CTD No.- 資料番号	著者	表題	試験期間 （報告日）	試験実施 場所	国内／海外	掲載誌・その他	資料の区分
第3部（モジュール3）　品質に関する文書　添付資料一覧							
該当資料なし							
第4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧							
該当資料なし							
第5部（モジュール5）　臨床試験報告書　添付資料一覧							
5.2　臨床試験一覧表							
5.2	—	Tabular Listing of All Clinical Studies	—	—	—	社内資料	評価
5.3　臨床試験報告書及び関連情報							
5.3.1　生物薬剤学試験報告書							
5.3.1.4　生物学的及び理化学的分析法検討報告書							
5.3.1.4-1	[redacted]	LCMSF 777 (Project REIV2): Quantitation of ALXN1210 and Eculizumab in Human Serum via HPLC with MS/MS Detection	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価
	[redacted]	LCMSF 777 (Project REIV3 Addendum 3): Quantitation of ALXN1210 and Eculizumab in Human Serum via HPLC with MS/MS Detection	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価

CTD No.- 資料番号	著者	表題	試験期間 （報告日）	試験実施 場所	国内／海外	掲載誌・その他	資料の区分
5.3.1.4-1 （続き）	Michael S. Modesitt	LCMSF 777 (Project REIV3 Amendment 1 Addendum 3): Quantitation of ALXN1210 and Eculizumab in Human Serum via HPLC with MS/MS Detection	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価
	Michael S. Modesitt	LCMSF 777 (Project REIV6 Addendum 4): Quantitation of ALXN1210 and Eculizumab in Human Serum via HPLC with MS/MS Detection	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価
5.3.1.4-2	Meletios Roussis	MTD107V (2324-13949): Validation of a Method for the Quantitation of Free Complement C5 (C5) in Human Serum for ALXN1210 using GyroLab	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価
	Meletios Roussis	MTD107V (2324-13949 Addendum No.1): Validation of a Method for the Quantitation of Free Complement C5 (C5) in Human Serum for ALXN1210 using GyroLab	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価
	Meletios Roussis	MTD107V (2324-13949 Addendum No.2): Validation of a Method for the Quantitation of Free Complement C5 (C5) in Human Serum for ALXN1210 using GyroLab	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価
	Meletios Roussis	MTD107V (2324-13949 Addendum No.3): Validation of a Method for the Quantitation of Free Complement C5 (C5) in Human Serum for ALXN1210 using GyroLab	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価

CTD No.- 資料番号	著者	表題	試験期間 （報告日）	試験実施 場所	国内／海外	掲載誌・その他	資料の区分
5.3.1.4-3	[redacted]	ICDIM 175 Version 2.00 (Project RBSM5): Validation of an Electrochemiluminescent Method for the Detection of Anti-ALXN1210 Antibodies in Human Serum	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価
	[redacted]	ICDIM 175 Version 2.04 (Project RBSM9 Addendum 2): Validation of an Electrochemiluminescent Method for the Detection of Anti-ALXN1210 Antibodies in Human Serum	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価
5.3.1.4-4	[redacted]	ICDIM 219 Version 2.01 (Project REVJ5): Validation of an MSD-ECL Method for the Detection of Neutralizing Anti-ALXN1210 Antibodies in Human Serum	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価
5.3.4　臨床薬力学（PD）試験報告書							
5.3.4.2　患者におけるPD試験及びPK/PD試験報告書							
5.3.4.2	[redacted]	Population PK and PK/PD Analyses to Support Dosing of Ravulizumab in Adult Patients with Generalized Myasthenia Gravis (ALXN1210-MG-306)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価

CTD No.- 資料番号	著者	表題	試験期間 （報告日）	試験実施 場所	国内／海外	掲載誌・その他	資料の区分
5.3.5　有効性及び安全性試験報告書							
5.3.5.1　申請する適応症に関する比較対照試験報告書							
5.3.5.1	[redacted]	A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Multicenter Study to Evaluate the Safety and Efficacy of Ravulizumab in Complement-Inhibitor-Naïve Adult Patients With Generalized Myasthenia Gravis	2019年3月26日～ 2021年5月11日 (20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	評価
5.3.5.2　申請する適応症に関する比較対照試験報告書							
5.3.5.2	[redacted]	A Phase 3, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Multicenter Study to Evaluate the Safety and Efficacy of Ravulizumab in Complement-Inhibitor-Naïve Adult Patients With Generalized Myasthenia Gravis	2019年3月26日～ 20[redacted]年[redacted]月[redacted]日 (20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	評価
5.3.6　市販後の使用経験に関する報告書							
5.3.6	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	Periodic Benefit-Risk Evaluation Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日～ 20[redacted]年[redacted]月[redacted]日 (20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価

CTD No.- 資料番号	著者	表題	試験期間 （報告日）	試験実施 場所	国内／海外	掲載誌・その他	資料の区分
5.3.7　患者データ一覧表及び症例記録							
5.3.7.2	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	有害事象が観察された症例の一覧表	—	—	国内及び海外	社内資料	評価
5.3.7.3	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	重篤な有害事象が観察された症例の一覧表	—	—	国内及び海外	社内資料	評価
5.3.7.4	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	臨床検査値異常変動が観察された症例の一覧表	—	—	国内及び海外	社内資料	評価

CTD No.- 資料番号	著者、表題、掲載誌	資料の 区分
5.4 参考文献		
5.4.1	日本呼吸器外科学会．重症筋無力症外科治療ガイドライン．2019.	参考
5.4.2	日本神経学会監修．重症筋無力症診療ガイドライン2014．南江堂；2014.	参考
5.4.3	村井弘之．重症筋無力症の治療アルゴリズム．神経治療．2020；37(3)：421-4.	参考
5.4.4	吉川弘明、荻野美恵子、和泉唯信ら．重症筋無力症の全国疫学調査 二次調査による臨床像解析．神経免疫疾患のエビデンスによる診断基準・重症度分類・ガイドラインの妥当性と患者 QOL の検証（令和元年度　総括・分担研究報告書）；2020.	参考
5.4.5	Clopper CJ, Pearson ES. The use of confidence or fiducial limits illustrated in the case of the binomial. Biometrika. 1934;26(4):404-13.	参考
5.4.6	Fitzpatrick AM, Mann CA, Barry S, Brennan K, Overell JR, Willison HJ. An open label clinical trial of complement inhibition in multifocal motor neuropathy. J Peripher Nerv Syst. 2011;16(2):84-91.	参考
5.4.7	Ha JC and Richman DP. Myasthenia gravis and related disorders: Pathology and molecular pathogenesis. Biochim Biophys Acta. 2015;1852(4):651-7.	参考
5.4.8	Howard JF Jr. Myasthenia gravis: the role of complement at the neuromuscular junction. Ann N Y Acad Sci. 2018;1412(1):113-28.	参考
5.4.9	Juel VC, Massey JM. Myasthenia gravis. Orphanet J Rare Dis. 2007;2:44.	参考
5.4.10	Katzenschlager S, Zimmer AJ, Gottschalk C, et al. Can we predict the severe course of COVID-19 - a systematic review and meta-analysis of indicators of clinical outcome? PLoS One. 2021;16(7):e0255154.	参考
5.4.11	Koneczny I, Cossins J, Vincent A. The role of muscle-specific tyrosine kinase (MuSK) and mystery of MuSK myasthenia gravis. J Anat. 2014;224(1):29-35.	参考

CTD No.- 資料番号	著者、表題、掲載誌	資料の 区分
5.4.12	Koneczny I, Herbst R. Myasthenia gravis: pathogenic effects of autoantibodies on neuromuscular architecture. Cells. 2019;8(7): 671.	参考
5.4.13	Levey AS, Stevens LA, Schmid CH, Zhang YL, Castro AF 3rd, Feldman HI, et al. A new equation to estimate glomerular filtration rate. Ann Intern Med. 2009;150(9):604-12.	参考
5.4.14	Li Y, Arora Y, Levin K. Myasthenia gravis: newer therapies offer sustained improvement. Cleve Clin J Med. 2013;80(11):711-21.	参考
5.4.15	MacNeil JR, Blain AE, Wang X, Cohn AC. Current epidemiology and trends in meningococcal disease-United States, 1996-2015. Clin Infect Dis. 2018;66(8):1276-81.	参考
5.4.16	Mantegazza R, Vanoli F, Frangiamore R, Cavalcante P. Complement inhibition for the treatment of myasthenia gravis. Immunotargets Ther. 2020;9:317-31.	参考
5.4.17	Nagane Y, Murai H, Imai T, et al. Social disadvantages associated with myasthenia gravis and its treatment: a multicentre cross-sectional study. BMJ Open. 2017;7:e013278.	参考
5.4.18	Rosenthal N, Cao Z, Gundrum J, et al. Risk factors associated with in-hospital mortality in a US national sample of patients with COVID-19. JAMA Netw Open. 2020;3(12):e2029058.	参考
5.4.19	Sahelijo L, Mujeebuddin A, Mitchell D, et al. First in human single-ascending dose study: safety, biomarker, pharmacokinetics and exposure-response relationships of ALXN1210, a humanized monoclonal antibody to C5, with marked half-life extension and potential for significantly longer dosing intervals. Blood. 2015;126(23):4777.	参考
5.4.20	Sheridan D, Yu ZX, Zhang Y, et al. Design and preclinical characterization of ALXN1210: A novel anti-C5 antibody with extended duration of action. PLoS One. 2018;13(4):e0195909.	参考
5.4.21	Silvestri NJ, Wolfe GI. Treatment-refractory myasthenia gravis. J Clin Neuromuscul Dis. 2014;15(4):167-78.	参考
5.4.22	van Deuren M, Brandtzaeg P, van der Meer JWM. Update on meningococcal disease with emphasis on pathogenesis and clinical management. Clin Microbiol Rev. 2000;13(1):144-66.	参考