2025年6月作成

市販直後調査
2025年6月～2025年12月
対象 トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型）

—医薬品の適正使用に欠かせない情報です。使用前に必ずお読みください。—

新医薬品の「使用上の注意」の解説

トランスサイレチン型アミロイドーシス治療薬

薬価基準収載

アムヴトラ® 皮下注25mg シリンジ

amvuttra® Subcutaneous Injection Syringe

ブトリシランナトリウム注射液　処方箋医薬品　注意—医師等の処方箋により使用すること

2. 禁忌（次の患者には投与しないこと）
本剤の成分に対し重篤な過敏症の既往歴のある患者

製造販売元
Alnylam Japan株式会社

はじめに

アムヴトラ（一般名：ブトリシランナトリウム、以下、本剤）は、Alnylam Pharmaceuticals社が開発した、ESC（Enhanced Stabilization Chemistry）-GalNAc（N-アセチルガラクトサミン）コンジュゲート技術を基盤としたGalNAc結合siRNA製剤です。RNAiによって*TTR* mRNAに作用し、肝臓での変異型および野生型TTRの産生を抑制します。本剤は3ヵ月に1回投与する皮下注製剤であり、本剤はsiRNAに肝細胞で高発現しているアシアロ糖タンパク質レセプター（ASGPR）のリガンドであるGalNAcを3分子結合させることで、肝細胞への迅速かつ特異的な送達を可能にしました。
本剤は米国では、米国食品医薬品局（FDA）より希少疾病用医薬品の指定を受け、2022年6月に成人の遺伝性トランスサイレチン型アミロイドーシス患者のポリニューロパチーの治療薬として、承認されました。また、欧州でも欧州医薬品庁（EMA）より希少疾病用医薬品の指定を受け、同年9月にステージ1又はステージ2のポリニューロパチーを有する成人患者における遺伝性トランスサイレチン型アミロイドーシスの治療薬として、承認されました。日本では、2021年12月に「トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー」を適応症として承認申請を行い、2022年9月に製造販売承認を取得しました。

トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチーは変異型および野生型TTRの両者からなるアミロイド線維が複数の組織に継続的に沈着することで、衰弱性のポリニューロパチーや心筋症をはじめとする様々な臨床症状をきたす疾患です。一方で、心筋症を伴うATTRアミロイドーシス患者では、TTRアミロイド線維が心臓の細胞外マトリクスに浸潤し、心室壁の肥厚、顕著な心室の硬化及び拡張機能障害を生じます。収縮機能も損なわれ、長軸方向左室グローバルストレインの異常が特徴です。野生型（wt）ATTR アミロイドーシスと変異型ATTR（v） アミロイドーシスのいずれにおいても、四量体TTR タンパク質が不安定化し単量体に解離します。
従来、心筋症を伴うATTRアミロイドーシスの治療は、うっ血性症状に対しては利尿薬、不整脈や伝導障害に対しては抗不整脈薬、ペースメーカー、自動植込み型除細動器などによる症状緩和療法が中心でした。また、wtATTR又はATTRv アミロイドーシスの成人患者の心筋症に対して承認されている治療薬は限られていました。
治療薬が限られ、依然としてアンメット・メディカル・ニーズがあるなか、国際共同第Ⅲ相試験HELIOS-B試験を実施し、2025年6月に「トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型）」を適応症として日本で製造販売承認事項一部変更の承認を取得しました。

本解説書では、本剤のご使用に際しての注意事項を電子添文の項目ごとに解説いたしました。本解説書が本剤の適正使用の一助となれば幸甚に存じます。
なお、本解説書は、承認時の情報に基づき作成しております。承認後に集積した情報に基づき添付文書を改訂する場合がございますので、最新の添付文書情報も併せてご確認いただきますようお願いいたします。
最新の添付文書情報は、独立行政法人医薬品医療機器総合機構のホームページの医療用医薬品情報検索ページならびに弊社ホームページ製品サイト（https://amvuttra.jp/）でご確認いただけます。

目　次

2. 禁忌（次の患者には投与しないこと）……4

4. 効能又は効果……5

5. 効能又は効果に関連する注意……6

6. 用法及び用量……7

7. 用法及び用量に関連する注意……8

8. 重要な基本的注意……9

9. 特定の背景を有する患者に関する注意……10

9.1 合併症・既往歴等のある患者……10

9.2 腎機能障害患者……10

9.3 肝機能障害患者……10

9.4 生殖能を有する者……10

9.5 妊婦……11

9.6 授乳婦……11

9.7 小児等……11

11. 副作用……12

11.2 その他の副作用……12

12. 臨床検査結果に及ぼす影響……16

14. 適用上の注意……17

注）本剤で電子添文に記載すべき内容がない項目については、欠番となっています。

2. 禁忌（次の患者には投与しないこと）

2. 禁忌（次の患者には投与しないこと）
本剤の成分に対し重篤な過敏症の既往歴のある患者

＜解説＞
医薬品の一般的な注意として設定しました。
本剤の成分に対し過敏症の既往歴がある患者等は本剤の臨床試験の対象から除外されていました。

本剤の組成・性状は以下のとおりです。

組成

有効成分	1 シリンジ（0.5 mL）中ブトリシランナトリウム 26.5mg （ブトリシランとして 25mg）
添加剤	リン酸二水素ナトリウム水和物：0.2mg リン酸水素二ナトリウム二水和物：0.7mg 塩化ナトリウム：3.2mg 水酸化ナトリウム：適量 リン酸：適量 注射用水：適量

製剤の性状

性状	無色～黄色澄明の液
pH	6.0～8.0
浸透圧比	約1.0（生理食塩液に対する比）

4. 効能又は効果

4. 効能又は効果 〇トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー 〇トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型）

＜解説＞

〇トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー

本剤は、化学修飾された合成二本鎖を持つ第二世代のsiRNA製剤であり、肝臓で変異型および野生型TTRのmRNAを特異的に標的としています。本剤は、RNAiの機序を介して、アミロイド形成の原因となる肝臓由来の変異型および野生型TTRの産生を減少させます。その結果、アミロイドの形成・組織への沈着を抑制することによって、病態の進行を停止すると考えられています。

ATTRv-PN患者の治療における本剤の有効性は、国際共同第Ⅲ相試験であるALN-TTRSC02-002試験（以下、HELIOS-A試験）[1,2]を根拠としています。本剤の安全性プロファイルは許容可能であり、すべての人口統計学的特性およびベースラインの疾患特性（年齢、性別、人種、体重、*TTR*遺伝子型およびFAPステージ）でおおむね一貫していました。また、この試験には、日本人患者として本剤群4例、パチシラン群3例の7例のほか、パチシランの国際共同第Ⅲ相試験であるAPOLLO試験[3,4]でプラセボを投与された患者9例を解析に含めました。その結果、本剤群の日本人患者で認められた有効性および安全性の結果は、全体集団で認められた結果と一貫していました。

これらの結果に基づき、「トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー」を効能又は効果として設定しました。

〇トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型）

wtATTR又はATTRvアミロイドーシスに起因する心筋症を有する患者における本剤の有効性及び安全性を検討した国際共同第Ⅲ相試験HELIOS-B試験[5,6]におけるブトリシラン投与は、プラセボと比較して全死因死亡及び再発性心血管関連イベントのリスクを低下させ、心不全における疾患進行を反映する複数の臨床的に重要な評価項目で有益な効果が認められました。HELIOS-B試験において、ブトリシランは、本剤の確立されたプロファイルと一致する許容可能な安全性を引き続き示しました。ポリニューロパチー患者における過去に報告されたデータに加えて、心筋症患者におけるこれらの結果は、複数の疾患症状においてブトリシランのベネフィットが認められ、広範囲のATTRアミロイドーシス患者集団に対して好影響を及ぼし、安全性プロファイルは良好であることを示しています。この結果から「トランスサイレチン型心アミロイドーシス（野生型及び変異型）」を効能又は効果として設定しました。

【引用文献】

1) 社内資料（承認時評価資料）：トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-A 試験）（2022年9月承認、CTD2.5.4、2.7.2.2、2.7.3.1.5、2.7.6.3）
2) Adams D, Tournev IL, Taylor MS, et al. *Amyloid.* 2023; 30（1）: 1-9.（PMID: 35875890）
3) 社内資料（パチシラン承認時評価資料）：日本人を含む国際共同第Ⅲ相試験（ALN-TTR02-004 試験）（2019年 6月承認）
4) Adams D, Gonzalez-Duarte A, O'Riordan WD, et al. *N Engl J Med.* 2018;379（1）: 11-21.（PMID: 29972753）
5) 社内資料：トランスサイレチン型心アミロイドーシス患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-B 試験）（2025 年 6 月承認、CTD 2.7.6.1）
6) Fontana M, Berk JL, Gillmore JD, et al. *N Engl J Med.* 2025; 392（1）: 33-44.（PMID: 39213194）

5. 効能又は効果に関連する注意

5. 効能又は効果に関連する注意

〈効能共通〉

5.1 本剤の適用にあたっては、最新のガイドライン等を参照し、トランスサイレチンアミロイドーシスの診断が確定していることを確認すること。

＜解説＞

本剤はTTRによって媒介されない他のタイプのアミロイドーシスに対する有効性は期待されません。本剤の適用にあたっては、トランスサイレチンアミロイドーシスと診断されている患者に対して投与するよう注意喚起しています。

5. 効能又は効果に関連する注意

〈トランスサイレチン型心アミロイドーシス〉

5.2 本剤は、トランスサイレチン型心アミロイドーシスによる心不全を有する患者に使用すること。また、「臨床成績」の項の内容を熟知し、臨床試験の選択基準等を十分理解した上で、適応患者の選択を行うこと。［17.1.2 参照］

5.3 NYHA 心機能分類 IV 度の患者における有効性及び安全性は確立していない。

＜解説＞

5.2 トランスサイレチン型心アミロイドーシス患者を対象とした臨床試験（HELIOS-B試験）においては、患者の組入れ基準に心不全の既往が含まれたため、設定しました。

5.3 トランスサイレチン型心アミロイドーシス患者を対象とした臨床試験（HELIOS-B試験）においては、NYHA心機能分類Ⅳ度の患者は対象から除外されたため、注意喚起のため、設定しました。

6. 用法及び用量

6. 用法及び用量 通常、成人にはブトリシランとして25mgを3ヵ月に1回皮下投与する。

＜解説＞

本剤の投与レジメンの選択は、健康成人を対象とした第Ⅰ相試験であるALN-TTRSC02-001試験（以下、001試験）[1、注)]およびATTRv-PN患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験であるHELIOS-A試験[2,3)]、ATTR-CM患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験であるHELIOS-B試験[4,5)]によって裏付けられています。

HELIOS-B試験で本剤25mgを3ヵ月に1回皮下投与したときの血清中TTR濃度低下プロファイルは、ポリニューロパチーを有するATTRvアミロイドーシス患者を対象としたHELIOS-A試験で認められたプロファイルと類似していました。心筋症を伴うATTRアミロイドーシスを有する日本人被験者を含む試験全体集団において、ブトリシラン25mgを3ヵ月に1回皮下投与するレジメンの安全性プロファイルは許容可能でした。

注）承認外の用法・用量を含みます。本剤で承認されている用法及び用量は、「通常、成人にはブトリシランとして25mgを3ヵ月に1回皮下投与する。」です。

【引用文献】

1) 社内資料（承認時評価資料）：健康成人を対象とした第Ⅰ相臨床試験（2022年9月承認、CTD2.5.3.6.1、2.7.2.2.1、2.7.6.2）
2) 社内資料（承認時評価資料）：トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-A 試験）（2022年9月承認、CTD2.5.4、2.7.2.2、2.7.3.1.5、2.7.6.3）
3) Adams D, Tournev IL, Taylor MS, et al. *Amyloid.* 2023; 30（1）: 1-9.（PMID: 35875890）
4) 社内資料：トランスサイレチン型心アミロイドーシス患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-B 試験）（2025 年 6 月承認、CTD 2.7.6.1）
5) Fontana M, Berk JL, Gillmore JD, et al. *N Engl J Med.* 2025; 392（1）: 33-44.（PMID: 39213194）

7. 用法及び用量に関連する注意

7. 用法及び用量に関連する注意
本剤の投与が予定から遅れた場合は、可能な限り速やかに投与を行い、以後、その投与を起点とし、3ヵ月間隔で投与すること。

＜解説＞
用法及び用量に関わる注意事項として、投与が遅れた場合に関し、本剤の企業中核データシート（CCDS）に基づき設定しました。

8. 重要な基本的注意

8. 重要な基本的注意

8.1 本剤は、血清中トランスサイレチン（TTR）タンパク質を減少させることにより、血清中ビタミンAの減少を招くことから、ビタミンAを補給するように患者に指導すること。なお、1日推奨用量は約2500IUであり、推奨用量を超えて補給しないこと。また、ビタミンAの欠乏により、眼症状（例：夜盲）等が発現するおそれがあるため注意すること。［12.1 参照］

＜解説＞

血清中TTRはレチノール結合タンパク質の担体であり、血中へのビタミンA輸送を促進します。また血清中ビタミンAの減少は本剤の薬理作用として知られています。

ビタミンAの欠乏により、眼症状（例：夜盲）等が発現するおそれがあることが知られているため、重要な基本的注意として設定しました。

なお、国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-A試験及びHELIOS-B試験）[1,2,3,4]では、患者に1日あたりの推奨摂取量のビタミンAを補給することにより、血清中ビタミンA濃度の低下に起因する、眼の有害事象における臨床的に関連する傾向や変化は認められていません。

「ビタミンA欠乏に伴う有害事象（夜盲等）」は、医薬品リスク管理計画（RMP）において「重要な潜在的リスク」に設定されています。

［「11. 副作用 11.2」、「12. 臨床検査結果に及ぼす影響 12.1」の項もご参照ください。］

8. 重要な基本的注意

8.2 トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー患者は、心筋症等の心症状を伴うことが多い。本剤との因果関係は明らかではないが、心臓関連死等が報告されているので、本剤投与中は定期的に心機能検査（心電図、心エコー等）を行う等、患者の状態を十分に観察すること。

＜解説＞

得られている臨床データからは本剤との因果関係は確立されていませんが、国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-A試験）[1,2]および類薬の臨床試験において心臓関連死等が報告されていることから、本剤投与中には定期的に心機能検査等を行う旨を注意喚起しています。

「心機能障害（ATTRv-PN）」は、医薬品リスク管理計画（RMP）において「重要な潜在的リスク」に設定されています。

【引用文献】

1) 社内資料（承認時評価資料）：トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-A 試験）（2022年9月承認、CTD2.5.4、2.7.6.3）
2) Adams D, Tournev IL, Taylor MS, et al. *Amyloid.* 2023; 30（1）: 1-9.（PMID: 35875890）
3) 社内資料：トランスサイレチン型心アミロイドーシス患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-B 試験）（2025 年 6 月承認、CTD 2.7.6.1）
4) Fontana M, Berk JL, Gillmore JD, et al. *N Engl J Med.* 2025; 392（1）: 33-44.（PMID: 39213194）

9. 特定の背景を有する患者に関する注意

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 肝移植後の患者
肝移植後の患者を対象とした臨床試験は実施していない。

＜解説＞
肝移植後の患者を対象とした臨床試験は実施していないため、注意喚起しています。

9. 特定の背景を有する患者に関する注意
9.2 腎機能障害患者
重度の腎機能障害患者及び末期腎不全患者を対象とした臨床試験は実施していない。［16.6.1 参照］

＜解説＞
本剤の臨床試験において重度の腎機能障害患者および末期腎不全患者は除外されたため、注意喚起しています。

9. 特定の背景を有する患者に関する注意
9.3 肝機能障害患者
重度の肝機能障害患者を対象とした臨床試験は実施していない。［16.6.2 参照］

＜解説＞
本剤の臨床試験において重度の肝機能障害患者は除外されたため、注意喚起しています。

9. 特定の背景を有する患者に関する注意
9.4 生殖能を有する者
妊娠可能な女性に対しては、本剤投与中及び投与終了後一定期間は適切な避妊方法を行うよう指導すること。［9.5 参照］

＜解説＞
本剤投与は血清中ビタミン A 濃度を低下させます。母体の血清中ビタミン A 濃度の低下が胎児に及ぼす影響は不明であることから、患者の安全性を考慮して、注意喚起しています。

9. 特定の背景を有する患者に関する注意

9.5 妊婦

妊婦又は妊娠している可能性のある女性には投与しないことが望ましい。母体の血清中TTR又は血清中ビタミンA濃度の低下が胎児に及ぼす影響は不明である。妊娠ラットを用いた胚・胎児発生試験において、30mg/kgで母動物の体重及び/又は体重増加並びに摂餌量への有害作用、また、早産率及び着床後胚損失率の増加が認められた。10mg/kg以上で胎児体重に有害な減少がみられた。[9.4 参照]

＜解説＞

妊婦への本剤投与に関するデータはなく、母体の血清中TTR濃度または血清中ビタミンA濃度の低下が胎児に及ぼす影響は不明です。非臨床試験[1,2,3,4]で、生殖毒性が認められたことから、患者の安全性を考慮して、注意喚起しています。

9. 特定の背景を有する患者に関する注意

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。

＜解説＞

本剤のヒト母乳中への移行、授乳児に対する影響、および乳汁産生に対する影響に関するデータは得られていませんが、患者の安全性を考慮して、注意喚起しています。

9. 特定の背景を有する患者に関する注意

9.7 小児等

小児等を対象とした臨床試験は実施していない。

＜解説＞

ATTRアミロイドーシスは主に成人で発症するため、小児を対象とした臨床試験の実施は困難であることから、本剤の臨床試験において18歳未満の青年および小児に関する利用可能な成績は得られておらず、注意喚起しています。

【引用文献】

1) 社内資料（承認時評価資料）：ラットを用いた受胎能および初期胚発生に関する試験（2022年9月承認、CTD2.4.4.6、2.6.6.6.1）
2) 社内資料（承認時評価資料）：ラットを用いた胚・胎児発生試験（2022年9月承認、CTD2.4.4.6、2.6.6.6.2.1、2.6.6.6.2.2）
3) 社内資料（承認時評価資料）：ウサギを用いた胚・胎児発生試験（2022年9月承認、CTD2.6.6.6.2.3、2.6.6.6.2.4）
4) 社内資料（承認時評価資料）：ラットを用いた出生前および出生後の発生ならびに母体の機能に関する試験（2022年9月承認、CTD2.6.6.6.3.1）

11. 副作用

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。

11.2 その他の副作用

	1%以上	1%未満	頻度不明
眼障害		ドライアイ、強膜変色	
胃腸障害		消化不良	
一般・全身障害および投与部位の状態	注射部位反応	疲労、末梢性浮腫	
臨床検査	ビタミンA減少		
筋骨格系および結合組織障害		関節痛	四肢痛
呼吸器、胸郭および縦隔障害			呼吸困難（呼吸困難、労作性呼吸困難、発作性夜間呼吸困難）

＜解説＞

臨床試験（HELIOS-A及びHELIOS-B試験）[1,2,3,4]の副作用報告に基づいて設定しました。

【引用文献】

1) 社内資料（承認時評価資料）：トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-A 試験）（2022年9月承認、CTD2.5.4、2.7.6.3）
2) Adams D, Tournev IL, Taylor MS, et al. *Amyloid.* 2023; 30(1): 1-9.（PMID: 35875890）
3) 社内資料：トランスサイレチン型心アミロイドーシス患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-B 試験）（2025 年 6 月承認、CTD 2.7.6.1）
4) Fontana M, Berk JL, Gillmore JD, et al. *N Engl J Med.* 2025; 392(1): 33-44.（PMID: 39213194）

○国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-A 試験、HELIOS-B 試験）[1,2,3,4]の投与期/二重盲検期及び OLE 期における本剤投与群の副作用一覧

HELIOS-A 試験、HELIOS-B 試験の併合解析結果（n=707［HELIOS-A 試験：n=160、HELIOS-B 試験：n=547］）

事象名	HELIOS-A試験、HELIOS-B試験の併合解析結果、n（%）
副作用発現例	90（12.7）
注射部位反応	15（2.1）
ビタミンA減少	11（1.6）
アスパラギン酸アミノトランスフェラーゼ増加	4（0.6）
無力症	4（0.6）
疲労	4（0.6）
γ-グルタミルトランスフェラーゼ増加	4（0.6）
アラニンアミノトランスフェラーゼ増加	3（0.4）
下痢	3（0.4）
ドライアイ	3（0.4）
倦怠感	3（0.4）
末梢性浮腫	3（0.4）
錯感覚	3（0.4）
そう痒症	3（0.4）
腹部不快感	2（0.3）
貧血	2（0.3）
心房細動	2（0.3）
咳嗽	2（0.3）
浮動性めまい	2（0.3）
頭痛	2（0.3）
肝機能異常	2（0.3）
肝機能検査値上昇	2（0.3）
血小板数減少	2（0.3）
発疹	2（0.3）
強膜変色	2（0.3）
血小板減少症	2（0.3）
トランスアミナーゼ上昇	2（0.3）
不安	1（0.1）
関節痛	1（0.1）
背部痛	1（0.1）
血中アルカリホスファターゼ増加	1（0.1）
血中ビリルビン増加	1（0.1）
血圧上昇	1（0.1）
気管支炎	1（0.1）
灼熱感	1（0.1）

事象名	HELIOS-A試験、HELIOS-B試験の併合解析結果、n（%）
心不全	1(0.1)
慢性腎臓病	1(0.1)
口内乾燥	1(0.1)
皮膚乾燥	1(0.1)
脂質異常症	1(0.1)
湿疹	1(0.1)
心窩部不快感	1(0.1)
紅斑	1(0.1)
大腸菌性尿路感染	1(0.1)
眼そう痒症	1(0.1)
潮紅	1(0.1)
胃食道逆流性疾患	1(0.1)
痛風	1(0.1)
血尿	1(0.1)
多汗症	1(0.1)
高血圧	1(0.1)
高体温症	1(0.1)
感覚鈍麻	1(0.1)
インフルエンザ様疾患	1(0.1)
不眠症	1(0.1)
四肢不快感	1(0.1)
脂肪腫	1(0.1)
肝機能検査異常	1(0.1)
月経過多	1(0.1)
代謝性アシドーシス	1(0.1)
筋痙縮	1(0.1)
筋攣縮	1(0.1)
筋肉痛	1(0.1)
悪心	1(0.1)
夜盲	1(0.1)
疼痛	1(0.1)
動悸	1(0.1)
光線過敏性反応	1(0.1)
乾癬	1(0.1)
そう痒性皮疹	1(0.1)
腎機能障害	1(0.1)
鼻漏	1(0.1)
皮膚灼熱感	1(0.1)
皮膚刺激	1(0.1)
尿失禁	1(0.1)

事象名	HELIOS-A試験、HELIOS-B試験の併合解析結果、n（%）
尿路感染	1（0.1）
尿中アルブミン/クレアチニン比増加	1（0.1）
霧視	1（0.1）
視力障害	1（0.1）
ビタミンA欠乏	1（0.1）
ビタミンD欠乏	1（0.1）
ウエスト周囲径増加	1（0.1）

MedDRA version 23.0 基本語

【引用文献】

1） 社内資料（承認時評価資料）：トランスサイレチン型家族性アミロイドポリニューロパチー患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-A 試験）（2022年9月承認、CTD2.5.4、2.7.6.3）
2） Adams D, Tournev IL, Taylor MS, et al. *Amyloid.* 2023; 30（1）: 1-9.（PMID: 35875890）
3） 社内資料：トランスサイレチン型心アミロイドーシス患者を対象とした国際共同第Ⅲ相試験（HELIOS-B 試験）（2025 年 6 月承認、CTD 2.7.6.1）
4） Fontana M, Berk JL, Gillmore JD, et al. *N Engl J Med.* 2025; 392（1）: 33-44. （PMID: 39213194）

12. 臨床検査結果に及ぼす影響

12. 臨床検査結果に及ぼす影響

12.1 本剤の作用機序により、血清中のレチノール結合タンパク質及びビタミンAが減少する。ビタミンAを摂取しても血清中ビタミンA濃度は低下するが、代替機序によりビタミンAの輸送と組織への取り込みが生じうるので、血清中ビタミンAの検査結果を基にビタミンA摂取量を変更しないこと。[8.1 参照]

＜解説＞

本剤の企業中核データシート(CCDS)を参考に設定しました。

[「8. 重要な基本的注意 8.1」、「11. 副作用 11.2」の項もご参照ください。]

12. 臨床検査結果に及ぼす影響

12.2 本剤の作用機序により、血清中サイロキシンが減少することがある。

＜解説＞

臨床試験において血清中サイロキシンのデータは得られていないものの、サルを用いた非臨床薬理試験[1)]において、血清中サイロキシンの減少が認められており、臨床使用により発生する可能性が否定できないため設定しました。

【引用文献】

1)社内資料(承認時評価資料):サルを用いた反復投与毒性試験(2022年9月承認、CTD2.6.2.3.2、2.6.6.3.2)

14. 適用上の注意

14. 適用上の注意

14.1 薬剤投与前の注意

14.1.1 外観に異常を認めた場合や、溶液に変色や不溶性微粒子が認められた場合には、使用しないこと。なお、本剤は、無色～黄色澄明である。

14.1.2 冷蔵保存したシリンジは、使用前に個装箱に入れたまま室内で約30分間放置して室温に戻すこと。

14.2 薬剤投与時の注意

14.2.1 投与部位は、腹部、大腿部又は上腕部とすること。同一部位への繰り返し投与は避け、投与毎に投与部位を変えること。

14.2.2 皮膚が敏感な部位、皮膚に異常のある部位（傷、発疹、発赤、硬結等）には注射しないこと。

14.2.3 本剤は1回使用の製剤であり、1回に全量を使用し再使用しないこと。使用後は針が格納されるため、分解しないこと。

＜解説＞

本剤が適切に投与されるよう設定しました。

Alnylam Japan株式会社
〒100-6211 東京都千代田区丸の内一丁目11番1号
パシフィックセンチュリープレイス丸の内11階

© 2022-2025 Alnylam Japan K.K. All rights reserved. AMV-JPN-01516-062025

2025年6月作成