

ガラフォルド[®]カプセル123mg

製造販売業者: アミカス・セラピューティクス株式会社

本資料について: 本剤は2022年12月23日に12歳以上の小児に使用する際の用法・用量の追加が認められました。その内容を主にお知らせするために作成したものです。

品目概要

- ◆ ファブリー病の治療薬です。
 - ・ 添付文書の効能・効果は「ミガーラスタットに反応性のあるGLA遺伝子変異を伴うファブリー病」とされています。
 - ・ 本剤に反応性のあるGLA遺伝子変異を持つ患者さんにのみ投与されます。
- ◆ 1日1カプセルを、2日に1回内服します。
 - ・ 食事の前後2時間は、本剤は内服しないようにしてください。

安全性について

- ◆ 今回実施された小児を対象とした臨床試験では、これまでと同様、頭痛、吐き気・嘔吐(おうと)、錯感覚^{注1)}などの副作用が認められています。気になる症状がありましたら、医療機関に連絡してください。



頭痛



吐き気・嘔吐
おうと



錯感覚^{注1)}

注1) 軽く触れるだけでびりびりする症状

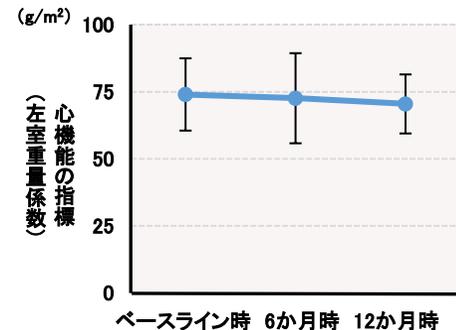
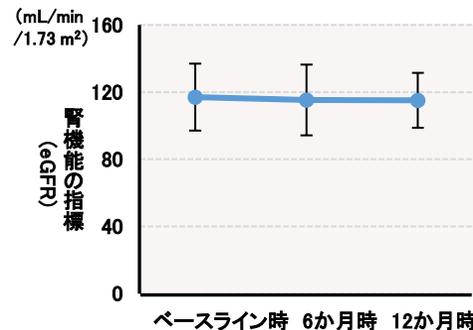
- ◆ 本剤は対象の患者さんが非常に少ないため、一定のデータ集積まで、この薬を使用された患者さん全員を対象とした調査が行われています。
- ◆ 長期間投与における安全性と腎機能障害のある患者さんにおける安全性は、まだ十分明らかになっておりませんので、上記調査において、併せて確認することになっています。



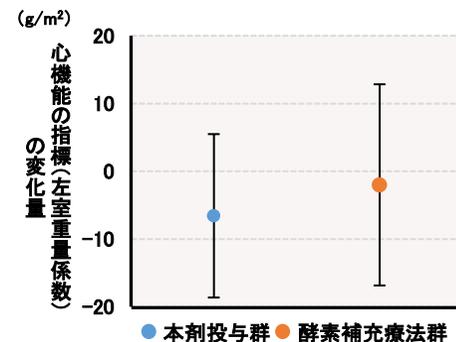
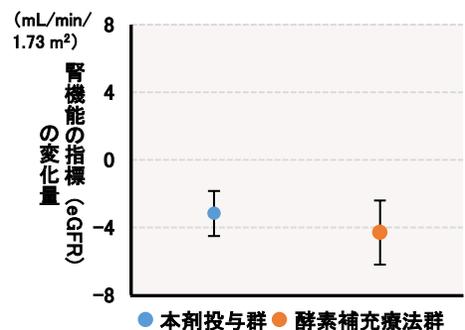
有効性について

- ◆ 今回の小児の用法・用量の追加の根拠になった、12歳～18歳の患者さんを対象とした臨床試験で、腎機能・心機能^{注2)}の維持効果が認められました。

注2) 腎機能の指標であるeGFR、心機能の指標である左室重量係数を用いて検討されました。



- ◆ また、これまで酵素補充療法を受けていた16歳～74歳の患者さんを対象とした臨床試験では、酵素補充療法と同程度の腎機能・心機能^{注2)}の維持効果が認められています。



- ◆ 本剤と酵素補充療法を併用したときの有効性は確認されていません。

- この資料は、医薬品の有効性・安全性情報を簡潔にまとめ、医薬品の適正使用の推進や、患者さん参画型安全対策の発展・向上を目的として、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)と、日本ライゾゾーム病患者家族会協議会(患者会)が連携し、共同で作成したものです。
- 医薬品の情報収集には、添付文書等も参考にしてください。
PMDA 医療用医薬品添付文書等検索 <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/>
- 資料に対するご意見等は、患者会でまとめてPMDAIに連絡しています。
下記連絡先までお伝えください。
<連絡先> 電話/FAX: 03-5786-1551 e-mail: post@j-isd.com