TABLE OF CONTENTS

LIST OF FIGURES 1
用語および略号の定義一覧 2
1. 緒言 3

LIST OF FIGURES

Figure 1. タファミジス遊離酸の化学構造式 3

用語および略号の定義一覧

用語・略号	省略していない表現または定義
ATTR-CM	transthyretin amyloid cardiomyopathy：トランスサイレチン型心アミロイドーシス
ATTR-PN	transthyretin amyloid polyneuropathy：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
TTR	transthyretin：トランスサイレチン

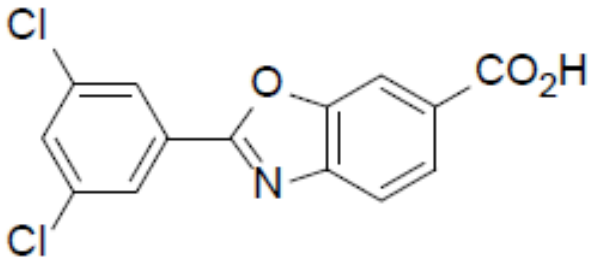
1. 緒言

タファミジス（PF-06291826-00 または Fx-1006：以下タファミジス遊離酸）［2-(3,5-dichlorophenyl)-1,3- benzoxazole-6-carboxylic acid］（Figure 1）は，トランスサイレチン（TTR）の天然構造である 4 量体に特異的に結合し，その 4 量体構造を安定化する薬剤である。

本邦においては，タファミジス遊離酸を生理活性成分とするタファミジスメグルミン（PF-06291826-83 または Fx-1006A）を 20 mg 含有するビンダケル®カプセル 20 mg が，成人の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（ATTR-PN）の末梢神経障害の進行抑制を適応症として 1 回 20 mg（タファミジスとして 12.2 mg）を 1 日 1 回経口投与の用法・用量で 2013 年 9 月に製造販売承認され，また，成人のトランスサイレチン型心アミロイドーシス（ATTR-CM）を適応症として 1 回 80 mg（タファミジスとして 48.8 mg）を 1 日 1 回経口投与（忍容できない場合は減量できる）の用法・用量で 2019 年 3 月に製造販売承認事項一部変更承認を取得している。

今般，相対的バイオアベイラビリティ試験（B3461056 試験）においてタファミジス遊離酸 61 mg（カプセル 1 個）はタファミジスメグルミン 80 mg（タファミジスメグルミン 20 mg カプセル 4 個）の生物学的同等性の判定の基準内であることが示され（M2.7.1 項），さらに ATTR-CM 患者を対象とした国際共同第 3 相長期投与試験（B3461045 試験）において，タファミジス遊離酸 61 mg はタファミジスメグルミン 80 mg と同様の有効性および安全性プロファイルを示した（M2.7.3 項および M2.7.4 項）ことを踏まえ，ATTR-CM を適応症としてタファミジス遊離酸 61 mg の製造販売承認申請を行う。

Figure 1.　タファミジス遊離酸の化学構造式



TTR はサイロキシンの輸送等に関与する血漿蛋白である。TTR はホモ 4 量体として肝臓で産生され，血液中においても 4 量体で存在する。タファミジス遊離酸は野生型およびアミロイド原性変異型 TTR の 4 量体を安定化することにより，TTR アミロイド形成の律速段階である 4 量体の解離を阻害し，ATTR-PN の進行を抑制すると考えられており，ATTR-CM においても同様の作用機序での効果が期待される。

タファミジス遊離酸の効能・効果（案）および用法・用量（案）は添付文書（案）（M1.8.1 項）に記載した。