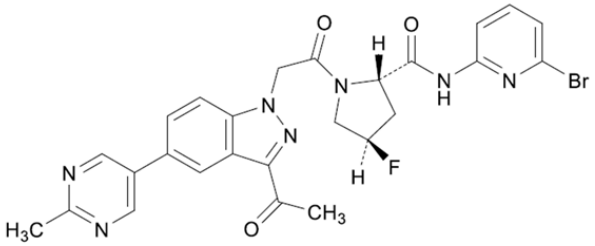
TABLE OF CONTENTS

1.10　毒薬・劇薬の指定審査資料のまとめ 2

1.10　毒薬・劇薬の指定審査資料のまとめ

毒薬・劇薬の指定審査資料のまとめ

<table>
<tr><td>化学名・別名</td><td>化学名（日本名）
(2S,4R)-1-{[3-アセチル-5-(2-メチルピリミジン-5-イル)-1H-インダゾール-1-イル]アセチル}-N-(6-ブロモピリジン-2-イル)-4-フルオロピロリジン-2-カルボキシアミド
化学名（英名）
(2S,4R)-1-{[3-acetyl-5-(2-methylpyrimidin-5-yl)-1H-indazol-1-yl]acetyl}-N-(6-bromopyridin-2-yl)-4-fluoropyrrolidine-2-carboxamide
別名：一般的名称（日本名）ダニコパン　（英名）Danicopan</td></tr>
<tr><td>構造式</td><td>構造式

分子式　$C_{26}H_{23}BrFN_7O_3$
分子量　580.41</td></tr>
<tr><td>効能・効果</td><td>発作性夜間ヘモグロビン尿症</td></tr>
<tr><td>用法・用量</td><td>通常、成人には、補体（C5）阻害剤との併用において、ダニコパンとして 1 回 150◦mg を 1 日 3 回食後に経口投与する。なお、効果不十分な場合には、1 回 200◦mg まで増量することができる。</td></tr>
<tr><td>劇薬等の指定</td><td>劇薬</td></tr>
<tr><td>市販名及び・有効成分･分量</td><td>製剤：ボイデヤ錠 50mg
（1 錠中にダニコパンとして 50mg 含有）</td></tr>
<tr><td>毒性</td><td>単回投与毒性
<table>
<tr><th>動物種</th><th>投与経路</th><th>投与量</th><th>概略の致死量</th></tr>
<tr><td>マウス</td><td>経口</td><td>0, 250, 500, 750, 1000 mg/kg</td><td>＞1000 mg/kg</td></tr>
<tr><td>ラット</td><td>経口</td><td>0, 200, 500, 1000 mg/kg (0, 100, 250, 500 mg/kg の 1 日 2 回投与)</td><td>＞1000 mg/kg</td></tr>
<tr><td>イヌ</td><td>経口</td><td>0, 100, 500, 1000 mg/kg (0, 50, 250, 500 mg/kg の 1 日 2 回投与)</td><td>＞1000 mg/kg</td></tr>
</table>
反復投与毒性
<table>
<tr><th>動物種</th><th>投与期間/投与経路</th><th>投与量 (mg/kg/日)</th><th>無毒性量 (mg/kg/日)</th><th>主な所見（下線:毒性でない変化）</th></tr>
<tr><td>マウス</td><td>経口/
1 ヵ月間</td><td>0, 250, 500, 750, 1000</td><td>1000</td><td>≧250 mg/kg/日: CHO↑（雄）
≧500 mg/kg/日: CHO↑（雌）, 体重増加量↑（雌）, 肝重量↑, 肝</td></tr>
</table></td></tr>
</table>

					細胞肥大
	ラット	経口/ 1 ヵ月	0, 200, 500, 1000	1000	≧500 mg/kg/日: 肝重量↑, 小葉中心性肝細胞肥大 1000 mg/kg/日: 副腎皮質肥大（雌）、甲状腺濾胞細胞肥大
	ラット	経口/ 3 ヵ月間	0, 200, 500, 1000	1000	≧ 200 mg/kg/日: 副腎重量↑（雌）, 肝重量↑, 小葉中心性肝細胞肥大, 甲状腺濾胞細胞肥大 ≧500 mg/kg/日: CHO↑（雌）, T4↓（雄） 1000 mg/kg/日: T4↓（雌）, TSH（雄）↑
	ラット	経口/ 6 ヵ月間	0, 200, 500, 1000	1000	≧200 mg/kg/日: 肝重量↑（雌）, 小葉中心性肝細胞肥大, 甲状腺濾胞細胞肥大. 副腎皮質肥大（雌） 1000 mg/kg/日: 肝重量↑（雄）, 甲状腺重量↑, 副腎皮質肥大, 副腎皮質空胞化（雄）
	イヌ	経口/ 14 日間	0, 100, 500, 1000	1000	≧500 mg/kg/日: 体重↓, TBIL↑, CRE↑, 胸腺リンパ球↓ 1000 mg/kg/日: RBC↓, Hgb↓, Hct↓
	イヌ	経口/ 3 ヵ月間	0, 100, 250, 500, 1000	100	≧100 mg/kg/日: 胆管肥大/過形成 ≧250 mg/kg/日: 胆管肥大/過形成, 肝胆汁色素沈着 1000 mg/kg/日: 安楽死
	イヌ	経口/ 3 ヵ月間	0, 150, 250	150	≧150 mg/kg/日: 胆管肥大/過形成, 肝胆汁色素沈着（雌） 250 mg/kg/日: 胆管肥大/過形成, 肝胆汁色素沈着, 安楽死
	イヌ	経口/ 9 ヵ月間	0, 35, 75, 150	75	150 mg/kg/日: AST↑、ALT↑、ALP↑、GGT↑、TBIL↑, 胆管肥大/過形成, 肝胆道系胆汁うっ滞, 肝胆汁色素沈着, 安楽死（雌）

↓：低下　↑：増加

副作用	国際共同第 III 相試験（ALXN2040-PNH-301 試験、2023 年 3 月 31 日［カットオフ日］時点）において、ラブリズマブ又はエクリズマブ投与下で血管外溶血が認められる発

	作性夜間ヘモグロビン尿症患者 84 名（うち日本人 12 名）にダニコパンを追加投与したときの副作用は、25.0%（21 名）に認められた。主な副作用は肝酵素上昇 6 名（7.1%）、悪心 5 名（6.0%）、発熱 3 名（3.6%）及び頭痛 3 名（3.6%）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

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								
3.2.S 原薬								
3.2.S.1 一般情報								
3.2.S.1.1	—	Nomenclature	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.1.2	—	Structure	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.1.3	—	General Properties	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.2 製造								
3.2.S.2.1	—	Manufacturers	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.2.2	—	Description of Manufacturing Process and Process Controls	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.2.3	—	Control of Materials	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.2.4	—	Controls of Critical Steps and Intermediates	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.2.5	—	Process Validation	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.2.6	—	Manufacturing Process Development	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.3 特性								
3.2.S.3.1	—	Elucidation of Structure and Other Characteristics	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.3.2	—	Impurities	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.4 原薬の管理								
3.2.S.4.1	—	Specification	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.4.2	—	Analytical Procedures	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.4.3	—	Validation of Analytical Procedures	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.4.4	—	Batch Analysis	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.4.5	—	Justification of Specification	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.5 標準品又は標準物質								
3.2.S.5	—	Reference Standards or Materials	—	—	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	申請電子 データの 有無
3.2.S.6 容器及び施栓系								
3.2.S.6	—	Container Closure System	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.7 安定性								
3.2.S.7.1	—	Stability Summary and Conclusions	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.7.2	—	Post-Approval Stability Protocol and Stability Commitment	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.S.7.3	—	Stability Data	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P 製剤								
3.2.P.1 製剤及び処方								
3.2.P.1	—	Description and Composition of the Drug Product	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.2 製剤開発の経緯								
3.2.P.2.1	—	Components of the Drug Product	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.2.2	—	Drug Product	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.2.3	—	Manufacturing Process Development	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.2.4	—	Container Closure System	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.2.5	—	Microbiological Attributes	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.3 製造								
3.2.P.3.1	—	Manufacturers	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.3.2	—	Batch Formula	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.3.3	—	Description of the Manufacturing Process and Process Controls	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.3.4	—	Control of Critical Steps and Intermediates	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.3.5	—	Process Validation and/or Evaluation	—	—	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	申請電子 データの 有無
3.2.P.4 添加剤の管理								
3.2.P.4.1	—	Excipient Specifications	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.4.2	—	Excipient Analytical Procedures	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.4.3	—	Excipient Validation of Analytical Procedures	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.4.4	—	Excipient Justification of Specifications	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.4.5	—	Excipients of Human or Animal Origin	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.4.6	—	Novel Excipients	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.5 製剤の管理								
3.2.P.5.1	—	Specification	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.5.2	—	Analytical Procedures	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.5.3	—	Validation of Analytical Procedures	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.5.4	—	Batch Analysis	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.5.5	—	Characterization of Impurities	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.5.6	—	Justification of Specifications	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.6 標準品又は標準物質								
3.2.P.6	—	Reference Standards or Materials	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.7 容器及び施栓系								
3.2.P.7	—	Container Closure Systems	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.8 安定性								
3.2.P.8.1	—	Stability Summary and Conclusions	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.8.2	—	Post-Approval Stability Protocol and Stability Commitment	—	—	海外	社内資料	評価	—
3.2.P.8.3	—	Stability Data	—	—	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	申請電子 データの 有無
3.2.R 各極の要求資料								
3.2.R	—	[redacted]	—	—	—	社内資料	参考	—
3.3 参考文献								
3.3.1	Barber C, et al	A consortium-driven framework to guide the implementation of ICH M7 option 4 control strategies	—	—	—	Regul Toxicol Pharm 2017; 90:22-28	—	—
3.3.2	ECHA	[redacted]	—	—	—	—	—	—
3.3.3	Teasdale A, et al	A Tool for the Semiquantitative Assessment of Potentially Genotoxic Impurity (PGI) Carryover into API Using Physicochemical Parameters and Process Conditions	—	—	—	Org Process Res Dev 2010;14:943-945	—	—
3.3.4	Teasdale A	Genotoxic Impurities: Strategies for Identification and Control	—	—	—	Genotoxic Impurities, 2011;9:236-237	—	—
3.3.5	Teasdale A, et al	Risk Assessment of Genotoxic Impurities in New Chemical Entities: Strategies to Demonstrate Control	—	—	—	Org Process Res Dev 2013;17:221-230	—	—

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4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2　試験報告書								
4.2.1　薬理試験								
4.2.1.1　効力を裏付ける試験								
4.2.1.1-1	[redacted]	ACH-15-082: Binding by danicopan to human FD protein as assessed by SPR (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted], [redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.1-2	[redacted]	ACH-15-083: Inhibition by danicopan of catalytic activity of human FD protein (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-3	[redacted]	ACH-15-084: Inhibition by danicopan of catalytic activity of human FD protein (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-4	[redacted]	ACH-15-085: Inhibition by danicopan of catalytic activity of human FD protein (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-5	[redacted]	ACH-15-147: Co-crystal structure of danicopan in complex with human FD protein	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted], [redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.1-6	[redacted]	ACH-15-086: Inhibition by danicopan of human serum AP, CP, and LP activity (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-7	[redacted]	ACH-15-087: Inhibition by danicopan of animal serum AP activity (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-8	[redacted]	ACH-15-088: Inhibition by danicopan of human and animal serum AP activity in “undiluted serum” format (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-9	[redacted]	ACH-15-089: Inhibition by danicopan of AP activity in human, cynomolgus monkey, and beagle dog serum from individual donors (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-10	[redacted]	ACH-15-090: Inhibition by danicopan of AP-dependent hemolysis using artificial PNH cells (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-11	[redacted]	ACH-15-091: Inhibition by danicopan of C3 fragment deposition on rabbit erythrocytes and on artificial PNH cells (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-12	[redacted]	ACH-17-074: Inhibition by danicopan of AP activity in 2 standard functional assays (in vitro) and, Inhibition by danicopan of AP-mediated hemolysis erythrocytes from patients with PNH under “physiologic” conditions (ex vivo) (Comparison of test article vs eculizumab)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-13	[redacted]	ACH-15-093: Combined analyses of the PK-PD relationship following danicopan administration to beagle dogs in 2 PK studies and one tolerability/toxicity study	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-14	[redacted]	ACH-15-094: Combined analysis of the PK-PD relationship following danicopan administration to cynomolgus monkeys in single-dose and multiple-dose PK-PD studies	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-15	[redacted]	ACH-15-119: PD analysis of samples from non-GLP tolerability and toxicity study of danicopan in beagle dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-16	[redacted]	ACH-15-073 (Appendix 18): Exploratory non-GLP complement analysis in GLP 14-day toxicity and toxicokinetic study of danicopan in beagle dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted], [redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-17	[redacted]	ACH-15-160 (Appendix 14): Exploratory non-GLP complement analysis in GLP 13-week toxicity and toxicokinetic study of danicopan in beagle dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted], [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	申請電子 データの 有無
第4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.1.1-18	[redacted]	ACH-16-057 (Appendix 17): Exploratory non-GLP complement analysis in GLP 39-week toxicity and toxicokinetic study of danicopan in beagle dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.1-19	[redacted]	ACH-15-163 (Appendix I): Exploratory non-GLP complement analysis in GLP embryo/fetal development (EFD) study of danicopan in New Zealand White rabbits (administration from gestational day [GD] 7 through GD20)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.2　副次的薬理試験								
4.2.1.2-1	[redacted]	ACH-15-095: Evaluation of cellular toxicity of danicopan in human cell lines and primary cells (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.2-2	[redacted]	ACH-15-096: Evaluation of mitochondrial toxicity potential of danicopan in human cell lines cultured under conditions of dependence on mitochondrial respiration (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.2-3	[redacted]	ACH-15-110: Effect of danicopan on human myeloid, erythroid, and megakaryocyte progenitors (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-4	[redacted]	ACH-15-133: Effect of danicopan on human megakaryocyte progenitors (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-5	[redacted]	ACH-15-063: Effect of danicopan on human serine protease panel (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-6	[redacted]	ACH-15-043: Effect of danicopan on a panel of 55 targets comprising receptors, ion channels, and transporters (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-7	[redacted]	ACH-15-061: Effect of danicopan on human A1, A3, and MT1 receptors (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-8	[redacted]	ACH-17-132: Effect of danicopan on dog MT1 receptor (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-9	[redacted]	ACH-16-048: Effect of danicopan on rat MT1 receptor in tissue based functional assay (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-10	[redacted]	ACH-20-025: Analysis of MT1 sequences from human, dog, rabbit, and rat	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.2-11	[redacted]	ACH-15-069: Effect of danicopan on cardiac ion channels expressed in mammalian cells (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-12	[redacted]	ACH-20-021: Effect of danicopan on receptors, ion channels, and transporters associated with abuse liability (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-13	[redacted]	ACH-16-097: Effect of danicopan on BSEP bile salt efflux transporter in primary human, dog, and rat hepatocytes (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-14	[redacted]	ACH-16-085: Effect of danicopan on MDR3 activity in primary human hepatocytes (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-15	[redacted]	ACH-16-082: Effect of danicopan on human MRP3, MRP4, and NTCP transporter activity (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-16	[redacted]	ACH-15-106: Effect of danicopan on catalytic activity of uridine 5'-diphosphoglucuronosyl transferase (UGT) enzymes in human liver microsomes (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-17	[redacted]	ACH-16-093: Effect of danicopan on activity of Farnesoid X Receptor (FXR) (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—

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4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.1.2-18	[redacted]	ACH-16-021: Effect of danicopan on bile acid hepatobiliary disposition using hepatocytes in a sandwich-culture system (Sandwich-Cultured Transporter CertifiedTM Human Hepatocytes, SCHH) (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.2-19	[redacted]	ACH-16-065: Evaluation of pharmacological profile (AP inhibition, cytotoxicity, mitochondrial toxicity) of danicopan metabolites ACH‑0144240, ACH‑0144709, ACH‑0145069, and ACH‑0145071	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.2-20	[redacted]	RTR-0065: Evaluation of pharmacological activity (AP inhibition) of danicopan metabolite ACH‑0145072	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.2-21	[redacted]	ACH-15-143: Effect of danicopan on human serum bactericidal activity (SBA) against E. coli (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.2-22	[redacted]	ACH-16-066: Effect of danicopan on opsonophagocytosis of E. coli using human monocytes and granulocytes (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.2-23	[redacted]	ACH-19-015: Effect of danicopan on human serum bactericidal activity (SBA) against encapsulated N meningitidis isolates (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.3　安全性薬理試験								
4.2.1.3-1	[redacted]	ACH-15-026: Effect of danicopan on hERG ion channels	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.3-2	[redacted]	ACH-15-066: Effect of danicopan on hERG ion channels	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.1.3-3	[redacted]	ACH-15-109: Effect of danicopan on hERG ion channels	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.3-4	[redacted]	ACH-15-072: Cardiovascular telemetry study in conscious beagle dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.3-5	[redacted]	ACH-15-073: 14-day toxicity study in beagle dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.4　薬力学的薬物相互作用試験								
4.2.1.4-1	[redacted]	ACH-15-100: Evaluation of combinatory effect of danicopan with other complement inhibitors including compstatin and an anti-C5 antibody (in vitro)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.1.4-2	[redacted]	ACH-17-073: Evaluation of combinatory effect of danicopan with compstatin and eculizumab against complement-mediated hemolysis of erythrocytes from patients with PNH (in vivo)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	—
4.2.2　薬物動態								
4.2.2.1　分析法								
4.2.2.1-1	[redacted]	ACH-15-076: Validation of a High Performance Liquid Chromatographic Method for the Determination of ACH-0144471 in Dose Formulations	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-2	[redacted]	ACH-15-080: Validation of a Method for the Determination of ACH-0144471 in Rat Plasma (K2EDTA) by Liquid Chromatography Tandem Mass Spectrometry (LC MS/MS)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-3	[redacted]	ACH-15-102: Partial Validation of a Method for the Determination of ACH-0144471 in Dog Plasma (K2EDTA) by Liquid Chromatography Tandem Mass Spectrometry (LC MS/MS)	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	申請電子 データの 有無
第4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.2.1-4	[redacted]	ACH-16-032: Partial Validation of a Method for the Determination of ACH-0144471 in Non-gravid and Gravid Rabbit Plasma by Liquid Chromatography-Tandem Mass Spectrometry (LC-MS/MS)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-5	[redacted]	ACH-16-033: Partial Validation of a High Performance Liquid Chromatographic Method for the Determination of ACH-0144471 in Dose Formulations	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-6	[redacted]	ACH-16-100: Partial Validation of a Method for the Determination of ACH-0144471 in Gravid Rat Plasma by Liquid Chromatography-Tandem Mass Spectrometry (LC-MS/MS)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-7	[redacted]	ACH-17-079: Validation of a Method for the Determination of ACH-0144471 in Mouse Plasma (K2EDTA) by Liquid Chromatography-Tandem Mass Spectrometry (LC-MS/MS)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-8	[redacted]	ACH-18-032: Partial Validation of a High Performance Liquid Chromatographic Method for the Determination of ACH-0144471 in Dose Formulations	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-9	[redacted]	ACH-19-006: Partial Validation of a High Performance Liquid Chromatographic Method for the Determination of ACH-0144471 in Dose Formulations	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-10	[redacted]	ACH-19-016: Qualification of a Method for the Determination of ACH-0144471 in Rabbit Milk by Liquid Chromatography Tandem Mass Spectrometry (LC-MS/MS)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-11	[redacted]	ACH-19-017: Validation of a High Performance Liquid Chromatographic Method for the Determination of [redacted] in Dose Formulations (DMSO)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.1-12	[redacted]	ACH-19-018: Partial Validation of a Method for the Determination of ACH-0144471 in Maternal Post-Partum, Fetal and Kit Rabbit Plasma (K2EDTA) by Liquid Chromatography-Tandem Mass Spectrometry (LC-MS/MS)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2　吸収								
4.2.2.2-1	[redacted]	ACH-15-036: A Pharmacokinetic and Pharmacodynamic Study on ACH-0144471 Following a 10-Minute Intravenous Infusion and Oral Administration in the Presence and Absence of Ritonavir in Male Dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-2	[redacted]	ACH-15-039: Pharmacokinetic Study of ACH-0144471 Following Oral Administration of Three Different Formulations in Male Beagle Dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-3	[redacted]	ACH-15-040: Pharmacokinetics and Pharmacodynamics of ACH-0144471 in Cynomolgus Monkeys	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-4	[redacted]	ACH-15-044: Pharmacokinetic Study of ACH-0144471 Following Intravenous Bolus Injection and Oral Administration of ACH-0144471 in the Presence and Absence of Ritonavir Co-administration in Male Wistar Han Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted], China	海外	社内資料	参考	—
4.2.2.2-5	[redacted]	ACH-15-045: ACH-0144471: A Pharmacokinetic Study of Different Oral Formulations in Male Wistar Han Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted], China	海外	社内資料	参考	—
4.2.2.2-6	[redacted]	ACH-15-060: ACH-0144471: A Pharmacokinetic Study of Different Oral Formulations in Male Beagle Dogs	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	申請電子 データの 有無
第4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.2.2-7	[redacted]	ACH-15-067: Pharmacokinetics of ACH-0144471 following 350 and 500 mg/kg Oral Administrations to Male Wistar Han Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-8	[redacted]	ACH-15-074: Pharmacokinetic of ACH-0144471 in Different Oral Formulations in Male Beagle Dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-9	[redacted]	ACH-15-104: Pharmacokinetics of Formulations to Support Clinical Drug Product Development of ACH-0144471 in Beagle Dog	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-10	[redacted]	ACH-15-107: ACH-0144471: A Pharmacokinetics/Pharmacodynamics 5 day repeat dose study following oral administration in Male Cynomolgus Monkeys	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-11	[redacted]	ACH-15-115: Efflux Transporter Transport Mechanism Study of ACH-0144471: P-glycoprotein and Breast Cancer Resistance Protein	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-12	[redacted]	ACH-15-117: Pharmacokinetics of Three Different Formulations of ACH-0144471 in Dogs to Support Clinical Formulation Development of ACH-0144471	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-13	[redacted]	ACH-15-129: ACH-0144471: Pharmacokinetics of Five Potential Clinical Formulations Following Oral Capsule Administration in Beagle Dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-14	[redacted]	ACH-15-135: Pharmacokinetic Study to Investigate the Regional Absorption of ACH-0144471 in Male Wistar Han Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-15	[redacted]	ACH-15-137: ACH-0144471: Pharmacokinetics of Three Potential Clinical Formulations Following Oral Capsule Administration in Beagle Dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-16	[redacted]	ACH-15-161: Pharmacokinetic Study of ACH-0144471 Following Oral Administration in Female New Zealand White Rabbit	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted], China	海外	社内資料	参考	—
4.2.2.2-17	[redacted]	ACH-16-001: Pharmacokinetics of Three Different Formulations of ACH-0144471 Delivered as Capsules in Dogs to Support Clinical Formulation Development of ACH-0144471	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-18	[redacted]	ACH-16-005: Pharmacokinetics of Three Different Formulations of ACH-0144471 Dosed as Powder or Capsules with Food in Dogs to Support Clinical Formulation Development of ACH-0144471	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-19	[redacted]	ACH-16-011: Pharmacokinetics of Four Different Formulations of ACH-0144471 Dosed as Solutions in Capsules in Dogs to Support Clinical Formulation Development of ACH-0144471	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-20	[redacted]	ACH-16-017: Oral Pharmacokinetics of Spray-Dried ACH-0144471 Suspensions in Dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-21	[redacted]	ACH-16-031: Pharmacokinetics of ACH-0144471 Following Oral Capsule and Tablet Administration in Dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-22	[redacted]	ACH-17-023: Pharmacokinetics of ACH-0144471 Following Oral Administration of Solid Dose Dispersions as Powder in Capsule or as a Suspension Gavages to Dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.2-23	[redacted]	ACH-17-050: Pharmacokinetics of ACH-0144471 Following Oral Gavage as Solution and Suspension in Male RasH2 Mice	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	申請電子 データの 有無
第4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.2.2-24	[redacted]	ACH-18-033: ACH-0144471: A Pharmacokinetic Study Following Oral Administration of a Suspension at 1000 mg/kg to Male Beagles	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.3　分布								
4.2.2.3-1	[redacted]	ACH-15-114: ACH-0144471: Determination of In Vitro Protein Binding of ACH-0144471 to CD-1 Mouse, Wistar Han Rat, New Zealand White Rabbit, Beagle Dog, Cynomolgus Monkey, and Human Plasma Proteins, and to Human α1-Acid Glycoprotein (AAG) and Human Serum Albumin (HSA), Using Equilibrium Dialysis	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.3-2	[redacted]	ACH-15-118: Determination of In Vitro Blood Cell Partitioning of ACH-0144471 in Whole Blood from Wistar Han Rats, Beagle Dogs, Cynomolgus Monkeys, and Humans	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.3-3	[redacted]	ACH-15-150: Tissue Distribution via Quantitative Whole-Body Autoradiography in Male Long-Evans and Wistar Han Rats Following a Single Oral or Intravenous Administration of [14C]ACH-0144471 and an Estimation of Human Radiation Dosimetry	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.3-4	[redacted]	ACH-19-004: Determination of the Ocular Tissue Distribution, Systemic Pharmacokinetics, and Clinical Ophthalmology of ACH-4471 After Oral Administration to Rabbits	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.3-5	[redacted]	ACH-19-013: An Oral (Gavage) Lactational/Placental Transfer Study of ACH-0144471 in Rabbits	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.3-6	[redacted]	ACH-19-030: Determination of the Ocular Tissue Distribution and Systemic Pharmacokinetics of ACH-4471 After Oral or Intravenous Administration to Rabbits	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.3-7	[redacted]	ACH-20-027: In Vitro Binding of ACH-0144471 to Melanin	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.3-8	[redacted]	ACH-20-044: Determination of the Ocular Tissue Distribution and Systemic Pharmacokinetics of ALXN-2040 after Oral Administration to Rabbits	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.4　代謝								
4.2.2.4-1	[redacted]	ACH-15-108: Determination of in vitro Metabolic Stability of ACH-0144471 in Liver Microsomes and Hepatocytes of Wistar Han Rat, Beagle Dog, Cynomolgus Monkey, and Human	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, New Haven, CT	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.4-2	[redacted]	ACH-15-136: Profiling and Identification of Metabolites of ACH-0144471 In Vitro and Confirmation of Selected Metabolites In Vivo in Plasma from Rat, Dog, and Monkey	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, New Haven, CT	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.4-3	[redacted]	ACH-15-157: Quantitative Analysis of Two Metabolites of ACH-0144471 in Rat and Dog Plasma Samples Following Repeat Oral Dose	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, New Haven, CT	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.4-4	[redacted]	ACH-16-051: [14C]ACH-0144471 Metabolite Profiling and Identification in Male and Female Wistar Han Rats Following a Single Oral and IV Administration of [14C]ACH-0144471	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	申請電子 データの 有無
第4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.2.4-5	[redacted]	ACH-16-052: [14C]ACH-0144471 Metabolite Profiling and Identification in Male Beagle Dogs Following a Single Oral and IV Administration of [14C]ACH-0144471	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.4-6	[redacted]	ACH-16-076: ACH-0144471: Covalent Protein Binding Evaluation in Rat, Dog, and Human Hepatocytes	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.4-7	[redacted]	ACH-17-143: ACH-0144471: Metabolite Identification and Relative Abundance in Human Plasma and Relative Exposure of ACH-0144471 Human Metabolites in Rat and Dog Using LC/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.4-8	[redacted]	ACH-17-194: Profiling and Identification of Metabolites of ACH-0144471 In Vitro from Mouse and Rabbit Hepatocytes	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, New Haven, CT	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.4-9	[redacted]	ACH-18-030: DETERMINATION OF HYDROLYSIS ENZYMES INVOLVED IN THE METABOLISM OF ACH-0144471	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.4-10	[redacted]	ACH-19-009: In Response to ACH-18-030: Determination of the Contribution of Aldehyde Oxidase to the Metabolism of ACH-0144471	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, New Haven, CT	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	申請電子 データの 有無
第4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.2.5　排泄								
4.2.2.5-1	[redacted]	ACH-15-144: Mass Balance and Pharmacokinetics Following a Single Oral Gavage or Intravenous Bolus Administration of [14C]ACH-0144471 to Male and Female Wistar Han Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.5-2	[redacted]	ACH-15-145: Mass Balance, Radiokinetics, and Pharmacokinetics Following a Single Oral Gavage or Intravenous Bolus Administration of [14C]ACH-0144471 to Male Beagle Dogs	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.6　薬物相互作用								
4.2.2.6-1	[redacted]	ACH-15-106: ACH-0144471: Inhibition of Cytochromes P450 and UGT Catalytic Activities in Human Liver Microsomes	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.6-2	[redacted] ([redacted])	ACH-15-116: Assessment of ACH-0144471 as an inhibitor of human BCRP, P-gp, OAT1, OAT3, OCT2, OATP1B1 and OATP1B3 mediated transport	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.6-3	[redacted]	ACH-16-008: In vitro Assessment of ACH-0144471 as a Substrate of human OATP1B1 and OATP1B3 Uptake Transporters	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.6-4	[redacted]	ACH-16-016: Assessment of ACH-0144471 as an inhibitor of Human BSEP and MRP2, dog BSEP and MRP2 mediated transport	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.6-5	[redacted]	ACH-16-021: In Vitro Evaluation of ACH-0144471 to Modify Endogenous Bile Acid Hepatobiliary Disposition and to Inhibit (Antagonize) FXR Activation in Sandwich-Cultured Transporter CertifiedTM Human Hepatocytes Utilizing B-CLEAR® Technology	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.2.6-6	[redacted]	ACH-16-025: Assessment of ACH-0144709, ACH-0144240, ACH-0145069 and ACH-0145071 as inhibitors of human BSEP mediated transport	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.6-7	[redacted]	ACH-16-082: Assessment of ACH-0144471 as an inhibitor of human MRP3, MRP4 and NTCP mediated transport	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.6-8	[redacted]	ACH-16-085: Inhibitory Effects of ACH-0144471 on Human MDR3 Activity in Primary Human Hepatocytes	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.6-9	[redacted]	ACH-16-093: Assessment of ACH-0144471 and its identified Metabolites for FXR Modulation	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.2.6-10	[redacted]	ACH-16-097: Inhibitory Effects of ACH-0144471 on Bsep/BSEP Activity in Primary Rat, Dog and Human Hepatocytes	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.2.6-11	[redacted]	ACH-17-145: Evaluation of Induction Potential of Cytochrome P450 Isoforms by ACH-0144471 in Cultured Human Hepatocytes	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3　毒性試験								
4.2.3.2　反復投与毒性試験								
4.2.3.2.1	[redacted]	ACH-17-107: A 28 Day Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in Wild Type rasH2 Mice	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.2.2-1	[redacted]	ACH-15-041: A 14-Day Range-Finding Study of ACH-0144471 Administered by Oral Gavage in Male Wistar Han Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.2.2-2	[redacted]	ACH-15-041: Final Report Amendment No. 1 A 14-Day Range-Finding Study of ACH-0144471 Administered by Oral Gavage in Male Wistar Han Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—

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4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.3.2.3-1	[redacted]	ACH-15-071: A 28-Day Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in Rats with a 14-Day Recovery Period	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.2.3-2	[redacted]	ACH-15-071: Final Amended Report A 28-Day Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in Rats with a 14-Day Recovery Period	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.2.4	[redacted]	ACH-16-002: A 13-Week Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in Rats with a 28- Day Recovery Period	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.2.5	[redacted]	ACH-16-020: A 26 Week Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.2.6-1	[redacted]	ACH-15-056: A Dose Escalating and 5-Day Tolerability Toxicity Study of ACH-0144471 in the Beagle Dog	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.2.6-2	[redacted]	ACH-15-056: Non-GLP Final Amended Report A Dose Escalating and 5-Day Tolerability Toxicity Study of ACH-0144471 in the Beagle Dog	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.2.7	[redacted]	ACH-15-073: A 14-Day Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in the Beagle Dog with a 14-Day Recovery Period (Attached in Final Amended Report 15-073)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.2.8	[redacted]	ACH-15-160: A 13-Week Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in the Beagle Dog	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.2.9	[redacted]	ACH-16-038: A 13-Week Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in the Beagle Dog	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.2.10	[redacted]	ACH-16-057: A 39-Week Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in the Beagle Dog with a 13-Week Recovery Period	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.3　遺伝毒性試験								
4.2.3.3.1　In Vitro 遺伝毒性試験								
4.2.3.3.1.1	[redacted]	ACH-15-078: ACH-0144471 Bacterial Reverse Mutation Test in Salmonella typhimurium and Escherichia coli	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.3.1.2	[redacted]	ACH-15-077: ACH-0144471 In Vitro Mammalian Cell Micronucleus Test in Human Peripheral Blood Lymphocytes	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.3.2　In Vivo 遺伝毒性試験								
4.2.3.3.2.1-1	[redacted]	ACH-15-071: A 28-Day Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in Rats with a 14-Day Recovery Period	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.3.2.1-2	[redacted]	ACH-15-071: Final Amended Report A 28-Day Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in Rats with a 14-Day Recovery Period	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.4　がん原性試験								
4.2.3.4.1　長期がん原性試験								
4.2.3.4.1.1	[redacted]	ACH-17-158: A 2-Year Oral Gavage Carcinogenicity Study of ACH-0144471 in Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.4.2　短期又は中期がん原性試験								
4.2.3.4.2.1	[redacted]	ACH-17-164: ACH-0144471: A 26-Week Oral Gavage Carcinogenicity Study in Transgenic rasH2 Mice	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	申請電子 データの 有無
第4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.3.5　生殖発生毒性試験								
4.2.3.5.1　受胎能及び着床までの初期胚発生に関する試験								
4.2.3.5.1.1	[redacted]	ACH-16-006: An Oral (Gavage) Study of the Effects of ACH-0144471 on Fertility and Early Embryonic Development in Rabbits	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.5.2　胚・胎児発生に関する試験								
4.2.3.5.2.1	[redacted]	ACH-16-050: Twice Daily (12 Hours Apart) Oral (Gavage) Study of the Effects of ACH-0144471 on Embryo/Fetal Development in Wistar Rats	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.5.2.2	[redacted]	ACH-15-162: An Oral (Gavage) Dose Range-Finding Study of the Effects of ACH-0144471 on Embryo/Fetal Development in Rabbits	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.5.2.3	[redacted]	ACH-15-163: An Oral (Gavage) Study of the Effects of ACH-0144471 on Embryo/Fetal Development in Rabbits	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.5.3　出生前及び出生後の発生並びに母体の機能に関する試験								
4.2.3.5.3.1	[redacted]	ACH-16-007: An Oral (Gavage) Study of the Effects of ACH-0144471 on Pre- and Postnatal Development, Including Maternal Function in Rabbits	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.5.4　新生児を用いた試験								
4.2.3.5.4.1	[redacted]	ACH-17-153: A Tolerability Phase Followed by a 6-Week Dosage Range-Finding Study of ACH-0144471 by Oral Gavage in the Juvenile Beagle Dog	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7　その他の毒性試験								
4.2.3.7.6　不純物の毒性試験								
4.2.3.7.6.1	[redacted]	ACH-16-028: Toxicological analysis of three structures using Derek Nexus and Leadscope	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.2	[redacted]	ACH-16-029: Toxicological analysis of [redacted] using Derek Nexus and Leadscope	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.3	[redacted]	ACH-19-020: [redacted] ([redacted]), a Metabolite of ACH-0144471: Bacterial Reverse Mutation Test in Salmonella typhimurium and Escherichia coli	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.7.6.4	[redacted]	ACH-15-013: [redacted], [redacted], and [redacted] Bacterial Reverse Mutation Test in 24-well Plates (Micro Ames)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.5	[redacted]	ACH-15-029: [redacted], [redacted], ACH-0144471 Bacterial Reverse Mutation Test in 24-well Plates (Micro Ames)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.6-1	[redacted]	ACH-15-048: [redacted] In Vitro Micro HPBL Micronucleus Test (screening version)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.6-2	[redacted]	ACH-15-048: Amendment [redacted] In Vitro Micro HPBL Micronucleus Test (screening version)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.7	[redacted]	ACH-15-103: Toxicological analysis of one structure using Derek Nexus and Leadscope	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.8	[redacted]	ACH-16-060: Toxicological analysis of three structures using Derek Nexus and Leadscope	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.9	[redacted]	ACH-17-065: Toxicological analysis of five structures using Derek Nexus and Leadscope	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—

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4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.2.3.7.6.10	[redacted]	ACH-18-029: Toxicological analysis of one structures using Derek Nexus and Leadscope	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.11	[redacted]	ACH-19-028: Toxicological analysis of four structures using Derek Nexus and Leadscope	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.6.12	[redacted]	ACH-19-036: Toxicological analysis of one structure using Derek Nexus and Leadscope	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	参考	—
4.2.3.7.7　その他の試験								
4.2.3.7.7.1　光毒性試験								
4.2.3.7.7.1.1	[redacted]	ACH-16-015: Neutral Red Uptake Phototoxicity Assay of ACH-0144471 in BALB/c 3T3 Mouse Fibroblasts	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
4.2.3.7.7.1.2	[redacted]	ACH-16-049: Repeat Dose Phototoxicity Study to Determine the Effects of Oral Administration on Eyes and Skin in Pigmented Rats Using ACH-0144471	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	申請電子 データの 有無
第4部（モジュール4）　非臨床試験報告書　添付資料一覧								
4.3　参考文献								
4.3-1	Bektas M, et al.	Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: current treatments and unmet needs	—	—	—	J Manag Care Spec Pharm. 2020;26(12-b Suppl):S14-S20.	—	—
4.3-2	Brodsky RA.	Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria	—	—	—	Blood. 2014;124(18):2804-2811.	—	—
4.3-3	Brodsky RA.	Complement in hemolytic anemia	—	—	—	Blood. 2015;126(22):2459-2465.	—	—
4.3-4	Chou T-C, et al.	Analysis of combined drug effects: a new look at a very old problem	—	—	—	Trends Pharmacol Sci. 1983;450-454.	—	—
4.3-5	Harboe M, et al.	The quantitative role of alternative pathway amplification in classical pathway induced terminal complement activation	—	—	—	Clin Exp Immunol. 2004;138(3):439-446.	—	—
4.3-6	Hill A, et al.	Eculizumab prevents intravascular hemolysis in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria and unmasks low-level extravascular hemolysis occurring through C3 opsonization	—	—	—	Haematologica.2010; 95(4):567-573.	—	—
4.3-7	McKinley CE, et al.	Extravascular hemolysis due to C3-loading in patients with PNH treated with eculizumab: defining the clinical syndrome	—	—	—	Blood,2017;130(Supplement 1):3471	—	—
4.3-8	Notaro R, et al.	C3-mediated extravascular hemolysis in PNH on eculizumab: mechanism and clinical implications.	—	—	—	Semin Hematol. 2018;55(3):130-135.	—	—
4.3-9	Prichard MN, et al.	A three-dimensional model to analyze drug-drug interactions	—	—	—	Antiviral Res.1990;14(4-5):181-205.	—	—
4.3-10	Risitano AM, et al.	Anti-complement Treatment for Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: Time for Proximal Complement Inhibition? A Position Paper From the SAAWP of the EBMT	—	—	—	Front Immunol. 2019;10:1157.	—	—
4.3-11	Schreiber RD, et al.	Initiation of the alternative pathway of complement: recognition of activators by bound C3b and assembly of the entire pathway from six isolated proteins	—	—	—	Proc Natl Acad Sci U S A. 1978;75(8):3948-3952.	—	—
4.3-12	Yuan X, et al.	Small-molecule factor D inhibitors selectively block the alternative pathway of complement in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria and atypical hemolytic uremic syndrome	—	—	—	Haematologica.2017; 102(3):466-475.	—	—
4.3-13	Granoff DM, et al.	Differential effects of therapeutic complement inhibitors on serum bactericidal activity against nongroupable meningococcal isolates recovered from patients treated with eculizumab	—	—	—	Haematologica.2019; 104(8):e340-e344.	—	—
4.3-14	Konar M, et al.	Eculizumab treatment and impaired opsonophagocytic killing of meningococci by whole blood from immunized adults	—	—	—	Blood. 2017;130(7):891-899.	—	—

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	参考	—
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								
5.3.1.1　バイオアベイラビリティ（BA）試験報告書								
5.3.1.1-1	[redacted]	ALXN2040-HV-119: A 2-Part, Open-label, Randomized, Single-Dose, 3-Period Crossover, Phase 1, Relative Bioavailability, and Food Effect Study, Comparing Different Formulations of Danicopan in Healthy Adult Subjects	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	—
5.3.1.2　比較BA試験及び生物学的同等性（BE）試験報告書								
5.3.1.2-1	[redacted]	ACH471-006: A PHASE 1 STUDY TO DETERMINE THE RELATIVE BIOAVAILABILITY OF ACH-0144471 AFTER ADMINISTRATION OF A TABLET OR SOFTGEL CAPSULE VERSUS A LIQUID FILLED CAPSULE IN HEALTHY VOLUNTEERS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	—
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]	3030: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of ACH-0144471 in Human Plasma by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-1	[redacted]	3030 Amendment 1: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of ACH-0144471 in Human Plasma by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-2	[redacted]	3063: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of ACH-0144471 in Human Serum by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-2	[redacted]	3063 Amendment 1: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of ACH-0144471 in Human Serum by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-3	[redacted]	[redacted]304879QB10: Validation of an LC-MS/MS Method for the Measurement of ACH-0144471 in Human Plasma	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-4	[redacted]	3034: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of ACH-0144471 in Human Urine by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-4	[redacted]	3034 Amendment 1: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of ACH-0144471 in Human Urine by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-5	[redacted]	AP Wieslab Alternative Complement Pathway Method Verification Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-6	[redacted]	MicroVue Human Complement Factor Bb Method Verification Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-7	[redacted]	Method Verification Summary: Complement Factor D	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-8	[redacted]	Wieslab Complement System Alternative Pathway Validation Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-9	[redacted]	MicroVue Human Complement Factor Bb Method Verification Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-10	[redacted]	Human Factor D Immunoassay Validation Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-11	[redacted]	EXVAL.013.02: Wieslab Alternative Pathway ELISA Validation Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-11	[redacted]	EXVAL.013.02: Wieslab Alternative Pathway ELISA Long Term Stability Report	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	申請電子 データの 有無
第5部（モジュール5）　臨床試験報告書　添付資料一覧								
5.3.1.4-12	[redacted]	EXVAL.001.01: Quidel Bb ELISA Validation Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-12	[redacted]	EXVAL.001.01: Quidel Bb ELISA Long Term Stability Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-13	[redacted]	EXVAL.035.00: R&D Systems Factor D ELISA Validation Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-13	[redacted]	EXVAL.035.00: R&D Systems Factor D ELISA Long Term Stability Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-14	[redacted]	EXVAL.002.1.02: Hemolytic Assay CH50 Total Classical Pathway Function Validation Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-14	[redacted]	EXVAL.002.1.02: Hemolytic Assay CH50 Total Classical Pathway Function Long Term Stability Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-15	[redacted]	EXVAL.017.00: Immage 800 C3 and C4 Nephelometry Validation Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-15	[redacted]	EXVAL.017.00: Immage 800 C3 Nephelometry Long Term Stability Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-15	[redacted]	EXVAL.017.00: Immage 800 C4 Nephelometry Long Term Stability Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-16	[redacted]	EXVAL.039.00: AP1 Alternative Pathway One Point Hemolytic Assay Qualification Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-16	[redacted]	EXVAL.039.00: AP1 Alternative Pathway One Point Hemolytic Assay Re-evaluation Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-16	[redacted]	EXVAL.039.00: AP1 Alternative Pathway One Point Hemolytic Assay Long Term Stability Report	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-17	[redacted]	1727-114: Validation of a Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-17	[redacted]	1727-114 Amendment 1: Validation of a Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-17	[redacted]	1727-114 Amendment 2: Validation of a Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-17	[redacted]	1727-114 Amendment 3: Validation of a Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-17	[redacted]	1727-114 Amendment 4: Validation of a Ligand Binding Assay to Detect Free Complement Factor 5 in Human Serum for Eculizumab Studies	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-18	[redacted]	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	—
5.3.1.4-18	[redacted]	2324-13949 Amendment 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	—
5.3.1.4-18	[redacted]	2324-13949 Amendment 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	—
5.3.1.4-18	[redacted]	2324-13949 Amendment 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	申請電子データの有無
第5部（モジュール5）　臨床試験報告書　添付資料一覧								
5.3.1.4-18	[redacted]	2324-13949 Amendment 4: 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	—
5.3.1.4-19	[redacted]	3207: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of Midazolam and Fexofenadine in Human Plasma by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-20	[redacted]	3204: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of Mycophenolic Acid and Mycophenolic Acid Glucuronide in Human Plasma by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-21	[redacted]	3444: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of Cyclosporin in Human Whole Blood by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-22	[redacted]	3446: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of Tacrolimus in Human Whole Blood by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-23	[redacted]	3448: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of Omeprazole and 5-OH-Omeprazole in Human Plasma by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-23	[redacted]	3448 Amendment 1: Method Validation Study for the Bioanalytical Quantitation of Omeprazole and 5-OH-Omeprazole in Human Plasma by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-24	[redacted]	3653: Method Validation Project for the Bioanalytical Quantitation of R-Warfarin and S-Warfarin in Human Plasma by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-25	[redacted]	3655: Method Validation Project for the Bioanalytical Quantitation of Bupropion and Hydroxybupropion in Human Plasma by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-26	[redacted]	3651: Method Validation Project for the Bioanalytical Quantitation of Ethinyl Estradiol and Norethindrone in Human Plasma by LC-MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-27	[redacted]	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	—
5.3.1.4-27	[redacted]	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	—
5.3.1.4-27	[redacted]	RBSM10 Addendum 3: 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	—
5.3.1.4-28	[redacted]	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	—
5.3.1.4-29	[redacted]	2029: Validation of a Method for the Determination of Moxifloxacin in Human Plasma by LC/MS/MS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	—
5.3.1.4-30	[redacted]	8369058: Validation of a Method for the Determination of ACH-0144471 in Human Plasma by 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	申請電子データの有無
第5部（モジュール5）　臨床試験報告書　添付資料一覧								
5.3.3　臨床薬物動態（PK）試験報告書								
5.3.3.1　健康被験者におけるPK及び初期忍容性試験報告書								
5.3.3.1-1	[redacted]	ACH471-001: A SINGLE ASCENDING DOSE STUDY TO ASSESS THE SAFETY, TOLERABILITY, PHARMACOKINETICS, AND PHARMACODYNAMICS OF ACH 0144471 IN HEALTHY VOLUNTEERS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	—
5.3.3.1-2	[redacted]	ACH471-002: A MULTIPLE ASCENDING DOSE STUDY TO ASSESS SAFETY, TOLERABILITY, PHARMACOKINETICS, AND PHARMACODYNAMICS OF ACH-0144471 IN HEALTHY VOLUNTEERS	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	—
5.3.3.1-3	[redacted]	ACH471-005: A Phase I, Open-Label, Single-Dose ADME Study of ^{14}C-ACH-0144471 in Healthy Male Subjects	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	—
5.3.3.1-4	[redacted]([redacted])	ACH471-011: A Phase 1 Study to Evaluate the Pharmacokinetic Profile of ACH-0144471 Following Administration of Modified Release Prototype Formulations in Healthy Subjects	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	—
5.3.3.1-5	[redacted]([redacted]), [redacted]	ACH471-013: A Single Ascending Dose, Randomized, Double-Blind, Double-Dummy, Placebo- and Positive Controlled Study to Evaluate the Effect of ACH-0144471 on the QT Interval in Healthy Adult Subjects	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日（Original）、20[redacted]年[redacted]月[redacted]日（Addendum）	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	有
5.3.3.1-6	[redacted]	ACH471-016: A Two-Part, Open-Label Phase 1 Study to Evaluate the Effect of Food and Age on the Pharmacokinetics of Danicopan	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	有
5.3.3.3　内因性要因を検討した PK 試験報告書								
5.3.3.3-1	[redacted], [redacted]	ACH471-009: A Phase I, Open-Label, Parallel Group Study to Evaluate ACH-0144471 Safety, Tolerability, and Pharmacokinetics in Subjects With Normal Renal Function and Subjects With Renal Dysfunction	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	有
5.3.3.3-2	[redacted]([redacted])	ACH471-012: A Phase 1, 2-Part, Open-label, Single-Dose, Parallel Group Study to Determine the Effect of Hepatic Impairment on the Safety, Tolerability, and Pharmacokinetics of ACH-0144471 in Adult Subjects	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	有
5.3.3.3-3	[redacted]	ALXN2040-HV-101: A Phase 1 Study to Determine the Safety, Tolerability, and Pharmacokinetics of Danicopan after Administration as an Oral Tablet in the Fed and Fasted States in Participants of Japanese Descent	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	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
第5部（モジュール5）　臨床試験報告書　添付資料一覧								
5.3.3.4　外因性要因を検討した PK 試験報告書								
5.3.3.4-1	[redacted]	ACH471-010: A Three-Part Phase 1 Study to Determine the Potential Drug Interaction between ACH-0144471 and Midazolam, Fexofenadine, and Mycophenolate Mofetil in Healthy Subjects	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	有
5.3.3.4-2	[redacted] ([redacted])	ACH471-014: A Three-Part Phase 1 Study to Evaluate the Potential Drug Interaction between ACH-0144471 and Cyclosporine, Tacrolimus, Antacids, and Omeprazole in Healthy Adult Subjects	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	有
5.3.3.4-3	[redacted] ([redacted])	ACH471-017: A Three-Part Phase 1 Study to Evaluate the Potential Drug Interaction between ACH-0144471 and Warfarin, Bupropion, and Ethinyl Estradiol and Norethindrone (Oral Contraceptive) in Healthy Adult Subjects	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	有
5.3.3.4-4	[redacted]	ALXN2040-HV-102: A Phase 1 Study to Evaluate the Potential Drug Interaction Between ALXN2040 and Rosuvastatin in Healthy Adult Participants	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	有
5.3.3.5　ポピュレーションPK試験報告書								
5.3.3.5-1	[redacted]	PMX-0025: Population Pharmacokinetics (PPK) of Danicopan and Pharmacodynamics (PD) of Alternative Pathway Activity in Healthy Subjects and Patients with Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	有
5.3.3.5-2	[redacted]	PMX-0038: PPK/PD Modeling and Simulations Analysis Report for Danicopan in Combination with Eculizumab/Ravulizumab in Patients with PNH Who Have Clinically Evident Extravascular Hemolysis (CE-EVH)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	有
5.3.3.5-2	[redacted]	PMX-0038.01: PPK/PD Modeling and Simulations Analysis Report for Danicopan in Combination with Eculizumab/Ravulizumab in Patients with PNH Who Have Clinically Evident Extravascular Hemolysis (CE-EVH)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	[redacted]	海外	社内資料	評価	有
5.3.3.5-2	[redacted]	PMX-0038 Errata Memo: PPK/PD Modeling and Simulations Analysis Report for Danicopan in Combination with Eculizumab/Ravulizumab in Patients with PNH Who Have Clinically Evident Extravascular Hemolysis (CE-EVH)	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
第5部（モジュール5）　臨床試験報告書　添付資料一覧								
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								
5.3.5.1-1	[redacted]	ALXN2040-PNH-301: A Phase 3 Study of Danicopan (ALXN2040) as Add-on Therapy to a C5 Inhibitor (Eculizumab or Ravulizumab) in Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Who Have Clinically Evident Extravascular Hemolysis (EVH)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日（Interim CSR）、Safety Update（2023年3月31日カットオフ）	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	評価	有
5.3.5.2　非対照試験報告書								
5.3.5.2-1	[redacted],	ACH471-100: A Phase 2 Open-Label Proof of Concept Study to Assess the Efficacy, Safety, and Pharmacokinetics of ACH-0144471 in Untreated Patients With Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH)	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日（Original）、20[redacted]年[redacted]月[redacted]日（Amendment）	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	—
5.3.5.2-2	[redacted]	ACH471-101: A Phase 2 Open-label Study of ACH-0144471 in Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH) Who Have an Inadequate Response to Eculizumab Monotherapy	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日（Interim CSR）、20[redacted]年[redacted]月[redacted]日（Final CSR）	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	評価	有
5.3.5.2-3	[redacted]	ACH471-103: An Open-label Study to Evaluate Efficacy and Safety of Long-term Treatment with ACH-0144471 in Patients with PNH who Completed Clinical Study ACH471-100	20[redacted]年[redacted]月[redacted]日	Achillion Pharmaceuticals, Inc.	海外	社内資料	参考	—
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	—	ALXN2040-PNH-Integrated Summary of Safety Tables and Listings	—	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	参考	—
5.3.7　患者データ一覧表及び症例記録								
5.3.7.2	—	有害事象が観察された症例の一覧表	—	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	参考	—
5.3.7.3	—	重篤な有害事象が観察された症例の一覧表	—	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	参考	—
5.3.7.4	—	臨床検査値異常変動が観察された症例の一覧表	—	Alexion Pharmaceuticals, Inc.	国内及び海外	社内資料	参考	—
5.4 参考文献								
5.4.1	三谷絹子 他	発作性夜間ヘモグロビン尿症診療の参照ガイド　令和1年改訂版	—	—	—	令和2年（2020年）3月	—	—
5.4.2	Garnett C, et al.	Scientific white paper on concentration-QTc modeling	—	—	—	J Pharmacokinet Pharmacodyn. 2018;45:383-97	—	—
5.4.3	Risitano AM, et al.	Anti-complement treatment for paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: time for proximal complement inhibition? A position paper from the SAAWP of the EBMT	—	—	—	Front Immunol. 2019;10:1157	—	—

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5部（モジュール5）　臨床試験報告書　添付資料一覧								
5.4.4	Shammo J, et al.	Low Rate of Clinically Evident Extravascular Hemolysis in Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Treated with a Complement C5 Inhibitor: Results from a Large, Multicenter, US Real-World Study	—	—	—	J Blood Med. 2022;13:425-37.	—	—
5.4.5	Pascual M, et al.	Metabolism of complement factor D in renal failure	—	—	—	Kidney Int. 1988;34:529-36.	—	—
5.4.6	Nguyen TH, et al.	Model Evaluation of Continuous Data Pharmacometric Models: Metrics and Graphics	—	—	—	CPT Pharmacometrics Syst Pharmacol. 2017;Feb;6(2):87-109.	—	—
5.4.7	Savic RM, et al.	Importance of Shrinkage in Empirical Bayes Estimates for Diagnostics: Problems and Solutions	—	—	—	AAPS J.2009;11(3):558-69	—	—