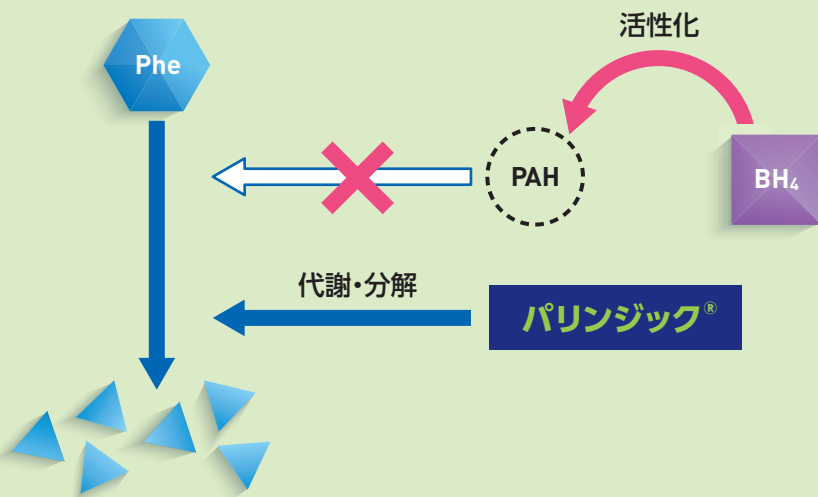
パリンジック®は、フェニルケトン尿症(PAH欠損症)に効果が認められます。天然型BH₄製剤は、BH₄欠損症および一部のPAH欠損症に効果が認められます。

パリンジック®とは？

パリンジック®の作用

「パリンジック®皮下注」は、PAHの代わりにPheを代謝・分解する酵素を補充するお薬です。フェニルケトン尿症の患者さんにパリンジック®を投与すると、パリンジック®がPAHの代わりにPheを代謝・分解するため、血中Phe濃度を低下させることができます。

パリンジック®の作用



アナフィラキシーについて

パリンジック®の投与中に、重度のアレルギー反応(アナフィラキシー)が起る可能性があります。

アナフィラキシーとは

アレルギーの原因となる物質が体内へ入ることにより、「皮膚の赤み、じんま疹」などの皮膚症状、「腹痛、吐き気」などの消化器症状、「ゼーゼーする呼吸、声のかすれ、息苦しさ」などの呼吸器症状が、複数の臓器に同時にあるいは急激に出現するアレルギー反応です。医薬品によるものは、多くの場合、投与後30分以内にアレルギー症状が出現します。特に血圧低下、顔色が悪い、意識障害をともなう場合を「アナフィラキシーショック」といい、ときに生命の危険があります。



アナフィラキシーに備え、必ず事前に医師からアドレナリン注射剤(エピペン®注射液0.15mg/0.3mg)を処方してもらい、自己注射の指導を受けてください。

パリンジック®による治療中は、常にエピペン®を携帯するようにしてください。

エピペン®注射液0.15mg/0.3mgとは

アドレナリンの自己注射剤です。アドレナリンはヒトの副腎から放出されるホルモンで、主に心臓の動きを強めたり、末梢の血管を収縮させたりして血圧を上げる作用があります。太ももの前外側の筋肉に注射します。症状を緩和し、重症化の速度を遅くするために用いられますので、エピペン®を投与したとしても、すぐに医療機関を受診してください。



以下のような症状が1つでも現れた場合は、すぐにエピペン®の自己注射を行い、救急車を呼び(119番)、最寄りの医療機関を受診してください。

消化器の症状

- 繰り返し吐き続ける
- 持続する強い(がまんできない)おなかの痛み

呼吸器の症状

- のどや胸が締め付けられる
- 犬が吠えるような咳^{せき}
- ゼーゼーする呼吸
- 声がかすれる
- 持続する強い咳込み
- 息がしにくい

全身の症状

- 唇や爪が青白い
- 脈を触れにくい・不規則
- 意識がもうろうとしている
- ぐったりしている
- 尿や便を漏らす

日本小児アレルギー学会アナフィラキシー対応ワーキンググループ：一般向けエピペン®の適応より引用
<https://www.jspaci.jp/gcontents/epipen/> (2023年3月参照)

エピペン®を使用したら、その後のパリンジック®の投与について医師に相談してください。

アナフィラキシーの発現に備え、アナフィラキシーのことを周りに伝え、緊急時の対応を相談しておきましょう。

パリンジック®の副作用

パリンジック®による治療中に、以下のような副作用が起こる可能性があります。気になる症状があった場合には、医師・看護師・薬剤師に連絡してください。

● 注射部位の症状

注射部位の赤み、かゆみ、痛み、青あざ、^{ほっしん}発疹、^は腫れ

● ^{ひ ふ}皮膚・^{ねん まくしゅうじょう}粘膜症状

かゆみ、発疹、赤み、口やのどの痛み、鼻づまり

● 呼吸器症状

^{せき}咳

● 消化器症状

吐き気、^{おうと}嘔吐、腹痛、下痢

● 関節の症状

関節痛

● その他の症状

頭痛、強い疲労感、めまい、不安、

^{フェニルアラニン}血中Phe濃度低下(血液検査を行わないとわかりません)

パリンジック®を使用中にアナフィラキシーを含む過敏症反応が発現することがあります。症状を軽減するために、注射前に抗ヒスタミン剤および必要に応じて解熱鎮痛剤などの他の薬を使用することがあるので、医師の指示に従ってください。

パリンジック®で 治療中の注意点

アドレナリン注射剤(エピペン®注射液0.15mg/0.3mg) について

- 副作用であるアナフィラキシーに備え、**パリンジック®と一緒にエピペン®を処方してもらい、常に携帯するようにしてください。**
- エピペン®を紛失した場合やエピペン®の使用期限が切れた場合は、医師に連絡して新しいエピペン®を処方してもらってください。

フェニルアラニン 血中Phe濃度の測定について

- 血中Phe濃度を適切な値に維持することが大切です。医師の指示にしたがって、定期的な血中Phe濃度測定や食事管理を行ってください。

患者さんカードについて

- 巻末の患者さんカードを常に携帯し、フェニルケトン尿症の治療を受けている施設以外の医療機関を受診した際には、カードを提示してください。

RMP	
私は、パリンジック®皮下注による治療を受けています。	
>>> 緊急連絡先 <<<	
パリンジック®の処方医の施設	かかりつけ医(処方医の施設が遠方の場合の緊急連絡先)
医療機関名	医療機関名
主治医	主治医
電話番号 ☎	電話番号 ☎
本人氏名	家族氏名 (続柄)
電話番号 ☎	電話番号 ☎

パリンジック®の投与

投与頻度と投与量

パリンジック®を使った治療では、副作用を減らすために、少しずつ注射する量を増やしていきます。注射する量や次の増量までの期間は患者さんによって異なりますので、自己注射をする場合は医師に指示された投与頻度と投与量を必ず守ってください。

医師は診察の際にあなたの血中Phe濃度を確認し、投与頻度や投与量を変更することがあります。

下の表のように「週1回2.5mg」から開始して「1日1回20mg」まで段階的に増量していくことが一般的ですが、この限りではありません。

また、効果が不十分な場合は、医師が判断して増量することがあります。自己判断で増量することはできません。

1日1回20mgまでの漸増法

用量・投与頻度	投与期間
2.5mgを週1回投与	4週間以上
2.5mgを週2回投与	1週間以上
10mgを週1回投与	1週間以上
10mgを週2回投与	1週間以上
10mgを週4回投与	1週間以上
10mgを1日1回投与	1週間以上

➡ 20mgを1日1回投与に増量

3種類の薬液量

パリンジック®のシリンジは3種類あり、それぞれ入っている薬の量が異なります。

パリンジック®皮下注
2.5mg



パリンジック®皮下注
10mg



パリンジック®皮下注
20mg



パリンジック®の自己注射

パリンジック®は、医師が判断した場合に、自己注射（各家庭において注射をすること）ができるお薬です。

パリンジック®を自己注射する場合の流れ

1



治療開始前の説明

特にアナフィラキシー（6ページ参照）が生じた場合に備えて、すぐに治療を求めることや、アドレナリン注射剤（エピペン®注射液0.15mg/0.3mg）を適切に投与する指導を受けます。ご家族も同様の指導を受けます。

2



パリンジック®の治療開始

最初は、医療機関で注射します。投与後1時間以上、注意深く観察します。医療機関以外においても**エピペン®を常に携帯するようにしてください**。患者さんカードを常に携帯してください。

3



パリンジック®の自己注射の指導

自己注射ができると医師が判断した場合に、医師から自己注射の指導を受けます。

4



パリンジック®の自己注射

エピペン®を常に携帯するようにしてください。

ご家族など、アナフィラキシー発現時にエピペン®投与や救急車を呼ぶなどの緊急のサポートができる方に、投与後少なくとも1時間は傍にいてもらってください。医師から観察するようにと指導された期間はこの観察を続け、期間終了後もできる限りご家族などと一緒に自己注射を行いましょう。

フェニルケトン尿症の 医療費について

フェニルケトン尿症における保険診療内の検査や薬物治療(特殊ミルクを含む)については、小児慢性特定疾病(18歳未満が対象。引き続き治療が必要と認められる場合には20歳未満も対象)または指定難病(年齢にかかわらず対象)の医療費助成を利用することができます。

なお、小児慢性特定疾病から指定難病への医療費助成の移行は自動的に行われるわけではないので、患者さんやご家族が申請手続きを行う必要があります。

詳しくは、「小児慢性特定疾病情報センター」および「難病情報センター」のホームページをご覧ください。

小児慢性特定疾病情報センター

<https://www.shouman.jp/>



難病情報センター

<https://www.nanbyou.or.jp/>



自己注射の方法は、ガイドブックや動画で詳しく解説しています。

ガイドブック



動画はこちらのWEBサイトから
ご覧いただけます。



患者さんカード

このカードを取り外して、緊急連絡先を記入しましょう。

パリンジック®を投与している期間は、このカードを常に携帯してください。

RMP 私、パリンジック®皮下注による治療を受けています。	
>>> 緊急連絡先 <<<	
パリンジック®の処方医の施設	かかりつけ医（処方医の施設が遠方の場合の緊急連絡先）
医療機関名	医療機関名
主治医	主治医
電話番号 ☎	電話番号 ☎
本人氏名	家族氏名（続柄）
電話番号 ☎	電話番号 ☎

[illegible]

緊急時のために、パリンジック®の処方医の施設と かかりつけ医の連絡先を控えておきましょう。

パリンジック®の処方医の施設



医療機関名：

主 治 医：

電 話 番 号：

かかりつけ医 (処方医の施設が遠方の場合の緊急連絡先)



医療機関名：

主 治 医：

電 話 番 号：

こちらのWEBサイトでは、パリンジック®で治療される患者さんと
ご家族のためにさまざまな情報を提供しています。是非ご覧ください。

<https://palynziq-patient.jp>

