

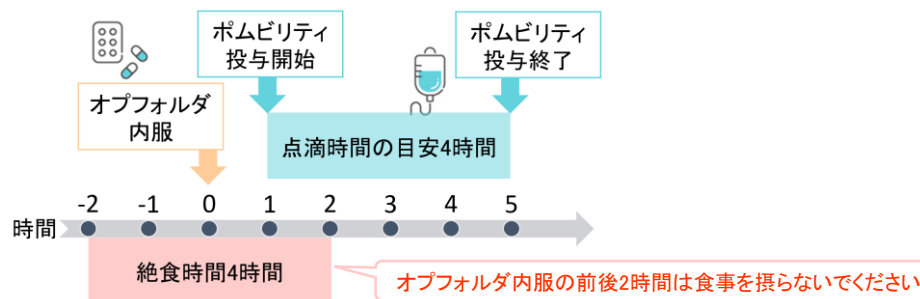
ポムビリティ[®]点滴静注用105mg オブフォルダ[®]カプセル65mg

製造販売業者: アミカス・セラピューティクス株式会社

品目概要

◆ 遅発型ポンペ病の治療薬です。

- ポムビリティはヒト酸性 α -グルコシダーゼ遺伝子組換え製剤、オブフォルダはポムビリティの酵素安定化剤です。
- オブフォルダ(カプセル)を内服してから1時間後、ポムビリティ(点滴静脈注射)の投与を開始します。2週間に1回、本併用療法は行われます。



- 体重や腎機能に応じて、服用するオブフォルダのカプセル数は調整されます。

- ◆ 妊婦又は妊娠している可能性のある女性には使用できません。本併用療法中及び最終投与後2週間は避妊する必要があります。
- ◆ 本併用療法を実施された患者さん全員を対象とした調査を行い、長期間投与における安全性及び有効性に関する情報を収集します。

➢ 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、日本ライソゾーム病患者家族会協議会、全国ポンペ病患者と家族の会(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/>

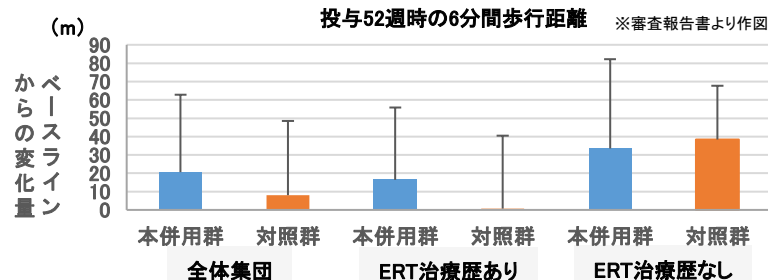
➢ 資料に対するご意見等は、患者会でまとめてPMDAに連絡しています。

下記お問い合わせフォームよりご連絡ください。

<URL> https://pompe-family.com/contact_us.php

有効性について

- ◆ 臨床試験で6分間歩行距離のベースラインからの変化量でみた本併用療法の効果は、全体集団では、対照群^{注1)}と比べて差はありませんでしたが、酵素補充療法(ERT)の治療歴のある患者さんにおいては、対照群と比較して効果が大きい傾向が示されています。また、ERT治療歴のない患者さんにおいても、対照群と比較して大きく劣ることなく、ベースラインから改善する傾向が認められています。 注1) ERTの従来の治療薬であるアルグルコシダーゼ アルファ(遺伝子組換え)とプラセボ



- ◆ 本併用療法はポンペ病の酵素補充療法における選択肢の1つとなります。

安全性について

- ◆ 重度のインフュージョンリアクションや、アナフィラキシーというアレルギーのような症状が、点滴中や点滴終了後数時間以内にまれにみられることがあり、代表的な症状は、以下のとおりです。



このような場合には、速やかに医師や看護師に連絡してください。

- ◆ また、本併用療法の臨床試験では、頭痛、下痢なども認められています。在宅中でも、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。