タファミジスメグルミン（以下，本剤）は，米国 FoldRx 社（現 Pfizer 社）により開発されたベンゾオキサゾール誘導体であり，血漿中に 4 量体として存在するトランスサイレチン（TTR）に結合して単量体への解離を抑制することで，アミロイド線維の形成や組織内への沈着を抑制する薬剤である。本剤は，欧州連合において 2011 年 11 月に「Stage 1 の症候性ポリニューロパチーを有するトランスサイレチンアミロイドーシス成人患者における末梢神経障害の進行抑制」の適応で承認され，日本において，ビンダケルカプセル 20 mg として，2013 年 9 月に「トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチーの末梢神経障害の進行抑制」の効能・効果で医薬品製造販売承認を取得している。

トランスサイレチン型心アミロイドーシス（ATTR-CM）は，心筋へのトランスサイレチンアミロイドの沈着が特徴であり，この蓄積により心臓の拡張機能が障害され，拘束型心筋症および心不全などの進行性の機能障害をきたし，最終的には死に至る疾患である。ATTR-CM に対して現在承認されている治療薬はなく，海外では肝臓移植および心臓移植が唯一の治療方法であるが，本邦では ATTR-CM に対する肝臓移植および心臓移植が対象ではないことを考慮すると，ATTR-CM の疾患進行を抑制する有効かつ安全な治療に対するメディカルニーズは非常に高いと考えられる。

今般，主要な第 3 相試験である B3461028 試験の結果より，本剤の ATTR-CM に対する有効性，安全性および忍容性が確認できたと判断し，以下の内容にてビンダケルカプセル 20 mg の製造販売承認事項一部変更承認申請を行うこととした。

［申請品目：ビンダケルカプセル 20 mg］（下線部を追加）

効能・効果（案）：

トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチーの末梢神経障害の進行抑制

<u>トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型）</u>

用法・用量（案）：

<u>トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー</u>

通常，成人にはタファミジスメグルミンとして 1 回 20mg を 1 日 1 回経口投与する。

<u>トランスサイレチン型心アミロイドーシス</u>

<u>通常，成人にはタファミジスメグルミンとして 1 回 80mg を 1 日 1 回経口投与する。忍容性がない場合は減量できる。</u>