目次

頁
1.10 毒薬・劇薬の指定審査資料のまとめ 2
1.10.1 毒薬・劇薬等の指定審査資料のまとめ ［現行］ 2
1.10.2 毒薬・劇薬等の指定審査資料のまとめ ［追加］ 6
1.10.3 別紙 7

1.10 毒薬・劇薬の指定審査資料のまとめ

1.10.1 毒薬・劇薬等の指定審査資料のまとめ ［現行］

<table>
<tr><td>化学式・別名</td><td>JAN：エクリズマブ（遺伝子組換え）</td></tr>
<tr><td>構造式</td><td>アミノ酸配列等は別紙のとおり</td></tr>
<tr><td>効能・効果</td><td>発作性夜間ヘモグロビン尿症における溶血抑制
非典型溶血性尿毒症症候群における血栓性微小血管障害の抑制
全身型重症筋無力症（免疫グロブリン大量静注療法又は血液浄化療法による症状の管理が困難な場合に限る）
視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防</td></tr>
<tr><td>用法・用量</td><td>発作性夜間ヘモグロビン尿症における溶血抑制
通常、成人には、エクリズマブ（遺伝子組換え）として、1 回 600 mg から投与を開始する。初回投与後、週 1 回の間隔で初回投与を含め合計 4 回点滴静注し、その 1 週間後（初回投与から 4 週間後）から 1 回 900 mg を 2 週に 1 回の間隔で点滴静注する。

非典型溶血性尿毒症症候群における血栓性微小血管障害の抑制
通常、エクリズマブ（遺伝子組換え）として、下記の用法・用量で点滴静注する。
<table>
<tr><th>年齢又は体重</th><th>導入期</th><th>維持期</th></tr>
<tr><td>18 歳以上</td><td>1 回 900 mg を
週 1 回で計 4 回</td><td>初回投与 4 週間後から
1 回 1200 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td colspan="3">18 歳未満</td></tr>
<tr><td>40 kg 以上</td><td>1 回 900 mg を
週 1 回で計 4 回</td><td>初回投与 4 週間後から
1 回 1200 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td>30 kg 以上
40 kg 未満</td><td>1 回 600 mg を
週 1 回で計 2 回</td><td>初回投与 2 週間後から
1 回 900 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td>20 kg 以上
30 kg 未満</td><td>1 回 600 mg を
週 1 回で計 2 回</td><td>初回投与 2 週間後から
1 回 600 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td>10 kg 以上
20 kg 未満</td><td>1 回 600 mg を
週 1 回で計 1 回</td><td>初回投与 1 週間後から
1 回 300 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td>5 kg 以上
10 kg 未満</td><td>1 回 300 mg を
週 1 回で計 1 回</td><td>初回投与 1 週間後から
1 回 300 mg を 3 週に 1 回</td></tr>
</table>
全身型重症筋無力症（免疫グロブリン大量静注療法又は血液浄化療法による症状の管理が困難な場合に限る）及び視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防〉
通常、成人には、エクリズマブ（遺伝子組換え）として、1 回 900 mg から投与を開始する。初回投与後、週 1 回の間隔で初回投与を含め合計 4 回点滴静注し、その 1 週間後（初回投与から 4 週間後）から 1 回 1200 mg を 2 週に 1 回の間隔で点滴静注する。</td></tr>
</table>

<table>
<tr><td>毒劇薬等の指定</td><td>生物由来製品 [1]、劇薬、処方箋医薬品</td></tr>
<tr><td>市販名及び
有効成分・分量</td><td>製剤：ソリリス点滴静注 300 mg
（1 バイアル中エクリズマブ（遺伝子組換え）として 300 mg）</td></tr>
<tr><td>毒性</td><td>1. 単回投与
<table>
<tr><td>動物種</td><td>被検物質</td><td>投与経路</td><td>無毒性量
(mg/kg)</td></tr>
<tr><td>SD ラット</td><td>h5 G1.1-scFv *</td><td>静脈内</td><td>≥20</td></tr>
</table>
2. 4 週間反復投与
<table>
<tr><td>動物種</td><td>被検物質</td><td>投与経路</td><td>投与量
(mg/kg/
週)</td><td>無毒性量
(mg/kg/
週)</td><td>主な所見</td></tr>
<tr><td>ICR マウス</td><td>BB5.1 **</td><td>静脈内</td><td>30, 60, 90</td><td>≥ 90</td><td>いずれの用量においても毒性徴候は見られなかった</td></tr>
</table>
3. 26 週反復投与
<table>
<tr><td>動物種</td><td>被検物質</td><td>投与経路</td><td>投与量
(mg/kg/
週)</td><td>無毒性量
(mg/kg/
週)</td><td>主な所見</td></tr>
<tr><td>ICR マウス</td><td>BB5.1 **</td><td>静脈内</td><td>30, 60</td><td>≥ 60</td><td>対照群 4 例、BB5.1 60 mg 群 5 例に死亡が認められたが、被検物質との関連性は示されなかった</td></tr>
</table>
* : h5 G1.1-scFv－pexelizumab、一本鎖で定常領域を持たないモノクローナル抗体
** : BB5.1－マウス C5 に対するサロゲート抗体</td></tr>
<tr><td>副作用</td><td>発作性夜間ヘモグロビン尿症
国内臨床試験の 29 例中 27 例（93.1%）に副作用が認められた。
主な副作用
頭痛 15 例（51.7%）
鼻咽頭炎 11 例（37.9%）
悪心 6 例（20.7%）等 （承認時）</td></tr>
</table>

	海外臨床試験の 195 例中 193 例（99.0%）に有害事象が認められた。 主な有害事象 頭痛 100 例（51.3%） 鼻咽頭炎 82 例（42.1%） 上気道感染 60 例（30.8%） 悪心 49 例（25.1%） 下痢 43 例（22.1%） 背部痛 39 例（20.0%）等 （承認時） **非典型溶血性尿毒症症候群** 国内臨床試験及びレトロスペクティブ調査の 3 例中 2 例に副作用が認められた。 1 例に医療機器関連感染及び鼻咽頭炎 1 例に悪心、嘔吐、体温上昇、高アルブミン血症、口腔咽頭不快感、脱毛症、多毛症（効能追加時） 海外臨床試験の 37 例中 16 例（43.2%）に副作用が認められた。 主な副作用 白血球減少症 4 例（10.8%） 頭痛 3 例（ 8.1%）等 海外レトロスペクティブ調査の 30 例中 22 例（73.3%）に有害事象が認められた。 主な有害事象 発熱 9 例（30.0%） 嘔吐 7 例（23.3%） 咳嗽 7 例（23.3%） 上気道感染 6 例（20.0%）等（効能追加時） **全身型重症筋無力症** 海外臨床試験及び国際共同試験の 136 例中 88 例（64.7%）に副作用が認められた。 主な副作用 頭痛 21 例（15.4%） 下痢、悪心 15 例（11.0%） 上気道感染 15 例（ 11.0%） 鼻咽頭炎 11 例（8.1%）等 そのうち国内症例は 11 例中 5 例（45.5%）に副作用が認められた。 鼻咽頭炎 3 例（27.3%） 頭痛 2 例（18.2%）（効能追加時）

	視神経脊髄炎スペクトラム障害 第 III 相国際共同試験 ECU-NMO-301 において本剤投与群患者 96 例中 61 例（63.5%）に副作用が認められ、主な副作用は以下のとおりであった。 主な副作用 上気道感染 11 例（11.5%） 悪心 10 例（10.4%） 頭痛 8 例（8.3%） 浮動性めまい 7 例（7.3%）等 国内症例は 9 例中 9 例（100.0%）に副作用が認められ、主なものは咽頭炎 2 例（22.2%）、膀胱炎 2 例（22.2%）、蜂巣炎 2 例（22.2%）、ウイルス性胃腸炎 2 例（22.2%）であった。 第 III 相国際共同試験 ECU-NMO-302 において 39 例中 27 例（69.2%）に副作用が認められ、主なものは以下のとおりであった。 鼻咽頭炎 5 例（12.8%） 尿路感染症 5 例（12.8%）等 国内症例は 5 例中 5 例（100.0%）に副作用が認められ、主なものは白血球減少症 2 例（40.0%）であった。
会社	アレクシオンファーマ合同会社 製剤：製造販売

[1)] 平成 22 年 4 月 16 日付 厚生労働省告示第 192 号により指定された。

1.10.2　毒薬・劇薬等の指定審査資料のまとめ　［追加］

<table>
<tr><td>化学式・別名</td><td></td></tr>
<tr><td>構造式</td><td></td></tr>
<tr><td>効能・効果</td><td></td></tr>
<tr><td>用法・用量</td><td>〈非典型溶血性尿毒症症候群における血栓性微小血管障害の抑制及び全身型重症筋無力症（免疫グロブリン大量静注療法又は血液浄化療法による症状の管理が困難な場合に限る）〉
通常、エクリズマブ（遺伝子組換え）として、下記の用法・用量で点滴静注する。
<table>
<tr><td>年齢又は体重</td><td>導入期</td><td>維持期</td></tr>
<tr><td>18 歳以上</td><td>1回900 mgを
週 1 回で計 4 回</td><td>初回投与 4 週間後から
1 回 1200 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td colspan="3">18 歳未満</td></tr>
<tr><td>40 kg 以上</td><td>1回900 mgを
週 1 回で計 4 回</td><td>初回投与 4 週間後から
1 回 1200 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td>30 kg 以上
40 kg 未満</td><td>1回600 mgを
週 1 回で計 2 回</td><td>初回投与 2 週間後から
1 回 900 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td>20 kg 以上
30 kg 未満</td><td>1回600 mgを
週 1 回で計 2 回</td><td>初回投与 2 週間後から
1 回 600 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td>10 kg 以上
20 kg 未満</td><td>1回600 mgを
週 1 回で計 1 回</td><td>初回投与 1 週間後から
1 回 300 mg を 2 週に 1 回</td></tr>
<tr><td>5 kg 以上
10 kg 未満</td><td>1回300 mgを
週 1 回で計 1 回</td><td>初回投与 1 週間後から
1 回 300 mg を 3 週に 1 回</td></tr>
</table></td></tr>
<tr><td>毒劇薬等の指定</td><td></td></tr>
<tr><td>市販名及び
有効成分・分量</td><td></td></tr>
<tr><td>毒性</td><td></td></tr>
<tr><td>副作用</td><td>全身型重症筋無力症
第 III 相国際共同試験 ECU-MG-303 において本剤投与群患者 11 例中 5 例（45.5%）に副作用が認められた。発現した副作用は、湿疹、頭痛、注射部位内出血、白血球減少症、リンパ球増加症、単球増加症、好中球減少症、四肢痛、扁桃周囲膿瘍及び発疹であり、各 1 例（9.1%）に認められた。

国内症例は 3 例中 2 例（66.7%）に副作用が認められた。発現した副作用は湿疹、四肢痛及び発疹であり、各 1 例（33.3%）に認められた。</td></tr>
<tr><td>会社</td><td></td></tr>
</table>

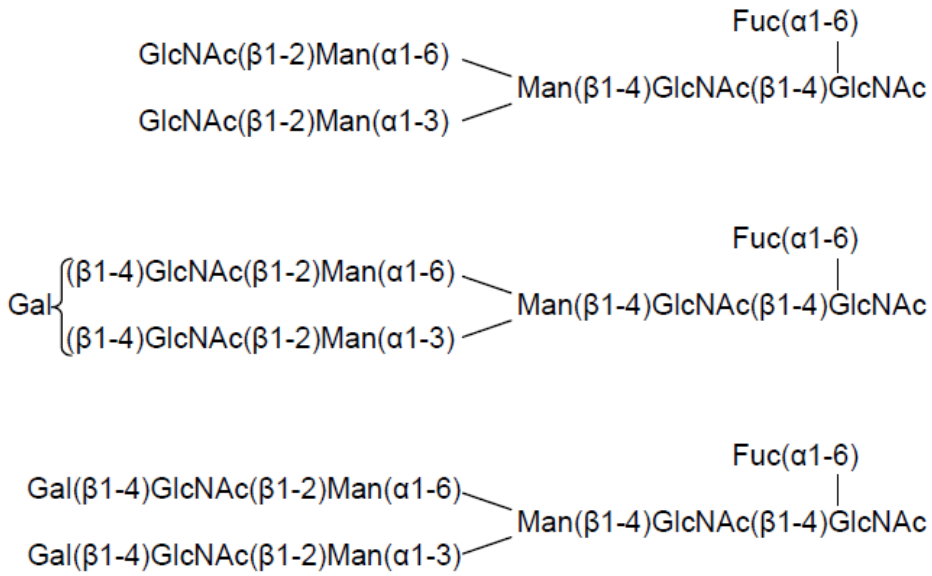
1.10.3 別紙

アミノ酸配列及びジスルフィド結合：



H 鎖 Q1：ピログルタミン酸；H 鎖 N298：糖鎖結合；H 鎖 K488：部分的プロセシング；H 鎖 C136‐L 鎖 C214，H 鎖 C224‐H 鎖 C224，H 鎖 C225‐H 鎖 C225，H 鎖 C228‐H 鎖 C228，H 鎖 C231‐H 鎖 C231：鎖間ジスルフィド結合；H 鎖 N31～Q35，H 鎖 E50～D66，H 鎖 Y99～V111，L 鎖 G24～N34，L 鎖 G50～D56，L 鎖 Q89～T97：マウス由来相補性決定部（CDR）

主な糖鎖の推定構造：


Fuc(α1-6)
GlcNAc(β1-2)Man(α1-6)
Man(β1-4)GlcNAc(β1-4)GlcNAc
GlcNAc(β1-2)Man(α1-3)
Fuc(α1-6)
Gal
(β1-4)GlcNAc(β1-2)Man(α1-6)
Man(β1-4)GlcNAc(β1-4)GlcNAc
(β1-4)GlcNAc(β1-2)Man(α1-3)
Fuc(α1-6)
Gal(β1-4)GlcNAc(β1-2)Man(α1-6)
Man(β1-4)GlcNAc(β1-4)GlcNAc
Gal(β1-4)GlcNAc(β1-2)Man(α1-3)

1.12 添付資料一覧
エクリズマブ 小児gMG

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	申請電子データの有無
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								
5.2.1	—	全臨床試験一覧表	—	—	—	社内資料	評価	無
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								
5.3.1.4.1.1	[redacted]	Fit for Purpose Validation of A Hemolytic Activity Assay for Human Serum Samples (1727-097)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.2	[redacted]	Fit for Purpose Validation of A Hemolytic Activity Assay for Human Serum Samples (Amendment: 1727-097-AM1)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無

1.12 添付資料一覧
エクリズマブ 小児gMG

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	申請電子データの有無
5.3.1.4.1.3	[redacted]	Fit for Purpose Validation of A Hemolytic Activity Assay for Human Serum Samples (Amendment 2: 1727-097-AM2)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.4	[redacted]	Fit for Purpose Validation of A Hemolytic Activity Assay for Human Serum Samples (Amendment 3: 1727-097-AM3)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.5	[redacted]	Fit for Purpose Validation of A Hemolytic Activity Assay for Human Serum Samples (Amendment 4: 1727-097-AM4)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.6	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Eculizumab in Human Serum (1727-112)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.7	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Eculizumab in Human Serum (Amendment: 1727-112-AM1)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.8	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Eculizumab in Human Serum (Amendment 2: 1727-112-AM2)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無

1.12 添付資料一覧
エクリズマブ 小児gMG

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	申請電子データの有無
5.3.1.4.1.9	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Eculizumab in Human Serum (Amendment 3: 1727-112-AM3)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.10	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Eculizumab in Human Serum (Amendment 4: 1727-112-AM4)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.11	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Eculizumab in Human Serum (Amendment 5: 1727-112-AM5)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.12	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies (1727-114)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.13	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies (Amendment: 1727-114-AM1)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.14	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies (Amendment 2: 1727-114-AM2)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無

1.12 添付資料一覧
エクリズマブ 小児gMG

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	申請電子データの有無
5.3.1.4.1.15	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies (Amendment 3: 1727-114-AM3)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.16	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies (Amendment 4: 1727-114-AM4)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.17	[redacted]	Validation of A Qualitative Ligand Binding Method to Detect Neutralizing Anti-Eculizumab Antibodies in Human Serum (1727-117)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.18	[redacted]	Validation of A Qualitative Ligand Binding Method to Detect Neutralizing Anti-Eculizumab Antibodies in Human Serum (Amendment: 1727-117-AM1)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.19	[redacted]	Validation of A Qualitative Ligand Binding Method to Detect Neutralizing Anti-Eculizumab Antibodies in Human Serum (Amendment 2: 1727-117-AM2)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.20	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Anti-Eculizumab Antibodies in Human Serum (1727-118)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無

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	申請電子データの有無
5.3.1.4.1.21	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Anti-Eculizumab Antibodies in Human Serum (Amendment: 1727-118-AM1)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.22	[redacted]	Validation of A Ligand Binding Assay to Detect Anti-Eculizumab Antibodies in Human Serum (Amendment 2: 1727-118-AM2)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.23	[redacted]	Analysis of Eculizumab, Hemolytic Activity, Free Complement Factor 5, and Anti-Eculizumab Antibodies in Human Serum: Alexion, Pharmaceuticals, Inc. Clinical Protocol Number ECU-MG-303 (1727-214)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
5.3.1.4.1.24	[redacted]	Noncompartmental Pharmacokinetic Analysis of Eculizumab in Pediatric Patients With Refractory Generalized Myasthenia Gravis, Final Data Analysis Plan	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	無
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								
5.3.4.2.1	[redacted], et al.	Modeling And Simulation Report: Population PK and PKPD Analysis of Eculizumab in Pediatric Patients With Refractory Generalized Myasthenia Gravis (ALEX-PMX-ECU-3829)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	[redacted]	海外	社内資料	評価	有

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	申請電子データの有無
5.3.4.2.2	[redacted]	Modeling and Simulations Report to Support Dosing Regimens for Eculizumab in Paediatric Patients with Refractory Generalized Myasthenia Gravis (gMG) (CPR-0015.00)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	有
5.3.4.2.3	[redacted], et al.	Population Pharmacokinetics of Eculizumab in Atypical Haemolytic Uremic Syndrome (aHUS) Adult and Paediatric Population and in Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria (PNH) Paediatric Population (CPR-0011.00)	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	無
5.3.5 有効性及び安全性試験報告書								
5.3.5.2 非対照試験報告書								
5.3.5.2.1	[redacted]	An Open-Label, Multicenter Study to Evaluate the Efficacy, Safety, Pharmacokinetics, and Pharmacodynamics of Eculizumab in Pediatric Patients with Refractory Generalized Myasthenia Gravis (ECU-MG-303)	2018年12月28日開始, 継続中 (20[redacted]年[redacted]月[redacted]日) Data cutoff date:20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	評価	有

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	申請電子データの有無
5.3.5.2.2	[redacted]	An Open-Label, Multicenter Study to Evaluate the Efficacy, Safety, Pharmacokinetics, and Pharmacodynamics of Eculizumab in Pediatric Patients with Refractory Generalized Myasthenia Gravis (ECU-MG-303) 52-week CSR Addendum	2018年12月28日開始, 継続中 (20[redacted]年[redacted]月[redacted]日) Data cutoff date:2022年6月1日	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	評価	有
5.3.5.3 複数の試験成績を併せて解析した報告書								
5.3.5.3.1	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	Extrapolation Report to Evaluate the Efficacy, PK/PD, and Safety of Eculizumab in Pediatric Patients with gMG from 6 to <18 Years of Age Eculizumab	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	評価	無
5.3.5.3.2	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	Summary of Clinical Safety Addendum-Tables	(20[redacted]年[redacted]月[redacted]日)	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	評価	無
5.3.7 患者データ一覧表及び症例記録								
5.3.7.2	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	実施された全ての臨床試験において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	無

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	申請電子データの有無
5.3.7.3	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	実施された全ての臨床試験において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	無
5.3.7.4	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	実施された全ての臨床試験において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	無
5.4 参考文献								
5.4.1	Andrews PI.	Autoimmune myasthenia gravis in childhood.	—	—	—	Semin Neurol. 2004;24(1):101-10.	参考	無
5.4.2	Barnett C, et al.	A conceptual framework for evaluating impairments in myasthenia gravis.	—	—	—	PLoS One.2014;9(5): e98089.	参考	無
5.4.3	Chelimsky G, et al.	Vomiting and gastroparesis in thoracic myelopathy with pure sympathetic dysfunction.	—	—	—	J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2004;39(4):426-30.	参考	無

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	申請電子データの有無
5.4.4	Conti-Fine BM, et al.	Myasthenia gravis: past, present, and future.	—	—	—	J Clin Invest. 2006;116(11):2843-54.	参考	無
5.4.5	Dalakas MC, et al.	The importance of FcRn in neuro-immunotherapies: From IgG catabolism, FCGRT gene polymorphisms, IVIg dosing and efficiency to specific FcRn inhibitors	—	—	—	Ther Adv Neurol Disord. 2021 26;14:17562864 21997381.	参考	無
5.4.6	Della Marina A, et al.	Juvenile myasthenia gravis: recommendations for diagnostic approaches and treatment.	—	—	—	Neuropediatrics. 2014;45(2):75-83.	参考	無
5.4.7	Ha JC, et al.	Myasthenia gravis and related disorders: pathology and molecular pathogenesis.	—	—	—	Biochim Biophys Acta. 2015;1852(4):651-7.	参考	無
5.4.8	Howard JF Jr.	Myasthenia gravis: the role of complement at the neuromuscular junction.	—	—	—	Ann N Y Acad Sci. 2018;1412(1):113-128.	参考	無
5.4.9	Koneczny I, et al.	The role of muscle-specific tyrosine kinase (MuSK) and mystery of MuSK myasthenia gravis.	—	—	—	J Anat. 2014;224(1):29-35.	参考	無

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	申請電子データの有無
5.4.10	Koneczny I, et al.	Myasthenia gravis: pathogenic effects of autoantibodies on neuromuscular architecture.	—	—	—	Cells. 2019;8(7):671.	参考	無
5.4.11	Mantegazza R, et all	Complement inhibition for the treatment of myasthenia gravis.	—	—	—	Immunotargets Ther. 2020;9:317-331.	参考	無
5.4.12	McGrogan A, et al.	The incidence of myasthenia gravis: a systematic literature review.	—	—	—	Neuroepidemiology. 2010;34(3):171-83.	参考	無
5.4.13	Phillips LH 2nd, et al.	The epidemiology of myasthenia gravis in central and western Virginia.	—	—	—	Neurology. 1992;42(10):1888-93.	参考	無
5.4.14	Sieb, JP.	Myasthenia gravis: an update for the clinician.	—	—	—	Clin Exp Immunol.2014; 175 (3):408-18.	参考	無

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	申請電子データの有無
5.4.15	Snead OC 3rd, et al.	Juvenile myasthenia gravis.	—	—	—	Neurology. 1980;30(7 Pt 1):732-9.	参考	無
5.4.16	Szobor A, et al.	Myasthenia gravis in childhood and adolescence. Report on 209 patients and review of the literature.	—	—	—	Acta Paediatr Hung. 1988;29(3-4):299-312.	参考	無
5.4.17	Vincent A, et al.	Myasthenia gravis.	—	—	—	Adv Neurol. 2002;88:159-88.	参考	無
5.4.18	日本神経学会監修.	重症筋無力症／ランバート・イートン筋無力症候群診療ガイドライン2022.	—	—	—	南江堂；2022.	参考	無

提出すべき資料がない項目リスト

第3部（モジュール3）：品質に関する文書
第4部（モジュール4）：非臨床試験報告書
第5部（モジュール5）：臨床試験報告書
5.3.1 生物薬剤学試験報告書
5.3.1.1 バイオアベイラビリティ（BA）試験報告書
5.3.1.2 比較BA試験及び生物学的同等性（BE）試験報告書
5.3.1.3 In Vitro-In Vivoの関連を検討した試験報告書
5.3.2 ヒト生体試料を用いた薬物動態関連の試験報告書
5.3.3 臨床薬物動態（PK）試験報告書
5.3.4 臨床薬力学（PD）試験報告書
5.3.4.1 健康被験者におけるPD試験及びPK/PD試験報告書
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
5.3.5.4 その他の試験報告書
5.3.6 市販後の使用経験に関する報告書