エムパベリ皮下注 1080 mg

＜ペグセタコプラン皮下注製剤＞

第 2 部（モジュール 2）
CTD の概要（サマリー）

2.2　緒言

Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社

Property of the SOBI group - strictly confidential

目次

2.2 緒言.....3

表目次

表 2.2-1 申請効能・効果及び用法・用量.....4

2.2 緒言

ペグセタコプラン(製品名:エムパベリ皮下注 1080 mg)は、ポリエチレングリコール(PEG)化ペプチドで、補体 C3 タンパク質及びその活性化断片 C3b に結合し、C3 の開裂及び補体活性化の下流エフェクターの生成を阻害する補体（C3）阻害剤である。

ペグセタコプランは「成人の発作性夜間ヘモグロビン尿症患者の治療」の適応で 2021 年 5 月に米国で初めて承認され、2026 年 4 月現在、「発作性夜間ヘモグロビン尿症」に係る効能・効果で、16 の国又は地域で承認されている。本邦では 2023 年 3 月に「発作性夜間ヘモグロビン尿症」を効能・効果として製造販売承認を取得している。また、2025 年 7 月に米国で「成人及び 12 歳以上の小児 C3 腎症又は一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎患者の蛋白尿減少の治療」の適応で承認され、「C3 腎症、一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎」に係る効能・効果については、2026 年 4 月現在、10 の国又は地域で承認されている。

今般、日本人を含む C3 腎症又は一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎の患者を対象とした、ペグセタコプランの有効性及び安全性を検討する第 3 相、無作為化、プラセボ対照、二重盲検、国際多施設共同試験（APL2-C3G-310 試験）において良好な結果が得られたことから、承認事項一部変更承認申請を行うに至った。

また、ペグセタコプランは 2025 年 5 月 30 日に「C3 腎症、一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎」を予定される効能又は効果として、希少疾病用医薬品に指定されている［指定番号：(R7 薬）第 692 号］。

表 2.2-1 申請効能・効果及び用法・用量

<table>
<tr><td>申請区分</td><td>医療用医薬品（4）新効能医薬品及び（6）新用量医薬品</td></tr>
<tr><td>申請効能・効果*</td><td>○発作性夜間ヘモグロビン尿症
○C3腎症、一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎</td></tr>
<tr><td>申請用法・用量*</td><td>〈発作性夜間ヘモグロビン尿症〉
通常、成人には、ペグセタコプランとして1回1080mgを週2回皮下投与する。なお、十分な効果が得られない場合には、1回1080mgを3日に1回の間隔で皮下投与することができる。
〈C3腎症、一次性免疫複合体型膜性増殖性糸球体腎炎〉
通常、18歳以上の患者にはペグセタコプランとして1回1080mgを週2回皮下投与する。
通常、12歳以上18歳未満の患者にはペグセタコプランとして体重に基づいて下表に示す投与量を週2回皮下投与する。
投与量換算表
<table>
<tr><th>体重</th><th>初回投与量</th><th>2回目投与量</th><th>3回目以降投与量</th></tr>
<tr><td>50kg以上</td><td>1080mg</td><td>1080mg</td><td>1080mg</td></tr>
<tr><td>35kg以上
50kg未満</td><td>648mg</td><td>810mg</td><td>810mg</td></tr>
<tr><td>30kg以上
35kg未満</td><td>540mg</td><td>540mg</td><td>648mg</td></tr>
</table>
</td></tr>
</table>

*：下線部を追加