

貯法：遮光下、2～8℃で保存
有効期間：24ヵ月

承認番号	30500AMX00117000
販売開始	2023年9月

補体(C3)阻害剤
ペグセタコプラシド皮下注製剤

劇薬、処方箋医薬品^(注)

エムパベリ[®]皮下注1080mg
EMPAVELI[®] for Subcutaneous Injection

(注)注意 - 医師等の処方箋により使用すること

1. 警告

- 1.1 本剤は補体経路を阻害するため、髄膜炎菌、肺炎球菌、インフルエンザ菌等の莢膜形成細菌による重篤な感染症を発症することがあり、特に髄膜炎菌感染症は急激に重症化し、死亡に至るおそれもあるため、以下の点に十分注意すること。[5.2、11.1.1、11.1.2参照]
 - 1.1.1 本剤の投与に際しては、髄膜炎菌等による感染症の初期徴候（発熱、頭痛、項部硬直等）に注意して観察を十分に行い、髄膜炎菌等の感染症が疑われた場合には、直ちに診察し、抗菌剤の投与等の適切な処置を行うこと。
 - 1.1.2 髄膜炎菌、肺炎球菌及びインフルエンザ菌b型に対するワクチンの接種歴を確認し、未接種又は追加接種が必要な場合は、原則、本剤投与前にワクチンを接種すること。必要に応じて、本剤投与中のワクチンの追加接種を考慮すること。
 - 1.1.3 髄膜炎菌感染症は致命的な経過をたどることがあるので、緊急時に十分に措置できる医療施設及び医師のもとで、あるいは髄膜炎菌感染症の診断及び治療が可能な医療施設との連携下で投与すること。
 - 1.1.4 髄膜炎菌等の感染症のリスクについて患者に説明し、感染症の初期徴候を確実に理解させ、感染症に関連する症状が発現した場合には、主治医に連絡するよう患者に注意を与えること。
- 1.2 発作性夜間ヘモグロビン尿症に十分な知識を持つ医師のもとで、治療上の有益性が危険性を上回ると判断される場合にのみ投与すること。また、本剤投与開始に先立ち、本剤は疾病を完治させる薬剤ではないことを含め、本剤の有効性及び危険性を患者又はその家族に十分説明し、同意を得てから投与すること。

2. 禁忌（次の患者には投与しないこと）

- 2.1 髄膜炎菌感染症に罹患している患者〔症状を悪化させるおそれがある。〕[11.1.2参照]
- 2.2 肺炎球菌、インフルエンザ菌等の莢膜形成細菌による重篤な感染症に罹患している患者〔症状を悪化させるおそれがある。〕[11.1.1参照]
- 2.3 本剤の成分に対し過敏症の既往歴のある患者 [11.1.3参照]

3. 組成・性状

3.1 組成

1 バイアル（20mL）中

販売名	エムパベリ皮下注1080mg	
有効成分	ペグセタコプラシド	1080mg
添加剤	ソルビトール	820mg
	水酢酸	7.7mg
	酢酸ナトリウム三水合物	9.8mg
	注射用水	適量

3.2 製剤の性状

販売名	エムパベリ皮下注1080mg	
剤形	注射剤（バイアル）	
外観	無色～微黄色澄明な液	
pH	約5.0	
浸透圧比 （日局生理食塩液に対する比）	約1	

4. 効能又は効果

発作性夜間ヘモグロビン尿症

5. 効能又は効果に関連する注意

- 5.1 補体（C5）阻害剤による適切な治療を行っても、十分な効果が得られない場合に投与すること。
- 5.2 本剤は、補体C3及びC3bに結合し、補体経路を阻害するため、髄膜炎菌、肺炎球菌及びインフルエンザ菌をはじめとする莢膜形成細菌による感染症を発症しやすくなる可能性があることから、本剤の有効性及び安全性を十分に理解した上で、本剤投与の是非を慎重に検討し、適切な対象患者に使用すること。また、本剤投与に際しては、髄膜炎菌、肺炎球菌及びインフルエンザ菌b型に対するワクチンの接種歴を確認し、未接種又は追加接種が必要な場合は、原則、本剤投与開始の少なくとも2週間前までにそれらのワクチンを接種すること。[1.1、11.1.1、11.1.2、17.1.1参照]

6. 用法及び用量

通常、成人には、ペグセタコプラシドとして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。

7. 用法及び用量に関連する注意

- 7.1 補体（C5）阻害剤から本剤に切り替える際は、補体（C5）阻害剤中止による溶血を抑えるため、本剤投与開始後4週間は補体（C5）阻害剤を併用すること。
- 7.2 投与を忘れた場合は、気づいた時点で速やかに本剤を投与し、その後はあらかじめ定めた投与日に投与すること。

8. 重要な基本的注意

- 8.1 本剤を中止した場合に重篤な溶血があらわれるおそれがある。本剤の投与を中止した患者に対しては、最低8週間、溶血及びそれに付随する臨床症状の変化を注意深く観察し、必要に応じて適切な処置を行うこと。
- 8.2 本剤の投与開始にあたっては、医療施設において、必ず医師によるか、医師の直接の監督の下で投与を行うこと。自己投与の適用については、医師がその妥当性を慎重に検討し、投与方法等について十分な教育訓練を実施した後、本剤投与による危険性と対処法について患者が理解し、患者自ら確実に投与できることを確認した上で、医師の管理指導の下で実施すること。自己投与の適用後、感染症等の本剤による副作用が疑われる場合や自己投与の継続が困難な状況となる可能性がある場合には、直ちに自己投与を中止させ、医師の管理下で慎重に観察するなど適切な処置を行うこと。また、本剤投与後に副作用の発現が疑われる場合は、医療施設へ連絡するよう患者に指導を行うこと。使用済みの注射器等を再使用しないよう患者に注意を促し、すべての器具の安全な廃棄方法に関する指導を行うと同時に、使用済みの注射器等を廃棄する容器を提供すること。

9. 特定の背景を有する患者に関する注意

9.1 合併症・既往歴等のある患者

9.1.1 髄膜炎菌感染症の既往のある患者

髄膜炎菌感染症に罹患しやすくなるおそれがある。

9.1.2 感染症の患者又は感染症が疑われる患者

特に莢膜形成細菌（髄膜炎菌、肺炎球菌、インフルエンザ菌等）による感染症に罹患しやすくなるおそれがある。

9.4 生殖能を有する者

妊娠可能な女性には、本剤投与中及び投与終了後一定期間は適切な避妊を行うよう指導すること。[9.5参照]

9.5 妊婦

妊婦又は妊娠している可能性のある女性には、治療上の有益性が危険性を上回ると判断される場合にのみ投与すること。妊娠カニクイザルに本剤28mg/kg/日（ヒトの定常状態におけるC_{max}の2.5倍）を皮下投与したとき、流産及び死産が増加した。サルで胎児への移行が認められている¹⁾。[9.4参照]

9.6 授乳婦

治療上の有益性及び母乳栄養の有益性を考慮し、授乳の継続又は中止を検討すること。サルで乳汁移行が認められている¹⁾。

9.7 小児等

小児等を対象とした有効性及び安全性を指標とした臨床試験は実施していない。

11. 副作用

次の副作用があらわれることがあるので、観察を十分に行い、異常が認められた場合には投与を中止するなど適切な処置を行うこと。

11.1 重大な副作用

11.1.1 感染症（頻度不明）

肺炎球菌、インフルエンザ菌等の莢膜形成細菌による重篤な感染症があらわれることがある。[1.1、2.2、5.2参照]

11.1.2 髄膜炎菌感染症（頻度不明）

髄膜炎又は敗血症を発症し、急速に生命を脅かす、あるいは死亡に至るおそれがある。本剤の投与に際しては、当該感染症の初期徴候（発熱、頭痛、項部硬直、羞明、精神状態の変化、痙攣、悪心・嘔吐、紫斑、点状出血等）等の観察を十分に行うこと。髄膜炎菌感染症が疑われた場合には、直ちに診察し、抗菌剤の投与等の適切な処置を行うこと。[1.1、2.1、5.2参照]

11.1.3 過敏症（2.5%）

アナフィラキシー等の重度の過敏症があらわれることがある。[2.3参照]

11.2 その他の副作用

器官別大分類	10%以上	5-10%	5%未満
胃腸障害			下痢
一般・全身障害および投与部位の状態	注射部位紅斑	注射部位硬結、注射部位そう痒感、注射部位腫脹、注射部位反応	注射部位疼痛、注射部位内出血
免疫系障害			過敏症 ^{注)}

注) 紅斑、機械性蕁麻疹、そう痒症

12. 臨床検査結果に及ぼす影響

凝固検査パネルにシリカ試薬を使用すると、本剤との間に干渉作用が生じ、見かけ上、活性化部分トロンボプラスチン時間（aPTT）が延長するおそれがある。凝固検査パネルにはシリカ試薬を使用しないこと。

14. 適用上の注意

14.1 薬剤調製時の注意

14.1.1 投与前に、微粒子、変色がないか目視にて確認し、異常が認められた場合は使用しないこと。

14.2 薬剤投与時の注意

14.2.1 注入部位は、腹部、大腿部、臀部、上腕部とし、順次変更すること。皮膚が敏感な部位、皮膚に異常のある部位（傷、発赤、硬結等）には注射しないこと。

14.2.2 注入部位が2カ所の場合は、注入部位の間隔を8cm以上あけること。

14.2.3 シリンジポンプを用いて、約15～30分（注入部位が2カ所の場合）又は約30～60分（注入部位が1カ所の場合）かけて注入すること。シリンジに本剤を充填後、直ちに注入を開始すること。薬剤の調製開始後2時間以内に投与を完了すること。

14.3 薬剤交付時の注意

14.3.1 患者が家庭で保存する場合には、冷蔵庫内（2～8℃）で保存し、使用期限を超えない範囲で使用できるよう指導すること。

15. その他の注意

15.1 臨床使用に基づく情報

国際共同第Ⅲ相試験において、本剤に対する抗体の産生が報告されている²⁾。[17.3.1参照]

15.2 非臨床試験に基づく情報

ウサギ及びカニクイザルを用いた反復投与毒性試験において、本剤の臨床最大用量投与時の0.06倍及び1.27倍の曝露量で、全身の器官・組織のマクロファージの空胞化、脳脈絡叢及び滑膜の上皮細胞の空胞化、並びに腎臓の尿細管変性が認められた。これらの空胞化形成は、長鎖ポリエチレングリコール（PEG）の蓄積に関連した変化と考えられ、回復性があり機能障害は認められなかった。また、腎臓の尿細管変性について、腎機能障害の徴候は認められず、臨床的意義及び機能的影響は不明である^{3),4)}。

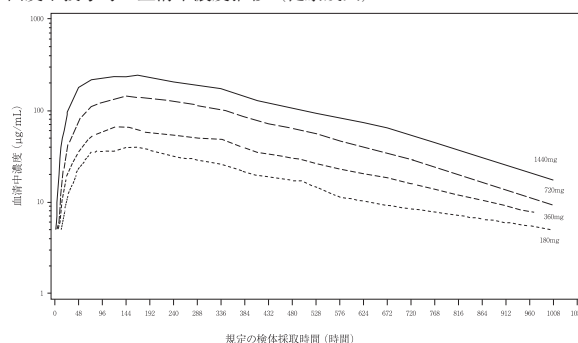
16. 薬物動態

16.1 血中濃度

16.1.1 単回投与

日本人健康被験者16例に本剤180～1440mg^{注)}を単回皮下投与したときのベグセタコプランの血清中濃度推移及び薬物動態パラメータは以下のとおりであった。また、曝露量は概ね用量比例的に増加した⁵⁾。

単回皮下投与時の血清中濃度推移（健康成人）



定量限界未満の値 (<5µg/mL)は5µg/mLとした。

単回皮下投与時の薬物動態パラメータ（健康成人）

本剤の用量 (mg)	例数	C _{max} (µg/mL)	t _{max} ^{a)} (h)	AUC _{0-∞} (µg·h/mL)	t _{1/2} ^{a)} (h)	CL/F (mL/h)	V _d /F (L)
180	4	40 (11.6)	144 (120, 168)	18,380 (8.9)	240.9 (211, 268)	9.8 (9.5)	3.38 (15.1)
360	4	63 (26.5)	192 (120, 241)	31,980 (11.7)	246 (233, 257)	11.3 (12.8)	3.98 (16.0)
720	4	146 (6.4)	132 (120, 168)	67,150 (11.1)	226 (90, 287)	10.7 (11.4)	2.94 (33.2)
1440	4	242 (25.6)	156 (72, 168)	113,700 (20.9)	211 (197, 244)	12.7 (23.0)	3.93 (19.3)

幾何平均値（幾何変動係数%）

a) 中央値（最小値、最大値）

16.1.2 反復投与

(1) 健康成人

外国人健康被験者16例に本剤30～270mg^{注)}を1日1回皮下投与したときのベグセタコプランの薬物動態パラメータは以下のとおりであった⁶⁾（外国人データ）。

1日1回反復皮下投与時の薬物動態パラメータ（健康成人）

測定時点	本剤の用量 (mg/日)	例数	C _{max} (µg/mL)	t _{max} ^{a)} (h)	AUC _{0-24h} (µg·h/mL)	t _{1/2} (h)	CL/F (mL/h)
1日目	30	4	1.7 (104)	24 (24, 24)	18 (119)	—	—
	90	4	3.5 (69)	24 (24, 24)	36 (73)	—	—
	180	4	6.9 (25)	24 (24, 24)	73 (24)	—	—
	270	4	17 (37)	24 (24, 24)	189 (57)	—	—
28日目	30	4	77 (7.1)	3 (1, 8)	1,654 (8.5)	198 (13)	18 (8.5)
	90	4	256 (19)	24 (2, 24)	5,741 (18)	237 (10) ^{b)}	16 (18)
	180	4	470 (13)	14 (2, 24)	10,170 (9.4)	211 (16) ^{b)}	18 (9.4)
	270	4	646 (31)	8 (1, 24)	13,020 (13.4)	204 (12)	21 (13)

幾何平均値（幾何変動係数%）、—：算出せず

a) 中央値（最小値、最大値）

b) 3例

(2) 発作性夜間ヘモグロビン尿症患者

エクリズマブ（遺伝子組換え）の効果が不十分な発作性夜間ヘモグロビン尿症患者80例（日本人患者10例を含む）に本剤1080mgを週2回皮下投与したときのベグセタコプランの血清中トラフ濃度は以下のとおりであり、初回投与から約4～6週間後に定常状態に達し、48週目まで維持された²⁾。

週2回反復皮下投与時の血清中トラフ濃度（ $\mu\text{g}/\text{mL}$ ）

（発作性夜間ヘモグロビン尿症患者）

		本剤群	エクリズマブ群
導入期	-3週 (Day -21)	272 ± 65 (39例) ^{b)}	267 ± 72 (38例) ^{b)}
	-2週 (Day -14)	436 ± 86 (41例) ^{b)}	430 ± 96 (39例) ^{b)}
無作為化期	1日 (Day 1) ^{a)}	594 ± 106 (41例) ^{b)}	588 ± 111 (37例) ^{b)}
	2週 (Day 14)	666 ± 118 (41例)	— ^{c)}
	4週 (Day 28)	676 ± 115 (40例)	— ^{c)}
	6週 (Day 42)	677 ± 132 (39例)	— ^{c)}
	8週 (Day 56)	692 ± 106 (37例)	— ^{c)}
	12週 (Day 84)	708 ± 124 (38例)	— ^{c)}
継続期	16週 (Day 112)	714 ± 109 (36例)	— ^{c)}
	24週 (Day 168)	667 ± 173 (37例)	668 ± 141 (38例) ^{d)}
	48週 (Day 336)	660 ± 193 (22例)	627 ± 178 (18例) ^{d)}

平均値 ± 標準偏差（例数）、—：該当せず

a) 無作為化期の治療薬投与前

b) 本剤及びエクリズマブを併用投与

c) エクリズマブを投与

d) 本剤を投与

16.1.3 母集団薬物動態解析

外国人及び日本人の健康成人、外国人腎機能障害患者並びに外国人及び日本人の発作性夜間ヘモグロビン尿症患者239例から得られた血清中ベグセタコプランの濃度データ（3,734時点）を用いて母集団薬物動態解析を行った。健康成人及び発作性夜間ヘモグロビン尿症患者に本剤を1日1回、週に2回又は3日に1回反復皮下投与したときのベグセタコプランの血清中薬物動態パラメータは以下のとおりであった⁷⁾。

反復皮下投与時の血清中薬物動態パラメータ（推定値）

（健康成人及び発作性夜間ヘモグロビン尿症患者）

本剤の投与レジメン	対象	$C_{\text{max, ss}}$ ($\mu\text{g}/\text{mL}$)	$AUC_{\text{week, ss}}$ ($\mu\text{g} \cdot \text{h}/\text{mL}$)	$t_{1/2}^{\beta}$ (h)	CL (L/day)	V2 (L)
270mg 1日1回	健康成人	766 (23)	128,589 (23)	10 (18)	0.270 (21)	3.9 (24)
	PNH患者	566 (26)	95,009 (26)	7.5 (20)	0.366 (24)	3.9 (30)
360mg 1日1回	健康成人	1,021 (23)	171,452 (23)	10 (18)	0.270 (21)	3.9 (24)
	PNH患者	755 (26)	126,679 (26)	7.5 (20)	0.366 (24)	3.9 (30)
1080mg 週2回	健康成人	904 (24)	147,549 (24)	10 (19)	0.269 (22)	3.9 (26)
	PNH患者	671 (28)	108,541 (28)	7.4 (21)	0.366 (25)	3.9 (31)
1080mg 3日に1回	健康成人	1,026 (23)	164,681 (24)	10 (18)	0.272 (21)	3.9 (26)
	PNH患者	765 (27)	120,808 (27)	7.4 (21)	0.366 (24)	3.9 (31)

PNH=発作性夜間ヘモグロビン尿症

1,000例の幾何平均値（幾何変動係数%）

a) $\ln(2) / (\text{投与16週時点のCL}/V2)$

16.3 分布

母集団薬物動態解析の結果、発作性夜間ヘモグロビン尿症患者におけるベグセタコプランの分布容積の平均値（幾何変動係数%）は約3.9L（35%）であった⁷⁾。

16.4 代謝

ベグセタコプランは、そのPEG化ペプチド構造により異化経路を介してペプチドやアミノ酸に分解されると考えられる⁸⁾。

16.5 排泄

母集団薬物動態解析の結果、発作性夜間ヘモグロビン尿症患者に本剤を反復皮下投与したとき、クリアランスの推定平均値（幾何変動係数%）は0.015L/時間（28%）、消失の有効半減期（ $t_{1/2}$ ）の中央値は8.0日であった⁷⁾。また、カニクイザルを用いた放射性標識体試験の結果から、標識ペプチド部分の排泄の主要経路は尿中排泄であることが示唆された⁹⁾。

16.6 特定の背景を有する患者

16.6.1 腎機能障害患者

重度の腎機能障害患者8例（クレアチニンクリアランスが $30\text{mL}/\text{分}$ 未満）に本剤270mg^{注1)}を単回皮下投与したときのベグセタコプランの C_{max} 及び $AUC_{0-\text{inf}}$

は対照被験者（クレアチニンクリアランスが $60\text{mL}/\text{分}$ 以上等）と概ね同様であった¹⁰⁾（外国人データ）。

16.6.2 肝機能障害患者

肝機能障害患者におけるベグセタコプランの薬物動態に関する検討は行っていない。ベグセタコプランは主に異化経路を介して消失することから、肝機能障害がベグセタコプランのクリアランスに影響しないと考えられる。

16.7 薬物相互作用

薬物相互作用を検討した臨床試験は実施されていない。ベグセタコプランはCYP450の阻害及び誘導を引き起こさないことが示された（*in vitro*）。また、ベグセタコプランはP糖タンパク質（P-gp）及び乳がん耐性蛋白質（BCRP）の基質や阻害剤ではないことが示された（*in vitro*）¹¹⁾。

注) 本剤の用法及び用量は、ベグセタコプランとして1回1080mgを週2回皮下投与である。

17. 臨床成績

17.1 有効性及び安全性に関する試験

*** 17.1.1 国際共同第Ⅲ相試験（APL2-302試験）**

エクリズマブ（遺伝子組換え）による治療を行ってもヘモグロビン（Hb）値が $10.5\text{g}/\text{dL}$ 未満である発作性夜間ヘモグロビン尿症患者（総症例80例、日本人10例を含む）を対象とした多施設共同無作為化非盲検実薬対照並行群間比較試験が実施された。なお、髄膜炎菌、肺炎球菌及びインフルエンザ菌b型に対するワクチンの接種（いずれも1回0.5mL）を必須とした。また、医師の判断で抗菌薬の予防投与も可能とされた。[5.2参照]

本剤の用法・用量は、1回1080mgを週2回皮下投与し、乳酸脱水素酵素（LDH）値が正常値上限の2倍超の場合は投与間隔を3日に1回とすることが可能とされた。試験は4週間の導入投与期間（本剤とエクリズマブ（遺伝子組換え）を併用投与）、16週間の無作為化投与期間（本剤又はエクリズマブ（遺伝子組換え）を投与）及び32週間の非盲検投与期間（本剤を投与、ただし、無作為化投与期間でエクリズマブ（遺伝子組換え）が投与されていた症例は4週間は投与を継続）で構成された。

主要評価項目である無作為化投与期間の16週時点のHb値のベースラインからの変化量は以下のとおりであり、本剤群のエクリズマブ（遺伝子組換え）群に対する優越性が示された。

	本剤群 (41例)	エクリズマブ群 (39例)
ベースライン ^{a)} のHb値 (平均値 ± 標準偏差)	8.69 ± 1.08	8.68 ± 0.89
16週時点のHb値のベースラインからの変化量 ^{b)} (平均値 ± 標準偏差 (評価例数))	2.79 ± 2.03 (36例)	0.03 ± 0.44 (6例)
16週時点のHb値のベースラインからの変化量 ^{c)} (最小二乗平均値 ± 標準誤差)	2.37 ± 0.36	-1.47 ± 0.67
群間差 (本剤群 - エクリズマブ群) [95%信頼区間] ^{d)}	3.84 [2.33, 5.34]	
p値 ^{d)}	<0.0001	

Hb値 (g/dL)

a) 導入期開始時点

b) 被験者が輸血を受けた場合、輸血後のすべてのデータを欠測として取り扱った

c) 投与群、評価時点、投与群と評価時点の交互作用及び層別変数（治療開始前1年間の濃厚赤血球輸血回数 [4回未満、4回以上] とベースラインの血小板数 [100,000/mm³未満、100,000/mm³以上]）を固定効果、ベースラインのHb値を共変量、被験者を変量効果とした反復測定混合効果モデル、被験者内相関に無構造の共分散行列を仮定、輸血による打ち切りあり

d) 両側有意水準5%

副作用は、導入投与期間で53.8%（43/80例）、無作為化投与期間の本剤群で34.1%（14/41例）、非盲検投与期間で46.8%（36/77例）に認められ、主な副作用は、注射部位紅斑（導入投与期間、無作為化投与期間の本剤群、非盲検投与期間でそれぞれ27.5%、14.6%、13.0%）、注射部位腫脹（同11.3%、9.8%、1.3%）、注射部位そう痒感（同11.3%、2.4%、6.5%）であった²⁾。

17.3 その他

17.3.1 免疫原性

発作性夜間ヘモグロビン尿症患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（APL2-302試験）において、本剤が投与された患者（総症例80例、日本人10例を含む）のうち、抗ベグセタコプラン ペプチド抗体産生が検出された患者の割合は2.5%（2/80例、日本人は0例）であった²⁾。[15.1参照]

18. 薬効薬理

18.1 作用機序

ベグセタコプランは、補体C3タンパク質及びC3bに高親和性で結合し、C3の開裂、補体活性化の下流エフェクターの生成及び膜侵襲複合体（MAC）生成を阻害する。その結果、ベグセタコプランは発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における血管外溶血及び血管内溶血を抑制する¹²⁾。

18.2 薬力学的作用

発作性夜間ヘモグロビン尿症患者に本剤1080mgを週2回投与した結果、血中C3濃度は増加し、Hb値の改善、網状赤血球数及びLDH値の低下が認められた²⁾。

19. 有効成分に関する理化学的知見

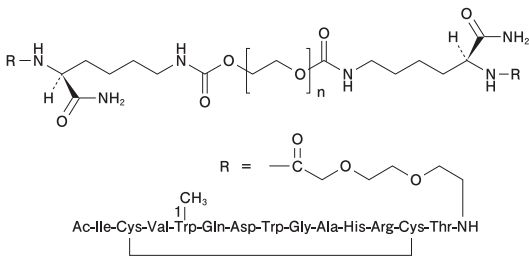
一般的名称：ペグセタコプラン

Pegcetacoplan (JAN)

分子式：C₁₇₀H₂₄₈N₅₀O₄₇S₄(C₂H₄O)_n

分子量：約43,500 (ペプチド部分：3872.35)

化学構造式：



nは約800～1100である。

20. 取扱い上の注意

外箱開封後は遮光して保存すること。

21. 承認条件

21.1 医薬品リスク管理計画を策定の上、適切に実施すること。

21.2 国内での治験症例が極めて限られていることから、製造販売後、一定数の症例に係るデータが集積されるまでの間は、全症例を対象に使用成績調査を実施することにより、本剤使用患者の背景情報を把握するとともに、本剤の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じること。

21.3 本剤の投与が、発作性夜間ヘモグロビン尿症の診断、治療に精通し、本剤のリスク等についても十分に管理できる医師・医療機関のもとで、髄膜炎菌感染症の診断、治療に精通した医師との連携を取った上でのみ行われるよう、製造販売にあたって必要な措置を講じること。

22. 包装

エムパベリ皮下注1080mg 20mL [1バイアル]

23. 主要文献

- 社内資料：カニクイザルを用いた生殖発生毒性試験（18CATX-001試験）（2023年3月27日承認、CTD2.6.6.7）
- 社内資料：外国人及び日本人発作性夜間ヘモグロビン尿症患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（APL2-302試験）（2023年3月27日承認、CTD2.7.6.9）
- 社内資料：ウサギを用いた反復投与毒性試験（13CATX-003及び15CATX-003試験）（2023年3月27日承認、CTD2.6.6.3）
- 社内資料：カニクイザルを用いた反復投与毒性試験（13CATX-004及び15CATX-004試験）（2023年3月27日承認、CTD2.6.6.3）
- 社内資料：日本人健康被験者を対象とした海外第Ⅰ相試験（APL2-102試験）（2023年3月27日承認、CTD2.7.6.8）
- 社内資料：外国人健康被験者を対象とした海外第Ⅰ相試験（APL-CP1014試験）（2023年3月27日承認、CTD2.7.6.2）
- 社内資料：母集団PK解析（APL-EX20-CP-002報告書）（2023年3月27日承認、CTD2.7.2.1）
- Hydery T, Coppenrath VA. A Comprehensive Review of Pegvaliase, an Enzyme Substitution Therapy for the Treatment of Phenylketonuria. Drug Target Insights. 2019 Jun 21 ; 13 : 1-8.
- 社内資料：カニクイザルを用いた放射性標識体試験（17MTX-001試験）（2023年3月27日承認、CTD2.6.4.6）
- 社内資料：外国人高度腎機能障害を有する被験者を対象とした海外第Ⅰ相試験（APL2-CP-PV-205試験）（2023年3月27日承認、CTD2.7.6.7）
- 社内資料：薬物動態学的薬物相互作用（17COTX-001、002、003試験）（2023年3月27日承認、CTD2.6.4.7）
- Mastellos DC, Reis ES, Yancopoulos D, Risitano AM, Lambris JD. Expanding complement therapeutics for the treatment of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Semin Hematol. 2018 ; 55 (3) : 167-175.

24. 文献請求先及び問い合わせ先

旭化成ファーマ株式会社 くすり相談窓口

〒100-0006 東京都千代田区有楽町一丁目1番2号

フリーダイヤル 0120-114-936

(9:00～17:45/土日祝、休業日を除く)

* * 25. 保険給付上の注意

本剤は新医薬品であるため、厚生労働省告示第107号（平成18年3月6日付）に基づき2024年8月末日までは、投薬は1回14日分を限度とされている。

26. 製造販売業者等

26.1 製造販売元

Swedish Orphan Biovitrum Japan 株式会社

東京都中央区銀座六丁目10番1号GINZA・SIX



26.2 発売元

旭化成ファーマ株式会社

東京都千代田区有楽町一丁目1番2号