クアルソディ髄注 100mg

CTD 第 2 部

2.3 品質に関する概括資料

バイオジェン・ジャパン株式会社

緒言

申請医薬品の販売名、原薬の一般名、企業名、剤形、含量、投与経路及び適応症（効能又は効果）は下表のとおりである。

販売名	クアルソディ®髄注 100 mg
原薬の一般名	トフェルセン
企業名	バイオジェン・ジャパン株式会社
剤形	注射剤
含量	100 mg
投与経路	髄腔内投与
適応症（効能又は効果）	*SOD1* 遺伝子変異を有する筋萎縮性側索硬化症における機能障害の進行抑制

＊「2.3 品質に関する概括資料」を承認情報提供時に置き換え

2.3.S　　原薬

(1) 名称

国際一般名(INN)	tofersen
医薬品一般的名称(JAN)	トフェルセン（tofersen）

(2) 化学名

（日本名）

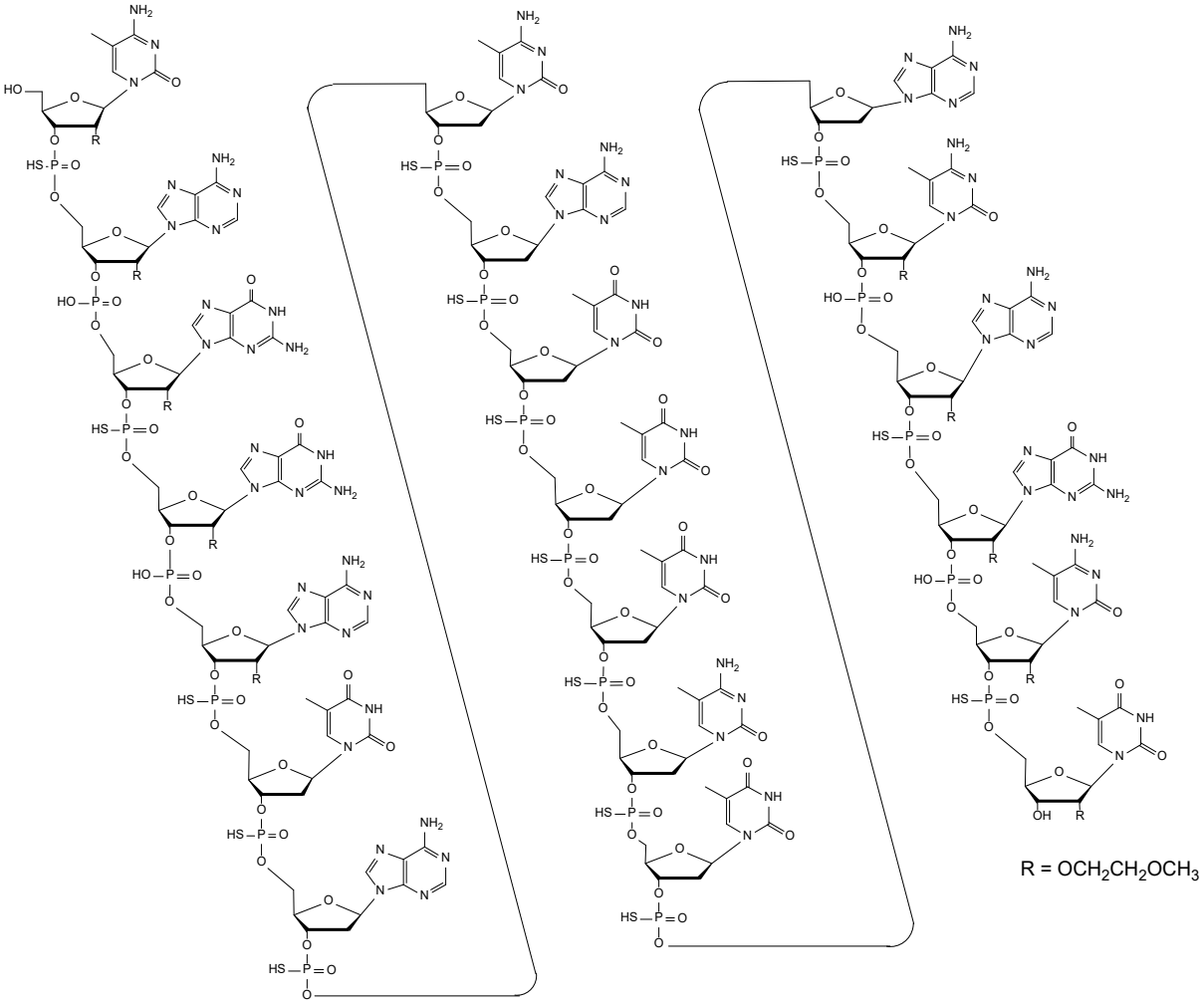
all-P-ambo-2'-*O*-(2-メトキシエチル)-5-メチル-*P*-チオシチジリル-(3'→5')-2'-*O*-(2-メトキシエチル)アデニリル-(3'→5')-2'-*O*-(2-メトキシエチル)-*P*-チオグアニリル-(3'→5')-2'-*O*-(2-メトキシエチル)グアニリル-(3'→5')-2'-*O*-(2-メトキシエチル)-*P*-チオアデニリル-(3'→5')-*P*-チオチミジリル-(3'→5')-2'-デオキシ-*P*-チオアデニリル-(3'→5')-2'-デオキシ-5-メチル-*P*-チオシチジリル-(3'→5')-2'-デオキシ-*P*-チオアデニリル-(3'→5')-*P*-チオチミジリル-(3'→5')-*P*-チオチミジリル-(3'→5')-*P*-チオチミジリル-(3'→5')-2'-デオキシ-5-メチル-*P*-チオシチジリル-(3'→5')-*P*-チオチミジリル-(3'→5')-2'-デオキシ-*P*-チオアデニリル-(3'→5')-2'-*O*-(2-メトキシエチル)-5-メチルシチジリル-(3'→5')-2'-*O*-(2-メトキシエチル)-*P*-チオアデニリル-(3'→5')-2'-*O*-(2-メトキシエチル) グアニリル-(3'→5')-2'-*O*-(2-メトキシエチル)-5-メチル-*P*-チオシチジリル-(3'→5')-2'-*O*-(2-メトキシエチル)-5-メチルウリジン

（英名）

all-P-ambo-2'-*O*-(2-Methoxyethyl)-5-methyl-*P*-thiocytidylyl-(3'→5')-2'-*O*-(2-methoxyethyl)adenylyl-(3'→5')-2'-*O*-(2-methoxyethyl)-*P*-thioguanylyl-(3'→5')-2'-*O*-(2-methoxyethyl)guanylyl-(3'→5')-2'-*O*-(2-methoxyethyl)-*P*-thioadenylyl-(3'→5')-*P*-thiothymidylyl-(3'→5')-2'-deoxy-*P*-thioadenylyl-(3'→5')-2'-deoxy-5-methyl-*P*-thiocytidylyl-(3'→5')-2'-deoxy-*P*-thioadenylyl-(3'→5')-*P*-thiothymidylyl-(3'→5')-*P*-thiothymidylyl-(3'→5')-*P*-thiothymidylyl-(3'→5')-2'-deoxy-5-methyl-*P*-thiocytidylyl-(3'→5')-*P*-thiothymidylyl-(3'→5')-2'-deoxy-*P*-thioadenylyl-(3'→5')-2'-*O*-(2-methoxyethyl)-5-methylcytidylyl-(3'→5')-2'-*O*-(2-methoxyethyl)-*P*-thioadenylyl-(3'→5')-2'-*O*-(2-methoxyethyl)guanylyl-(3'→5')-2'-*O*-(2-methoxyethyl)-5-methyl-*P*-thiocytidylyl-(3'→5')-2'-*O*-(2-methoxyethyl)-5-methyluridine

＊「2.3 品質に関する概括資料」を承認情報提供時に置き換え

(3) 構造式、分子式及び分子量



分子式：$C_{230}H_{317}N_{72}O_{123}P_{19}S_{15}$

分子量：7127.86

(4) 物理的化学的特性

性状：無色～微黄色を呈する澄明な液である。

＊「2.3 品質に関する概括資料」を承認情報提供時に置き換え

(5) 安定性

原薬の安定性試験の概要は表のとおりであり、結果は安定であった。また、光安定性試験の結果、光に不安定であった。

トフェルセンの安定性試験

試験名	基準ロット	温度	湿度	保存形態	保存期間
長期保存試験	実生産 4 ロット	5±3℃	成り行き湿度	低密度ポリエチレン製 無菌バッグ	36 カ月
加速試験	実生産 4 ロット	25±2℃	60±5%RH		6 カ月

＊「2.3 品質に関する概括資料」を承認情報提供時に置き換え

2.3.P　　製剤

(1) 製剤処方

成分		1 バイアル（15 mL 中）
有効成分	トフェルセン	100 mg
添加剤	リン酸二水素ナトリウム水和物	0.45 mg
	無水リン酸一水素ナトリウム	1.65 mg
	塩化ナトリウム	132 mg
	塩化カリウム	3.30 mg
	塩化カルシウム水和物	3.15 mg
	塩化マグネシウム	2.40 mg
	注射用水	適量

(2) 製剤の性状等

剤形	注射剤
性状	無色～微黄色を呈する澄明な液である。

(3) 安定性

本剤の主な安定性試験の概要は表のとおりであり、結果は安定であった。また、光安定性試験の結果、光に不安定であった。

クアルソディ髄注 100 mg の安定性試験

試験名	基準ロット	温度	湿度	保存形態	保存期間
長期保存試験	実生産 4 ロット	5±3℃	成り行き湿度	ガラスバイアル＋塩化ブチルゴム栓及びフリップオフキャップ付きアルミニウムシール	36 カ月
加速試験	実生産 4 ロット	25±2℃	60±5%RH		12 カ月

＊「2.3 品質に関する概括資料」を承認情報提供時に置き換え