

# ソリリス点滴静注 300mg に係る 医薬品リスク管理計画書

本資料に記載された情報に係る権利及び内容についての責任はアレクシオンファーマ合同会社にあります。当該製品の適正使用に利用する以外の営利目的に本資料を利用することはできません。

アレクシオンファーマ合同会社

(別紙様式2)

ソリリス点滴静注 300mgに係る医薬品リスク管理計画書 (RMP) の概要

販売名	ソリリス点滴静注300mg	有効成分	エクリズマブ (遺伝子組換え)
製造販売業者	アレクシオンファーマ合同会社	薬効分類	876399
提出年月日		令和5年8月23日	

1.1. 安全性検討事項		
【重要な特定されたリスク】	【重要な潜在的リスク】	【重要な不足情報】
<a href="#">髄膜炎菌感染症(敗血症を含む)</a>	<a href="#">発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止による重篤な溶血</a>	該当なし
<a href="#">非典型溶血性尿毒症症候群患者における本剤投与中止による重度の血栓性微小血管症</a>	<a href="#">感染症(髄膜炎菌感染症以外)</a>	
<a href="#">infusion reaction</a>		
1.2. 有効性に関する検討事項		
該当なし		

↓上記に基づく安全性監視のための活動

2. 医薬品安全性監視計画の概要
<a href="#">通常の医薬品安全性監視活動</a>
<a href="#">追加の医薬品安全性監視活動</a>
<a href="#">市販直後調査(全身型重症筋無力症(小児))</a>
<a href="#">特定使用成績調査(全身型重症筋無力症)</a>
<a href="#">特定使用成績調査(視神経脊髄炎スペクトラム障害)</a>
<a href="#">特定使用成績調査(全身型重症筋無力症(小児))</a>
3. 有効性に関する調査・試験の計画の概要
該当なし

↓上記に基づくリスク最小化のための活動

4. リスク最小化計画の概要
<a href="#">通常のリスク最小化活動</a>
<a href="#">追加のリスク最小化活動</a>
<a href="#">市販直後調査による情報提供(全身型重症筋無力症(小児))</a>
<a href="#">医療従事者向け資材(適正使用ガイド(全身型重症筋無力症、視神経脊髄炎スペクトラム障害)、患者安全性カード)の作成と提供</a>
<a href="#">患者向け資材(ソリリス・ユルトミリス治療で気を付けてほしいこと、ソリリスを投与される方へ、患者安全性カード)の作成と提供</a>

各項目の内容は RMP の本文でご確認下さい。

(別紙様式 1)

医薬品リスク管理計画書

アレクシオンファーマ合同会社

品目の概要			
承認年月日	2010年4月16日	薬効分類	876399
再審査期間	③ <u>成人：10年</u> 小児：6年1日 ④ 10年	承認番号	22200AMX00316000
国際誕生日	2007年3月16日		
販売名	ソリリス点滴静注 300mg		
有効成分	エクリズマブ（遺伝子組換え）		
含量及び剤形	1バイアル（30mL）中に、エクリズマブ（遺伝子組換え）300mgを含有する注射液		
用法及び用量	① 発作性夜間ヘモグロビン尿症における溶血抑制： 通常、成人には、エクリズマブ（遺伝子組換え）として、1回600 mg から投与を開始する。初回投与後、週1回の間隔で初回投与を含め合計4回点滴静注し、その1週間後（初回投与から4週間後）から1回900 mg を2週に1回の間隔で点滴静注する。 ② 非典型溶血性尿毒症症候群における血栓性微小血管障害の抑制及び ③ <u>全身型重症筋無力症（免疫グロブリン大量静注療法又は血液浄化療法による症状の管理が困難な場合に限る）</u> ： 通常、エクリズマブ（遺伝子組換え）として、下記の用法・用量で点滴静注する。		

	年齢又は体重	導入期	維持期
	18 歳以上	1 回 900mg を週 1 回で計 4 回	初回投与 4 週間後から 1 回 1200mg を 2 週に 1 回
	18 歳未満		
	40kg 以上	1 回 900mg を週 1 回で計 4 回	初回投与 4 週間後から 1 回 1200mg を 2 週に 1 回
	30kg 以上 40kg 未満	1 回 600mg を週 1 回で計 2 回	初回投与 2 週間後から 1 回 900mg を 2 週に 1 回
	20kg 以上 30kg 未満	1 回 600mg を週 1 回で計 2 回	初回投与 2 週間後から 1 回 600mg を 2 週に 1 回
	10kg 以上 20kg 未満	1 回 600mg を週 1 回で計 1 回	初回投与 1 週間後から 1 回 300mg を 2 週に 1 回
	5kg 以上 10kg 未満	1 回 300mg を週 1 回で計 1 回	初回投与 1 週間後から 1 回 300mg を 3 週に 1 回
	④ 視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防： 通常、成人には、エクリズマブ（遺伝子組換え）として、1 回 900 mg から投与を開始する。初回投与後、週 1 回の間隔で初回投与を含め合計 4 回点滴静注し、その 1 週間後（初回投与から 4 週間後）から 1 回 1200 mg を 2 週に 1 回の間隔で点滴静注する。		
効能又は効果	① 発作性夜間ヘモグロビン尿症における溶血抑制 ② 非典型溶血性尿毒症症候群における血栓性微小血管障害の抑制 ③ 全身型重症筋無力症（免疫グロブリン大量静注療法又は血液浄化療法による症状の管理が困難な場合に限り） ④ 視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防		
承認条件	医薬品リスク管理計画を策定の上、適切に実施すること。 ① 発作性夜間ヘモグロビン尿症における溶血抑制 1. 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。 ② 非典型溶血性尿毒症症候群における血栓性微小血管障害の抑制 1. 本剤の投与が、非典型溶血性尿毒症症候群の診断、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		

	<p>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。</p> <p>③ 全身型重症筋無力症（免疫グロブリン大量静注療法又は血液浄化療法による症状の管理が困難な場合に限る）</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 国内の臨床試験成績は限られていることから、製造販売後一定期間は本剤を投与された全症例を対象に使用成績調査を実施し、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収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じること。</li> <li>2. 本剤の投与が、全身型重症筋無力症の診断、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。</li> </ol> <p>④ 視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）の再発予防</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 国内の臨床試験成績は限られていることから、製造販売後一定期間は本剤を投与された全症例を対象に特定使用成績調査を実施し、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収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じること。</li> <li>2. 本剤の投与が、視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄炎を含む）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。</li> </ol>
備 考	<p>効能・効果追加承認に関わる承認履歴</p> <p>2010年4月16日承認：発作性夜間ヘモグロビン尿症における溶血抑制</p> <p>2013年9月13日：非典型溶血性尿毒症症候群における血栓性微小血管障害の抑制</p> <p>2017年12月25日：(成人) 全身型重症筋無力症（免疫グロブリン大量静注療法又は血液浄化療法による症状の管理が困難な場合に限る）</p> <p>2019年11月22日：視神経脊髄炎スペクトラム障害（視神経脊髄</p>

	<p>炎を含む) の再発予防</p> <p><u>2023年8月23日：(小児) 全身型重症筋無力症 (免疫グロブリン大量静注療法又は血液浄化療法による症状の管理が困難な場合に限る)</u></p> <p>再審査結果通知日</p> <p>2022年3月23日：発作性夜間ヘモグロビン尿症における溶血抑制</p> <p>2022年3月23日：非典型溶血性尿毒症症候群における血栓性微小血管障害の抑制</p>
--	--

<b>変更の履歴</b>	
<b>前回提出日</b>	令和5年5月25日
<b>変更内容の概要：</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 品目の概要：「再審査期間」、「用法及び用量」及び「備考」の追加</li> <li>2. 「1. 医薬品リスク管理計画の概要」髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）及び infusion reaction の重要な特定されたリスクとした理由の変更及び追加の医薬品安全性監視活動の追加</li> <li>3. 「1. 医薬品リスク管理計画の概要」感染症（髄膜炎菌感染症以外）の重要な潜在的リスクとした理由及び追加の医薬品安全性監視活動を追加</li> <li>4. 「2. 医薬品安全性監視計画の概要」市販直後調査（全身型重症筋無力症（小児））及び特定使用成績調査（全身型重症筋無力症（小児））を追加</li> <li>5. 「4. リスク最小化計画の概要」市販直後調査（全身型重症筋無力症（小児））を追加、患者向け資材の作成と提供の資材名の変更</li> <li>6. 「5.1 医薬品安全性監視計画の一覧」市販直後調査（全身型重症筋無力症（小児））及び特定使用成績調査（全身型重症筋無力症（小児））を追加</li> <li>7. 「5.3 リスク最小化計画の一覧」市販直後調査による情報提供（全身型重症筋無力症（小児））を追加</li> </ol>
<b>変更理由：</b>	1.~7. 全身型重症筋無力症（小児）の効能又は効果に関する承認事項一部変更承認を取得したため

1. 医薬品リスク管理計画の概要

1. 1 安全性検討事項

重要な特定されたリスク	
髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）	
	<p>重要な特定されたリスクとした理由：</p> <p>本剤は補体 C5 の開裂を阻害し、終末補体複合体 C5b-9 の生成を抑制すると考えられることから、髄膜炎菌による感染リスクが高まり、髄膜炎や敗血症など重篤な感染症を発症するおそれがある。国内外の臨床試験における髄膜炎菌感染の発現率は、発作性夜間ヘモグロビン尿症患者で 1% (2/195 例、プラセボ群発現なし)、非典型溶血性尿毒症症候群患者で 2.3% (3/130 例、プラセボ群設定なし) であった。なお、承認申請時、全身型重症筋無力症 (成人／小児) 及び視神経脊髄炎スペクトラム障害を対象として実施した国内外の臨床試験では髄膜炎菌感染は報告されていないが、国内で髄膜炎菌性敗血症による死亡例が製造販売後に認められており、髄膜炎菌感染症は急速に死に至る事象であるため、重要な特定されたリスクに設定した。</p>
	<p>医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由：</p> <p><b>【内容】</b></p> <p>通常の医薬品安全性監視活動</p> <p>追加の医薬品安全性監視活動として以下を実施する。</p> <ol style="list-style-type: none"><li>1. 特定使用成績調査（全身型重症筋無力症）</li><li>2. 特定使用成績調査（視神経脊髄炎スペクトラム障害）</li><li>3. 特定使用成績調査（全身型重症筋無力症（小児））</li></ol> <p><b>【選択理由】</b></p> <p>製造販売後において、本剤の髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）の発現状況を把握するため。</p>
	<p>リスク最小化活動の内容及びその選択理由：</p> <p><b>【内容】</b></p> <p>通常のリスク最小化活動として、添付文書の「警告」、「禁忌」、「効能又は効果に関連する注意」、「特定の背景を有する患者に関する注意」及び「重大な副作用」の項並びに患者向医薬品ガイドに記載して注意喚起する。</p> <p>追加のリスク最小化活動として以下を実施する。</p> <ol style="list-style-type: none"><li>1. 医療従事者向け資材の作成と提供</li><li>2. 患者向け資材の作成と提供</li></ol> <p><b>【選択理由】</b></p> <p>医療従事者、患者及び介護者に対し、本剤投与により髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）の発症リスクが増加すること、ワクチン接種の必要性及び感染症が疑われる異常が認められた場合は、適切な治療を速やかに開始することを情報提供し、確実に適切な治療を行うよう理解を促すため。</p>

非典型溶血性尿毒症症候群患者における本剤投与中止による重度の血栓性微小血管症

重要な特定されたリスクとした理由：

非典型溶血性尿毒症症候群は、生涯にわたる補体活性化制御異常が原因の、生命を脅かす消耗性の慢性疾患であることが知られている。本剤の投与によって補体活性化制御異常が阻害されるため、本剤の投与中止後に重度の血栓性微小血管症（以下、「TMA」）徴候及び症状が悪化する可能性がある。

海外臨床試験では、61例（小児21例）が本剤投与を中止し、追跡期間の中央値は24週であった。投与中止後、TMAが20%（12/61例）、そのうち重度のTMAが15件認められた。また、本剤の投与中止後に本剤を再開したにも関わらず、末期腎不全まで進行した患者を1例認めたため、重要な特定されたリスクに設定した。

本剤の投与中止後にTMAが悪化する機序については、損傷を受けた臓器における補体活性化が関連すると推測される。

医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由：

【内容】

通常 of 医薬品安全性監視活動

【選択理由】

製造販売後において、非典型溶血性尿毒症症候群患者における本剤投与中止による重度のTMAの発現状況を把握するため。

リスク最小化活動の内容及びその選択理由：

【内容】

通常 of リスク最小化活動として添付文書の「重要な基本的注意」の項及び患者向医薬品ガイドに記載して注意喚起する。

【選択理由】

医療従事者、患者及び介護者に対し、本剤投与中止によりTMAが再発することがあることを情報提供し、理解を促すため。



infusion reaction

重要な特定されたリスクとした理由：

発作性夜間ヘモグロビン尿症及び非典型溶血性尿毒症症候群を対象とした国内及び海外の臨床試験における重度の infusion reaction の発現頻度は、0.3% (1/302 例) であったが、プラセボ群では報告されなかった。

全身型重症筋無力症患者 (成人) を対象とした試験では、infusion reaction が本剤群の 8.1% (10/123 例) に認められたが、重篤な事象はなく、最も多く報告された事象は注入後の頭痛であった。一方、プラセボ群では 3.2% (2/63 例) に infusion reaction が認められた。また、全身型重症筋無力症患者 (小児) を対象とした試験では、9.1% (1/11 例) に非重篤な infusion reaction が認められた。

視神経脊髄炎スペクトラム障害を対象とした試験 (ECU-NMO-301) では、infusion reaction が本剤群の 6.3% (6/96 例) に認められたが、重篤な事象はなかった。一方、プラセボ群では、4.3% (2/47 例) に infusion reaction が認められた。これらのデータから、本事象を重要な特定されたリスクに分類した。

医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由：

【内容】

通常 of 医薬品安全性監視活動

追加 of 医薬品安全性監視活動として以下を実施する。

1. 特定使用成績調査 (全身型重症筋無力症)
2. 特定使用成績調査 (視神経脊髄炎スペクトラム障害)
3. 特定使用成績調査 (全身型重症筋無力症 (小児))

【選択理由】

製造販売後において、本剤 of infusion reaction の発現状況を把握するため。

リスク最小化活動の内容及びその選択理由：

【内容】

通常 of リスク最小化活動として添付文書の「重大な副作用」の項及び患者向医薬品ガイドに記載して注意喚起する。

【選択理由】

医療従事者、患者及び介護者に対し、本剤投与後に重篤な infusion reaction が発症するおそれがあることを情報提供し、理解を促すため。

## 重要な潜在的リスク

### 発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止による重篤な溶血

重要な潜在的リスクとした理由：

「発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止による重篤な溶血」は、本剤の投与中止により基礎疾患が悪化し、重篤な溶血に至る可能性があることを考慮した、理論上のリスクである。重篤な溶血は、血清中 LDH レベルが本剤投与前の値を超え、以下のいずれかの状態を伴うものとして定義される：1 週未満の間に、PNH クローンサイズの絶対値が 25%超減少（輸血による希釈なしの状態）、ヘモグロビン値が 5 g/dL 未満又は 1 週以内の間に 4 g/dL を超える減少、狭心症、精神状態の変化、血清クレアチニン値の 50%以上の増加又は血栓症。しかし、現時点で確認された症例は報告されていない。

発作性夜間ヘモグロビン尿症患者では、「PNH クローン」とも呼ばれる、終末補体制御因子欠損性の赤血球による溶血が慢性的に起こる。本剤がこれらの細胞の溶解を効果的に阻害するという点では、本剤投与によって赤血球全体で「PNH クローン」が占める割合が高くなる可能性が考えられる。したがって、「PNH クローン」が増加するのに十分な期間、本剤の投与を受けた発作性夜間ヘモグロビン尿症患者では、本剤投与中止後に重篤な溶血の潜在的リスクがあると考えられる。

「発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止による重篤な溶血」の症例は、臨床試験及び製造販売後データのいずれでも報告されていないため、重要な潜在的リスクとした。

医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由：

#### 【内容】

通常の医薬品安全性監視活動

#### 【選択理由】

製造販売後において、発作性夜間ヘモグロビン尿症患者における本剤投与中止による重篤な溶血の発現状況を把握するため。

リスク最小化活動の内容及びその選択理由：

#### 【内容】

通常のリスク最小化活動として添付文書の「効能又は効果に関連する注意」及び「重要な基本的注意」の項並びに患者向医薬品ガイドに記載して注意喚起する。

#### 【選択理由】

医療従事者、患者及び介護者に対し、本剤投与中止により重篤な溶血及び発作性夜間ヘモグロビン尿症症状の再発が認められる恐れがあることを情報提供するため。

感染症（髄膜炎菌感染症以外）

重要な潜在的リスクとした理由：

本剤は補体 C5 を標的とした終末補体阻害剤であり、初期補体成分（C3）に対する阻害効果は有しないが、ナイセリア属以外の感染症リスクは明らかではない。骨髄障害、腎不全又は免疫抑制剤の投与を受けているような免疫不全患者においては、感染症が急速に重篤化する可能性がある。重篤な感染症は、致命的な転帰をもたらす可能性があることから、重要な潜在的リスクに設定した。

なお、2022年10月1日時点の全世界における製造販売後安全性情報では、本剤への曝露は全世界で約 78,416.3 人年であり、淋菌による感染症は 100 人年あたり 0.042 の報告率（33 例）、肺炎球菌による感染症は 100 人年あたり 0.060 の報告率（47 例）、ヘモフィルス属細菌による感染症は 100 人年あたり 0.018 の報告率（14 例）であった。

医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由：

【内容】

通常の医薬品安全性監視活動

追加の医薬品安全性監視活動として以下を実施する。

1. 特定使用成績調査（全身型重症筋無力症（小児））

【選択理由】

通常の医薬品安全性監視活動により国内外での知見の収集に努める。また、これらの情報を基に、必要に応じて新たな医薬品安全性監視活動の実施を検討する。

リスク最小化活動の内容及びその選択理由：

【内容】

通常のリスク最小化活動として添付文書の「効能又は効果に関連する注意」、「特定の背景を有する患者に対する注意」及び「重大な副作用」の項及び患者向医薬品ガイドに記載して注意喚起する。

追加のリスク最小化活動として以下を実施する。

1. 医療従事者向け資材の作成と提供
2. 患者向け資材の作成と提供

【選択理由】

医療従事者、患者及び介護者に対し、本剤投与後に重篤な感染症（髄膜炎菌感染症以外）が発症するおそれがあることを情報提供し、理解を促すため。

重要な不足情報

該当なし

## 1. 2 有効性に関する検討事項

該当なし

## 2. 医薬品安全性監視計画の概要

通常の医薬品安全性監視活動	
通常の医薬品安全性監視活動の概要： 副作用、文献・学会情報及び外国措置報告等の収集・確認・分析に基づく安全対策の検討	
追加の医薬品安全性監視活動	
市販直後調査（全身型重症筋無力症（小児））	
	実施期間：承認後 6 ヶ月間 報告の予定時期：調査終了後 2 ヶ月以内
特定使用成績調査（全身型重症筋無力症）	
	<p>【安全性検討事項】</p> <p>髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）、infusion reaction</p> <p>【目的】</p> <p>本剤が投与された全身型重症筋無力症患者を対象として、使用実態下における本剤の安全性及び有効性に関する情報を収集する。</p> <p>【実施計画案】</p> <p>実施期間：承認日～2026年12月 登録期間：承認日～2024年12月 観察期間：最長3年まで。ただし、投与を中止した場合には、最後の投与日から8週間 予定症例数：本剤を投与した全身型重症筋無力症全症例（最大200例） 調査方法：全例調査方式</p> <p>【実施計画の根拠】</p> <p>実施期間：再審査期間の中で実施可能な期間を設定した 観察期間：ECU-MG-302試験において、日本人患者の最長投与が3年であることから、それと同等に観察できる期間を設定した</p>

<p><b>【節目となる予定の時期及びその根拠】</b></p> <p>安全性定期報告時：安全性情報について包括的な検討を行うため。</p> <p>調査終了時：回収された全調査票のデータ固定が終わった段階で最終報告書を作成する。</p> <p><b>【当該医薬品安全性監視活動の結果に基づいて実施される可能性のある追加の措置及びその開始の決定基準】</b></p> <p>節目となる時期に、以下の内容を含めた医薬品リスク管理計画書の見直しを行う。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・新たな安全性検討事項の有無も含めて、特定使用成績調査の計画内容の変更要否について検討を行う。</li> <li>・新たな安全性検討事項に対する、リスク最小化策の策定要否について検討を行う。</li> <li>・現状の安全性検討事項に対する、リスク最小化活動の内容変更要否について検討を行う。</li> </ul>
<p>特定使用成績調査（視神経脊髄炎スペクトラム障害）</p>
<p><b>【安全性検討事項】</b></p> <p>髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）、infusion reaction</p> <p><b>【目的】</b></p> <p>本剤が投与された視神経脊髄炎スペクトラム障害患者を対象として、使用実態下における本剤の安全性及び有効性に関する情報を収集する。</p> <p><b>【実施計画案】</b></p> <p>実施期間：承認日～2026年11月（承認後7年間）</p> <p>登録期間：承認日～2024年11月（承認後5年間）</p> <p>観察期間：調査期間の終了2026年11月（最長7年）まで。ただし、投与を中止した場合には、最後の投与日から8週間</p> <p>予定症例数：本剤を投与した視神経脊髄炎スペクトラム障害患者全症例</p> <p>調査方法：全例調査方式</p> <p><b>【実施計画の根拠】</b></p> <p>実施期間：再審査期間の中で実施可能な期間を設定した</p> <p>観察期間：より長期で観察することが重要と考えられるため、登録されてから実施期間の終了までの期間と設定した</p> <p><b>【節目となる予定の時期及びその根拠】</b></p> <p>安全性定期報告時：安全性情報について包括的な検討を行うため。</p> <p>調査終了時：回収された全調査票のデータ固定が終わった段階で最終報告書を作成</p>

	<p>する。</p> <p><b>【当該医薬品安全性監視活動の結果に基づいて実施される可能性のある追加の措置及びその開始の決定基準】</b></p> <p>節目となる時期に、以下の内容を含めた医薬品リスク管理計画書の見直しを行う。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・新たな安全性検討事項の有無も含めて、特定使用成績調査の計画内容の変更要否について検討を行う。</li> <li>・新たな安全性検討事項に対する、リスク最小化策の策定要否について検討を行う。</li> <li>・現状の安全性検討事項に対する、リスク最小化活動の内容変更要否について検討を行う。</li> </ul>
<p><u>特定使用成績調査（全身型重症筋無力症（小児））</u></p>	
	<p><b>【安全性検討事項】</b></p> <p><u>髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）、infusion reaction、感染症（髄膜炎菌感染症以外）</u></p> <p><b>【目的】</b></p> <p><u>本剤が投与された小児の全身型重症筋無力症患者を対象として、使用実態下における本剤の安全性及び有効性に関する情報を収集する。</u></p> <p><b>【実施計画案】</b></p> <p><u>実施期間：承認日～2027年6月</u></p> <p><u>登録期間：承認日～2025年12月</u></p> <p><u>観察期間：調査期間終了の1年前である2026年6月（最長2年9ヵ月）まで。ただし、投与を中止した場合には、最後の投与日から8週間</u></p> <p><u>予定症例数：本剤を投与した小児の全身型重症筋無力症全症例</u></p> <p><u>調査方法：全例調査方式</u></p> <p><b>【実施計画の根拠】</b></p> <p><u>実施期間：成人の再審査期間終了と同時期に小児の調査結果が確認可能な期間を設定した</u></p> <p><u>観察期間：実施期間内で可能な限り長期観察が可能な期間を設定した</u></p> <p><b>【節目となる予定の時期及びその根拠】</b></p> <p><u>安全性定期報告時：安全性情報について包括的な検討を行うため。</u></p> <p><u>調査終了時：全調査票のデータ固定が終わった段階で最終報告書を作成する。</u></p> <p><b>【当該医薬品安全性監視活動の結果に基づいて実施される可能性のある追加の措置及びその開始の決定基準】</b></p> <p><u>節目となる時期に、以下の内容を含めた医薬品リスク管理計画書の見直しを行う。</u></p>

	<ul style="list-style-type: none"><li>・<u>新たな安全性検討事項の有無も含めて、特定使用成績調査の計画内容の変更要否について検討を行う。</u></li><li>・<u>新たな安全性検討事項に対する、リスク最小化策の策定要否について検討を行う。</u></li><li>・<u>現状の安全性検討事項に対する、リスク最小化活動の内容変更要否について検討を行う。</u></li></ul>
--	---

### 3. 有効性に関する調査・試験の計画の概要

該当なし

### 4. リスク最小化計画の概要

通常のリスク最小化活動	
通常のリスク最小化活動の概要： 添付文書及び患者向医薬品ガイドによる情報の提供	
追加のリスク最小化活動	
市販直後調査による情報提供（全身型重症筋無力症（小児））	
	実施期間：承認後 6 ヶ月間 報告の予定時期：調査終了後 2 ヶ月以内
医療従事者向け資材の作成（適正使用ガイド（全身型重症筋無力症、視神経脊髄炎スペクトラム障害）、患者安全性カード）と提供	
	<p><b>【安全性検討事項】</b> 髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）、感染症（髄膜炎菌感染症以外）</p> <p><b>【目的】</b> 本剤の髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）及びそれ以外の莢膜形成細菌による感染症に関する安全性に関する包括的な情報、副作用の発現状況について、早期発見及び適切な診断・治療に関する情報とともに提供する。</p> <p><b>【具体的な方法】</b> 以下の資材を作成し、医薬情報担当者が医療従事者に説明のうえ、提供するとともに、会社の医療従事者用ウェブサイトからも入手可能とする。</p> <p><b>【節目となる予定の時期、実施した結果に基づき採択される可能性がある更なる措置】</b> 市販直後調査終了時及び安全性定期報告時に安全性検討事項の発現状況、販売量の推移を確認する。確認結果から、リスク最小化計画の更なる強化が必要と判断される場合、また新たな安全性検討事項が認められた場合には、配布方法、資材の改訂などの実施方法の変更、追加の資材作成等を検討する。</p>



患者向け資材の作成（ソリリス・ユルトミリス治療で気を付けてほしいこと（発作性夜間ヘモグロビン尿症、非典型溶血性尿毒症症候群、全身型重症筋無力症、視神経脊髄炎スペクトラム障害）、患者安全性カード）と提供

**【安全性検討事項】**

髄膜炎菌感染症（敗血症を含む）、感染症（髄膜炎菌感染症以外）

**【目的】**

本剤の安全性に関する包括的な情報、副作用の発現状況について、早期発見につながる自覚症状や予防法、医師へ伝えるべき事項等に関する情報を提供する。

**【具体的な方法】**

以下の資材を作成し、医薬情報担当者が医療従事者に説明のうえ、提供するとともに、会社の患者用ウェブサイトから入手可能とする。

**【節目となる予定の時期、実施した結果に基づき採択される可能性がある更なる措置】**

市販直後調査終了時及び安全性定期報告時に安全性検討事項の発現状況、販売量の推移を確認する。確認結果から、リスク最小化計画の更なる強化が必要と判断される場合、また新たな安全性検討事項が認められた場合には、配布方法、資材の改訂などの実施方法の変更、追加の資材作成等を検討する。

5. 医薬品安全性監視計画、有効性に関する調査・試験の計画及びリスク最小化計画の一覧

5. 1 医薬品安全性監視計画の一覧

通常の医薬品安全性監視活動				
副作用、文献・学会情報、外国安全性措置情報等の収集・確認・分析に基づく安全対策を検討する。				
追加の医薬品安全性監視活動				
追加の医薬品安全性監視活動の名称	節目となる症例数／目標症例数	節目となる予定の時期	実施状況	報告書の作成予定日
市販直後調査（全身型重症筋無力症（成人））	該当せず	承認取得時から 6ヵ月後	終了	作成済み（2018年 8月提出）
市販直後調査（全身型重症筋無力症（小児））	該当せず	承認取得時から 6ヵ月後	実施中	調査終了後2ヵ月 以内
特定使用成績調査 （発作性夜間ヘモグロビン尿症）	全症例	安全性定期報告時 調査終了時	終了	作成済み（2020年 7月15日提出）
特定使用成績調査 （非典型溶血性尿毒症症候群）	全症例	安全性定期報告時 調査終了時	終了	作成済み（2019年 10月9日提出）
特定使用成績調査 （全身型重症筋無力症）	全症例（最大 200例）	安全性定期報告時 調査終了時	実施中	調査終了時の最終報告は再審査申請時
特定使用成績調査 （視神経脊髄炎スペクトラム障害）	全症例	安全性定期報告時 調査終了時	実施中	調査終了時の最終報告は再審査申請時
特定使用成績調査 （全身型重症筋無力症（小児））	全症例	安全性定期報告時 調査終了時	実施中	調査終了後6ヵ月 以内

### 5. 2 有効性に関する調査・試験の計画の一覧

有効性に関する調査・試験の名称	節目となる症例数 ／目標症例数	節目となる 予定の時期	実施状況	報告書の 作成予定日
該当なし				

### 5. 3 リスク最小化計画の一覧

通常のリスク最小化活動		
添付文書及び患者向医薬品ガイドによる情報提供		
追加のリスク最小化活動		
追加のリスク最小化活動の名称	節目となる 予定の時期	実施状況
市販直後調査（全身型重症筋無力症（成人））による情報提供	承認取得時から6ヵ月後	終了
市販直後調査（全身型重症筋無力症（小児））による情報提供	承認取得時から6ヵ月後	実施中
医療従事者向け資材の作成と提供	市販直後調査終了時、安全性定期報告書提出時、再審査申請時	実施中
患者向け資材の作成と提供	市販直後調査終了時、安全性定期報告書提出時、再審査申請時	実施中