第5部　臨床試験報告書 添付資料一覧

5.2　臨床試験一覧表

資料番号	タイトル	報告書／文献	国内外別	評価／参考	実施場所
5.2-1	臨床試験一覧	-	国内	評価	日本

5.3　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

資料番号	タイトル	報告書／文献	国内外別	評価／参考	実施場所
5.3.1.4-1	ヒト血清および血漿中のGM-CSF定量法バリデーション試験	[redacted]	国内	評価	[redacted]
5.3.1.4-2	ヒト血清中のGM-CSF高感度定量法バリデーション試験	[redacted]	国内	評価	[redacted]

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

資料番号	タイトル	報告書／文献	国内外別	評価／参考	実施場所
5.3.3.1-1	SK-1401吸入製剤の非盲検薬物動態試験	NTU	国内	評価	日本

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

資料番号	タイトル	報告書／文献	国内外別	評価／参考	実施場所
5.3.5.1-1	自己免疫性肺胞蛋白症に対するSK-1401吸入製剤の多施設共同無作為化二重盲検プラセボ対照並行群間比較試験	PAGE	国内	評価	日本

5.3.5.4　その他の試験報告書

資料番号	タイトル	報告書／文献	国内外別	評価／参考	実施場所
5.3.5.4-1	Inhaled Granulocyte/Macrophage-Colony Stimulating Factor as Therapy for Pulmonary Alveolar Proteinosis	Am J Respir Crit Care Med. 2010;181(12):1345-54.	国内	参考	日本

5.3.7　患者データ一覧表及び症例記録

資料番号	タイトル	報告書／文献	国内外別	評価／参考	実施場所
5.3.7-1	症例一覧表（PAGE試験除く）	-	国内	評価	日本
5.3.7-2	有害事象一覧表	-	国内	評価	日本
5.3.7-3	重篤な有害事象一覧	-	国内	評価	日本
5.3.7-4	臨床検査値異常変動症例一覧表	-	国内	評価	日本
5.3.7-5	臨床検査値変動図（PAGE試験除く）	-	国内	評価	日本

5.4　参考文献

資料番号	タイトル	報告書／文献	国内外別	評価／参考	実施場所
5.4-1	肺胞蛋白症診療ガイドライン2022	日本呼吸器学会	-	参考	-
5.4-2	Characteristics of a large cohort of patients with autoimmune pulmonary alveolar proteinosis in Japan.	Am J Respir Crit Care Med. 2008;177(7):752-62.	-	参考	-
5.4-3	平成22～23年度厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業総合研究報告書『肺胞蛋白症の難治化要因の解明と診断、治療、管理の標準化と指針の確立』班	課題番号 H22-難治-一般-146	-	参考	-
5.4-4	Pulmonary alveolar proteinosis.	N Engl J Med. 2003;349(26):2527-39.	-	参考	-
5.4-5	肺胞蛋白症の病態と治療の最前線	日内会誌. 2015;104(2):314-22.	-	参考	-
5.4-6	Autoimmune pulmonary alveolar proteinosis: treatment options in year 2013.	Respirology. 2013;18(1):82-91.	-	参考	-
5.4-7	Validation of a new serum granulocyte-macrophage colony-stimulating factor autoantibody testing kit.	ERJ Open Res. 2020;6(1).	-	参考	-
5.4-8	Idiopathic pulmonary alveolar proteinosis as an autoimmune disease with neutralizing antibody against granulocyte/macrophage colony-stimulating factor.	J Exp Med. 1999;190(6):875-80.	-	参考	-
5.4-9	Human GM-CSF autoantibodies and reproduction of pulmonary alveolar proteinosis.	N Engl J Med. 2009;361(27):2679-81.	-	参考	-
5.4-10	Exogenous granulocyte-macrophage colony-stimulating factor administration for pulmonary alveolar proteinosis.	Am J Respir Crit Care Med. 2000;161(4 Pt 1):1143-8.	-	参考	-
5.4-11	Therapeutic efficacy of granulocyte-macrophage colony-stimulating factor in patients with idiopathic acquired alveolar proteinosis.	Am J Respir Crit Care Med. 2001;163(2):524-31.	-	参考	-
5.4-12	Granulocyte-macrophage colony-stimulating factor and lung immunity in pulmonary alveolar proteinosis.	Am J Respir Crit Care Med. 2005;171(10):1142-9.	-	参考	-
5.4-13	Outcome of corticosteroid administration in autoimmune pulmonary alveolar proteinosis: a retrospective cohort study.	BMC Pulm Med. 2015;15:88.	-	参考	-
5.4-14	Pulmonary alveolar proteinosis: time to shift?	Expert Rev Respir Med. 2015;9(3):337-49.	-	参考	-

5.4-15	全肺洗浄を施行した自己免疫性肺胞蛋白症8例の手技，効果，安全性の多面的評価	日呼吸会誌. 2011;49(8):569-76.	-	参考	-
5.4-16	Efficacy of granulocyte-macrophage colony-stimulating factor in acquired alveolar proteinosis.	N Engl J Med. 1996;335(25):1924-5.	-	参考	-
5.4-17	An open-label trial of granulocyte macrophage colony stimulating factor therapy for moderate symptomatic pulmonary alveolar proteinosis.	Chest. 2006;130(1):227-37.	-	参考	-
5.4-18	Aerosol granulocyte macrophage-colony stimulating factor: a low toxicity, lung-specific biological therapy in patients with lung metastases.	Clin Cancer Res. 1999;5(9):2316-23.	-	参考	-
5.4-19	Aerosolized GM-CSF improves pulmonary function in idiopathic pulmonary alveolar proteinosis.	Am J Respir Crit Care Med. 2000;161:A889.	-	参考	-
5.4-20	Inhaled granulocyte/macrophage-colony stimulating factor as therapy for pulmonary alveolar proteinosis.	Am J Respir Crit Care Med. 2010;181(12):1345-54.	-	参考	-
5.4-21	Aerosol granulocyte-macrophage colony-stimulating factor for pulmonary alveolar proteinosis.	Eur Respir J. 2006;27(3):585-93.	-	参考	-
5.4-22	Inhaled GM-CSF for Pulmonary Alveolar Proteinosis.	N Engl J Med. 2019;381(10):923-32.	-	参考	-
5.4-23	Assay system development to measure the concentration of sargramostim with high specificity in patients with autoimmune pulmonary alveolar proteinosis after single-dose inhalation.	J Immunol Methods. 2018;460:1-9.	-	参考	-
5.4-24	Leukine®添付文書（2022年）	—	-	参考	-
5.4-25	Long-term inhaled granulocyte macrophage-colony-stimulating factor in autoimmune pulmonary alveolar proteinosis: effectiveness, safety, and lowest effective dose.	Clin Drug Investig. 2014;34(8):553-64.	-	参考	-
5.4-26	自己免疫性肺胞蛋白症に対するGM-CSF吸入薬（SK-1401）吸入治療後の長期経過の調査報告書	—	-	参考	-
5.4-27	Duration of benefit in patients with autoimmune pulmonary alveolar proteinosis after inhaled granulocyte-macrophage colony-stimulating factor therapy.	Chest. 2014;145(4):729-37.	-	参考	-
5.4-28	Inhaled granulocyte-macrophage colony stimulating factor for first pulmonary recurrence of osteosarcoma: effects on disease-free survival and immunomodulation. a report from the Children's Oncology Group.	Clin Cancer Res. 2010;16(15):4024-30.	-	参考	-
5.4-29	Better approach for autoimmune pulmonary alveolar proteinosis treatment: inhaled or subcutaneous granulocyte-macrophage colony-stimulating factor: a meta-analyses.	Respir Res. 2018;19(1):163.	-	参考	-

1.12.2　提出すべき資料がない項目一覧

3.2.R	各極の要求資料
3.3	参考文献
4.2.1.2	副次的薬理試験
4.2.1.3	安全性薬理試験
4.2.1.4	薬力学的薬物相互作用試験
4.2.2.4	代謝
4.2.2.5	排泄
4.2.2.6	薬物動態学的薬物相互作用
4.2.2.7	その他の薬物動態試験
4.2.3.3	遺伝毒性試験
4.2.3.4	がん原性試験
4.2.3.5.4	新生児を用いた試験
4.2.3.6	局所刺激性試験
4.2.3.7	その他の毒性試験
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
5.3.2.1	血漿蛋白結合試験報告書
5.3.2.2	肝代謝及び薬物相互作用試験報告書
5.3.2.3	他のヒト生体試料を用いた試験報告書
5.3.3.2	患者におけるPK及び初期忍容性試験報告書
5.3.3.3	内因性要因を検討したPK試験報告書
5.3.3.4	外因性要因を検討したPK試験報告書
5.3.3.5	ポピュレーションPK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
5.3.4.2	患者におけるPD試験及びPK/PD試験報告書
5.3.5.2	非対照試験報告書
5.3.5.3	複数の試験成績を併せて解析した報告書
5.3.6	市販後の使用経験に関する報告書