

ガラフォルドに反応性のある GLA変異一覧

(2019年4月8日)

ガラフォルドは「ミガーラスタートに反応性のあるGLA遺伝子変異を伴うファブリー病」に対して効能・効果を有しています。

ガラフォルドによる治療に対して反応性があると考えられるファブリー病患者を特定するために、医薬品の安全性に関する非臨床試験の実施の基準(GLP)に準拠したガラフォルド反応性確認試験(ヒト胎児腎細胞アッセイ系)が開発され、臨床試験で検証されています。

以下の表は、2019年4月8日までに、ガラフォルドに反応性があると分類されているGLA遺伝子変異のみを示しています。ガラフォルドに反応性のある変異及び反応性のない変異、双方についての一覧表は、以下のウェブサイトに掲載しています：www.galafoldamenabilitytable.com

「効能・効果」、「用法・用量」、「禁忌を含む使用上の注意」等につきましては、裏表紙のDIをご参照ください。



ファブリー病治療剤 処方箋医薬品^{注)}

薬価基準収載

ガラフォルド[®] カプセル123mg
GALAFOLD[®] Capsules 123mg (ミガーラスタート塩酸塩)

注) 注意-医師等の処方箋により使用すること

【禁忌(次の患者には投与しないこと)】

本剤の成分に対し過敏症の既往歴のある患者

ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧 (2019年4月8日)

塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化	塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化
c.7C>G	c.C7G	L3V	c.124A>G	c.A124G	M42V
c.8T>C	c.T8C	L3P	c.125T>A	c.T125A	M42K
c.[11G>T; 620A>C]	c.G11T/A620C	R4M/Y207S*	c.125T>C	c.T125C	M42T
c.37G>A	c.G37A	A13T	c.125T>G	c.T125G	M42R
c.37G>C	c.G37C	A13P	c.126G>A または c.126G>C または c.126G>T	c.G126A または c.G126C または c.G126T	M42I
c.43G>A	c.G43A	A15T	c.137A>C	c.A137C	H46P
c.44C>G	c.C44G	A15G	c.142G>C	c.G142C	E48Q
c.53T>G	c.T53G	F18C	c.152T>A	c.T152A	M51K
c.58G>C	c.G58C	A20P	c.153G>A または c.153G>T または c.153G>C	c.G153A または c.G153T または c.G153C	M51I
c.59C>A	c.C59A	A20D	c.[157A>C; 158A>T]	c.A157C/A158T	N53L
c.65T>G	c.T65G	V22G	c.157A>G	c.A157G	N53D
c.70T>C または c.70T>A	c.T70C または c.T70A	W24R	c.157A>T	c.A157T	N53Y
c.70T>G	c.T70G	W24G	c.159C>G または c.159C>A	c.C159G または c.C159A	N53K
c.72G>C または c.72G>T	c.G72C または c.G72T	W24C	c.160C>T	c.C160T	L54F
c.86C>A	c.C86A	A29D	c.161T>C	c.T161C	L54P
c.95T>C	c.T95C	L32P	c.164A>G	c.A164G	D55G
c.97G>C	c.G97C	D33H	c.164A>T	c.A164T	D55V
c.97G>T	c.G97T	D33Y	c.[164A>T; 170A>T]	c.A164T/A170T	D55V/Q57L*
c.98A>G	c.A98G	D33G	c.167G>A	c.G167A	C56Y
c.100A>C	c.A100C	N34H	c.167G>T	c.G167T	C56F
c.100A>G	c.A100G	N34D	c.170A>G	c.A170G	Q57R
c.101A>C	c.A101C	N34T	c.170A>T	c.A170T	Q57L
c.101A>G	c.A101G	N34S	c.175G>A	c.G175A	E59K
c.102T>G または c.102T>A	c.T102G または c.T102A	N34K	c.178C>A	c.C178A	P60T
c.103G>C または c.103G>A	c.G103C または c.G103A	G35R	c.178C>T	c.C178T	P60S
c.104G>A	c.G104A	G35E	c.179C>T	c.C179T	P60L
c.104G>C	c.G104C	G35A	c.184_185insTAG	c.184_185insTAG	S62delinsLA
c.104G>T	c.G104T	G35V	c.196G>A	c.G196A	E66K
c.107T>C	c.T107C	L36S	c.197A>G	c.A197G	E66G
c.107T>G	c.T107G	L36W	c.207C>A または c.207C>G	c.C207A または c.C207G	F69L
c.108G>C または c.108G>T	c.G108C または c.G108T	L36F	c.214A>G	c.A214G	M72V
c.109G>A	c.G109A	A37T	c.216G>A または c.216G>T または c.216G>C	c.G216A または c.G216T または c.G216C	M72I
c.110C>T	c.C110T	A37V	c.218C>T	c.C218T	A73V
c.114G>C	c.G114C	R38S			
c.122C>T	c.C122T	T41I			
c.124A>C または c.124A>T	c.A124C または c.A124T	M42L			

*同一染色体上にある多重変異を表しています。

ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧 (2019年4月8日)

塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化
c.227T>C	c.T227C	M76T
c.239G>A	c.G239A	G80D
c.239G>T	c.G239T	G80V
c.247G>A	c.G247A	D83N
c.253G>A	c.G253A	G85S
c.[253G>A; 254G>A]	c.G253A/G254A	G85N
c.[253G>A; 254G>T; 255T>G]	c.G253A/G254T/T255G	G85M
c.254G>A	c.G254A	G85D
c.261G>C または c.261G>T	c.G261C または c.G261T	E87D
c.263A>C	c.A263C	Y88S
c.263A>G	c.A263G	Y88C
c.265C>T	c.C265T	L89F
c.272T>C	c.T272C	I91T
c.286A>G	c.A286G	M96V
c.288G>A または c.288G>T または c.288G>C	c.G288A または c.G288T または c.G288C	M96I
c.289G>C	c.G289C	A97P
c.290C>T	c.C290T	A97V
c.305C>T	c.C305T	S102L
c.311G>T	c.G311T	G104V
c.316C>T	c.C316T	L106F
c.320A>G	c.A320G	Q107R
c.322G>A	c.G322A	A108T
c.326A>G	c.A326G	D109G
c.334C>G	c.C334G	R112G
c.335G>A	c.G335A	R112H
c.335G>T	c.G335T	R112L
c.337T>A	c.T337A	F113I
c.337T>C または c.339T>A または c.339T>G	c.T337C または c.T339A または c.T339G	F113L
c.352C>T	c.C352T	R118C
c.361G>A	c.G361A	A121T
c.368A>G	c.A368G	Y123C
c.371T>G	c.T371G	V124G
c.373C>T	c.C373T	H125Y
c.374A>T	c.A374T	H125L

塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化
c.376A>G	c.A376G	S126G
c.383G>A	c.G383A	G128E
c.397A>T	c.A397T	I133F
c.399T>G	c.T399G	I133M
c.404C>T	c.C404T	A135V
c.408T>A または c.408T>G	c.T408A または c.T408G	D136E
c.416A>G	c.A416G	N139S
c.419A>C	c.A419C	K140T
c.427G>A	c.G427A	A143T
c.428C>T	c.C428T	A143V
c.431G>A	c.G431A	G144D
c.431G>T	c.G431T	G144V
c.434T>C	c.T434C	F145S
c.436C>T	c.C436T	P146S
c.437C>G	c.C437G	P146R
c.454T>A	c.T454A	Y152N
c.454T>C	c.T454C	Y152H
c.454T>G	c.T454G	Y152D
c.455A>G	c.A455G	Y152C
c.465T>A または c.465T>G	c.T465A または c.T465G	D155E
c.466G>A	c.G466A	A156T
c.466G>T	c.G466T	A156S
c.467C>T	c.C467T	A156V
c.471G>C または c.471G>T	c.G471C または c.G471T	Q157H
c.476T>G	c.T476G	F159C
c.479C>A	c.C479A	A160D
c.484T>G	c.T484G	W162G
c.493G>A	c.G493A	D165N
c.493G>C	c.G493C	D165H
c.494A>G	c.A494G	D165G
c.496_497delinsTC	c.496_497delinsTC	L166S
c.496C>G	c.C496G	L166V
c.[496C>G; 497T>G]	c.C496G/T497G	L166G
c.499C>G	c.C499G	L167V
c.505T>A	c.T505A	F169I
c.506T>C	c.T506C	F169S

ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧 (2019年4月8日)

塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化	塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化
c.511G>A	c.G511A	G171S	c.613C>A	c.C613A	P205T
c.520T>C	c.T520C	C174R	c.613C>T	c.C613T	P205S
c.520T>G	c.T520G	C174G	c.614C>T	c.C614T	P205L
c.525C>G または c.525C>A	c.C525G または c.C525A	D175E	c.619T>C	c.T619C	Y207H
c.538T>G	c.T538G	L180V	c.620A>C	c.A620C	Y207S
c.539T>G	c.T539G	L180W	c.623T>G	c.T623G	M208R
c.540G>C または c.540G>T	c.G540C または c.G540T	L180F	c.625T>A	c.T625A	W209R
c.545A>G	c.A545G	D182G	c.628C>T	c.C628T	P210S
c.548G>A	c.G548A	G183D	c.629C>T	c.C629T	P210L
c.548G>C	c.G548C	G183A	c.638A>G	c.A638G	K213R
c.550T>A	c.T550A	Y184N	c.638A>T	c.A638T	K213M
c.551A>G	c.A551G	Y184C	c.640C>T	c.C640T	P214S
c.553A>G	c.A553G	K185E	c.641C>T	c.C641T	P214L
c.559_564dup	c.559_564dup	p.M187_S188dup	c.643A>G	c.A643G	N215D
c.559A>G	c.A559G	M187V	c.644A>G	c.A644G	N215S
c.560T>C	c.T560C	M187T	c.[644A>G; 937G>T]	c.A644G/G937T	N215S/D313Y*
c.561G>T または c.561G>A または c.561G>C	c.G561T または c.G561A または c.G561C	M187I	c.644A>T	c.A644T	N215I
c.567G>C または c.567G>T	c.G567C または c.G567T	L189F	c.646T>G	c.T646G	Y216D
c.572T>A	c.T572A	L191Q	c.647A>C	c.A647C	Y216S
c.580A>G	c.A580G	T194A	c.647A>G	c.A647G	Y216C
c.581C>T	c.C581T	T194I	c.655A>C	c.A655C	I219L
c.584G>T	c.G584T	G195V	c.656T>A	c.T656A	I219N
c.586A>G	c.A586G	R196G	c.656T>C	c.T656C	I219T
c.587G>C	c.G587C	R196T	c.659G>A	c.G659A	R220Q
c.593T>C	c.T593C	I198T	c.659G>C	c.G659C	R220P
c.595G>A	c.G595A	V199M	c.662A>C	c.A662C	Q221P
c.596T>C	c.T596C	V199A	c.664T>G	c.T664G	Y222D
c.596T>G	c.T596G	V199G	c.671A>C	c.A671C	N224T
c.599A>G	c.A599G	Y200C	c.671A>G	c.A671G	N224S
c.602C>A	c.C602A	S201Y	c.673C>G	c.C673G	H225D
c.602C>T	c.C602T	S201F	c.682A>G	c.A682G	N228D
c.608A>T	c.A608T	E203V	c.683A>G	c.A683G	N228S
c.609G>C または c.609G>T	c.G609C または c.G609T	E203D	c.687T>A または c.687T>G	c.T687A または c.T687G	F229L
c.610T>G	c.T610G	W204G	c.695T>C	c.T695C	I232T
c.611G>T	c.G611T	W204L	c.712A>G	c.A712G	S238G
			c.713G>A	c.G713A	S238N

*同一染色体上にある多重変異を表しています。

ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧 (2019年4月8日)

塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化
c.716T>C	c.T716C	I239T
c.717A>G	c.A717G	I239M
c.720G>C または c.720G>T	c.G720C または c.G720T	K240N
c.724A>G	c.A724G	I242V
c.724A>T	c.A724T	I242F
c.725T>A	c.T725A	I242N
c.725T>C	c.T725C	I242T
c.728T>G	c.T728G	L243W
c.729G>C または c.729G>T	c.G729C または c.G729T	L243F
c.730G>A	c.G730A	D244N
c.730G>C	c.G730C	D244H
c.733T>G	c.T733G	W245G
c.740C>G	c.C740G	S247C
c.747C>G または c.747C>A	c.C747G または c.C747A	N249K
c.748C>A	c.C748A	Q250K
c.749A>C	c.A749C	Q250P
c.749A>G	c.A749G	Q250R
c.750G>C	c.G750C	Q250H
c.758T>C	c.T758C	I253T
c.758T>G	c.T758G	I253S
c.760-762delGTT または c.761-763del	c.760_762delGTT または c.761_763del	p.V254del
c.769G>A	c.G769A	A257T
c.769G>C	c.G769C	A257P
c.770C>G	c.C770G	A257G
c.770C>T	c.C770T	A257V
c.772G>C または c.772G>A	c.G772C または c.G772A	G258R
c.773G>T	c.G773T	G258V
c.776C>A	c.C776A	P259Q
c.776C>G	c.C776G	P259R
c.776C>T	c.C776T	P259L
c.779G>A	c.G779A	G260E
c.779G>C	c.G779C	G260A
c.781G>A	c.G781A	G261S
c.781G>C	c.G781C	G261R
c.781G>T	c.G781T	G261C

塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化
c.788A>G	c.A788G	N263S
c.790G>T	c.G790T	D264Y
c.794C>T	c.C794T	P265L
c.800T>C	c.T800C	M267T
c.805G>A	c.G805A	V269M
c.806T>C	c.T806C	V269A
c.809T>C	c.T809C	I270T
c.810T>G	c.T810G	I270M
c.811G>A	c.G811A	G271S
c.[811G>A; 937G>T]	c.G811A/G937T	G271S/D313Y*
c.812G>A	c.G812A	G271D
c.812G>C	c.G812C	G271A
c.823C>G	c.C823G	L275V
c.827G>A	c.G827A	S276N
c.827G>C	c.G827C	S276T
c.829T>G	c.T829G	W277G
c.831G>T または c.831G>C	c.G831T または c.G831C	W277C
c.832A>T	c.A832T	N278Y
c.835C>G	c.C835G	Q279E
c.838C>A	c.C838A	Q280K
c.840A>T または c.840A>C	c.A840T または c.A840C	Q280H
c.844A>G	c.A844G	T282A
c.845C>T	c.C845T	T282I
c.850A>G	c.A850G	M284V
c.851T>C	c.T851C	M284T
c.860G>T	c.G860T	W287L
c.862G>C	c.G862C	A288P
c.866T>G	c.T866G	I289S
c.868A>C または c.868A>T	c.A868C または c.A868T	M290L
c.868A>G	c.A868G	M290V
c.869T>C	c.T869C	M290T
c.870G>A または c.870G>C または c.870G>T	c.G870A または c.G870C または c.G870T	M290I
c.871G>A	c.G871A	A291T
c.877C>A	c.C877A	P293T
c.881T>C	c.T881C	L294S

*同一染色体上にある多重変異を表しています。

ガラフォルドに反応性のある GLA 変異一覧 (2019年4月8日)

塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化
c.884T>G	c.T884G	F295C
c.886A>G	c.A886G	M296V
c.886A>T または c.886A>C	c.A886T または c.A886C	M296L
c.887T>C	c.T887C	M296T
c.888G>A または c.888G>T または c.888G>C	c.G888A または c.G888T または c.G888C	M296I
c.893A>G	c.A893G	N298S
c.897C>G または c.897C>A	c.C897G または c.C897A	D299E
c.898C>T	c.C898T	L300F
c.899T>C	c.T899C	L300P
c.901C>G	c.C901G	R301G
c.902G>A	c.G902A	R301Q
c.902G>C	c.G902C	R301P
c.902G>T	c.G902T	R301L
c.907A>G	c.A907G	I303V
c.907A>T	c.A907T	I303F
c.908T>A	c.T908A	I303N
c.908T>C	c.T908C	I303T
c.911G>A	c.G911A	S304N
c.911G>C	c.G911C	S304T
c.919G>A	c.G919A	A307T
c.922A>G	c.A922G	K308E
c.924A>T または c.924A>C	c.A924T または c.A924C	K308N
c.925G>C	c.G925C	A309P
c.926C>T	c.C926T	A309V
c.928C>G	c.C928G	L310V
c.928C>T	c.C928T	L310F
c.931C>G	c.C931G	L311V
c.935A>G	c.A935G	Q312R
c.936G>T または c.936G>C	c.G936T または c.G936C	Q312H
c.937G>T	c.G937T	D313Y
c.[937G>T; 1232G>A]	c.G937T/G1232A	D313Y/G411D*
c.938A>G	c.A938G	D313G
c.946G>A	c.G946A	V316I
c.947T>G	c.T947G	V316G
c.950T>C	c.T950C	I317T

塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化
c.955A>T	c.A955T	I319F
c.956T>C	c.T956C	I319T
c.958A>C	c.A958C	N320H
c.959A>T	c.A959T	N320I
c.962A>G	c.A962G	Q321R
c.962A>T	c.A962T	Q321L
c.963G>C または c.963G>T	c.G963C または c.G963T	Q321H
c.964G>A	c.G964A	D322N
c.964G>C	c.G964C	D322H
c.966C>A または c.966C>G	c.C966A または c.C966G	D322E
c.967C>A	c.C967A	P323T
c.968C>G	c.C968G	P323R
c.973G>A	c.G973A	G325S
c.973G>C	c.G973C	G325R
c.978G>C または c.978G>T	c.G978C または c.G978T	K326N
c.979C>G	c.C979G	Q327E
c.980A>T	c.A980T	Q327L
c.983G>C	c.G983C	G328A
c.989A>C	c.A989C	Q330P
c.989A>G	c.A989G	Q330R
c.1001G>A	c.G1001A	G334E
c.1010T>C	c.T1010C	F337S
c.1012G>A	c.G1012A	E338K
c.1013A>T	c.A1013T	E338V
c.1016T>A	c.T1016A	V339E
c.1016T>C	c.T1016C	V339A
c.1027C>A	c.C1027A	P343T
c.1028C>T	c.C1028T	P343L
c.1033T>C	c.T1033C	S345P
c.1046G>C	c.G1046C	W349S
c.1055C>G	c.C1055G	A352G
c.1055C>T	c.C1055T	A352V
c.1061T>A	c.T1061A	I354K
c.1066C>G	c.C1066G	R356G
c.1066C>T	c.C1066T	R356W
c.1067G>A	c.G1067A	R356Q

*同一染色体上にある多重変異を表しています。

ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧 (2019年4月8日)

塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化	塩基の変化	塩基の変化	アミノ酸の変化
c.1067G>C	c.G1067C	R356P	c.1225C>T	c.C1225T	P409S
c.1072G>C	c.G1072C	E358Q	c.1228A>G	c.A1228G	T410A
c.1073A>C	c.A1073C	E358A	c.1229C>T	c.C1229T	T410I
c.1073A>G	c.A1073G	E358G	c.1231G>A	c.G1231A	G411S
c.1074G>Tまたはc.1074G>C	c.G1074Tまたはc.G1074C	E358D	c.1232G>A	c.G1232A	G411D
c.1076T>C	c.T1076C	I359T	c.1234A>C	c.A1234C	T412P
c.1078G>A	c.G1078A	G360S	c.1235C>A	c.C1235A	T412N
c.1078G>C	c.G1078C	G360R	c.1253A>G	c.A1253G	E418G
c.1078G>T	c.G1078T	G360C	c.1255A>G	c.A1255G	N419D
c.1079G>A	c.G1079A	G360D	c.1261A>G	c.A1261G	M421V
c.1079G>C	c.G1079C	G360A			
c.1082G>A	c.G1082A	G361E			
c.1082G>C	c.G1082C	G361A			
c.1084C>A	c.C1084A	P362T			
c.1085C>T	c.C1085T	P362L			
c.1087C>T	c.C1087T	R363C			
c.1088G>A	c.G1088A	R363H			
c.1102G>A	c.G1102A	A368T			
c.1117G>A	c.G1117A	G373S			
c.1124G>A	c.G1124A	G375E			
c.1124G>C	c.G1124C	G375A			
c.1139C>T	c.C1139T	P380L			
c.1153A>G	c.A1153G	T385A			
c.1168G>A	c.G1168A	V390M			
c.1171A>G	c.A1171G	K391E			
c.1172A>C	c.A1172C	K391T			
c.1175G>C	c.G1175C	R392T			
c.1181T>C	c.T1181C	L394P			
c.1184G>A	c.G1184A	G395E			
c.1184G>C	c.G1184C	G395A			
c.1192G>A	c.G1192A	E398K			
c.1202_1203insGACTTC	c.1202_1203insGACTTC	p.T400_S401dup			
c.1208T>C	c.T1208C	L403S			
c.1222A>T	c.A1222T	N408Y			
c.1225C>A	c.C1225A	P409T			
c.1225C>G	c.C1225G	P409A			

ファブリー病治療剤 処方箋医薬品[※]ガラフォルド[®] カプセル123mgGALAFOLD[®] Capsules 123mg

ミガーラスタット塩酸塩

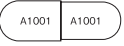
日本標準商品分類番号	873999
承認番号	23000AMX00463000
薬価収載	2018年5月
販売開始	2018年5月
国際誕生	2016年5月

貯法：室温保存
使用期限：外箱等に表示
注）注意—医師等の処方箋により使用すること

【禁忌（次の患者には投与しないこと）】

本剤の成分に対し過敏症の既往歴のある患者

【組成・性状】

有効成分 (1カプセル中)	ミガーラスタット塩酸塩150mg (ミガーラスタットとして123mg)
添加物	内容物：部分アルファー化デンプン、ステアリン酸マグネシウム カプセル：ゼラチン、酸化チタン、青色二号
色・剤形	ポディが白色不透明でキャップが青色不透明の硬カプセル
外形	
大きさ	6.4 × 18.0mm (2号)
識別コード	A1001

【効能・効果】

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

〈効能・効果に関連する使用上の注意〉

1. 本剤はファブリー病と確定診断された患者に対して使用すること。
2. 本剤の投与開始に先立って、患者のGLA遺伝子変異のミガーラスタットに対する反応性を確認すること（【主要文献及び文献請求先】の項 お問い合わせ先参照）。

【用法・用量】

通常、16歳以上の患者にはミガーラスタットとして1回123mgを隔日経口投与する。なお、食事の前後2時間を避けて投与すること。

〈用法・用量に関連する使用上の注意〉

1. 本剤の曝露量は食事の影響を受けるため、食事の前後2時間を避けて投与すること（【薬物動態】の項参照）。
2. 投与時刻は原則毎回一定とする。服用予定時刻に服用できなかった場合は、服用予定時刻から12時間以内に服用すること。服用予定時刻から12時間を越えた場合は、次の服用予定日時から服用を再開すること。

【使用上の注意】

1. 重要な基本的注意

- (1) 本剤投与中は、定期的に腎機能、心機能、臨床検査値等を確認する等経過を十分に観察し、本剤投与で効果が認められない場合には治療法の変更を考慮すること。
- (2) 重度の腎機能障害のある患者では、本剤の血中濃度が上昇するおそれがあり、有効性及び安全性は検討されていないことから、重度の腎機能障害のある患者への投与は推奨されない（【薬物動態】【臨床成績】【薬効薬理】の項参照）。
- (3) 酵素補充療法との併用に関する有効性及び安全性は確立されていない。

2. 副作用

承認時までに実施された国際共同第Ⅲ相試験及び海外第Ⅲ相試験における成績では、本剤を投与されたファブリー病患者115例（日本人6例を含む）中47例（40.9%）に臨床検査値異常を含む副作用が認められた。主な副作用は、頭痛12例（10.4%）、下痢9例（7.8%）、及び浮動性めまい、悪心、及び錯感覚各6例（5.2%）であった。

その他の副作用[※]

以下の副作用が認められた場合には、症状に応じて適切な処置を行うこと。

	10%以上	5%以上10%未満	1%以上5%未満
心臓			動悸
耳および迷路			回転性めまい
胃腸		下痢、悪心	腹痛、便秘、口内乾燥、便秘切迫、消化不良
一般・全身			疲労、疼痛
臨床検査			血中クレアチンホスホキナーゼ増加、体重増加
筋骨格系および結合組織			筋痙攣、筋肉痛、斜頸、四肢痛

	10%以上	5%以上10%未満	1%以上5%未満
神経系	頭痛	浮動性めまい、錯感覚	感覚鈍麻
精神			うつ病
腎および尿路			蛋白尿
呼吸器、胸郭および縦隔			呼吸困難、鼻出血
皮膚および皮下組織			発疹、そう痒症

注）国際共同第Ⅲ相試験及び海外第Ⅲ相試験の結果から集計した。

3. 高齢者への投与

一般に高齢者では生理機能が低下しており、合併症や併用薬の使用が多くみられることから、患者の状態を観察しながら慎重に投与すること。

4. 妊婦、産婦、授乳婦等への投与

(1) 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使用すること。[ウサギ胚胎児発生に関する試験において、臨床推奨用量投与時の曝露量の244倍以上に相当するミガーラスタットの投与により、母動物毒性が発現し、着床後胚死亡率の増加、体重減少、流産、骨化遅延、軽微な骨異常の増加等が認められた。]

(2) 授乳中の女性には投与しないこと。投与する場合には授乳を中止すること。[動物試験(ラット)で乳汁中への移行が認められた。]

5. 小児等への投与

低出生体重児、新生児、乳児、幼児又は小児に対する安全性は確立していない。[使用経験がない。]

6. 過量投与

海外の臨床試験において、健康成人に1250mg又は2000mgを単回投与したところ、最も頻りに報告された副作用は、頭痛及び浮動性めまいであった。

7. その他の注意

雄ラットの受胎能及び初期胚発生に関する試験において、臨床推奨用量投与時の曝露量の0.163倍、1.5倍に相当するミガーラスタットの投与により、受胎率の低下（それぞれ75%、55%）が認められた。受胎率の低下は投与中止4週間後に回復した。

【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。
- 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、再審査期間中の全投与症例を対象に使用成績調査を実施することにより、本剤の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。

【包装】

7カプセル 1シート PTP

【文献請求先】

主要文献に記載の社内資料につきましても下記にご請求下さい。

アマカス・セラピューティクス株式会社

コールセンター

〒100-0005 東京都千代田区丸の内一丁目6番2号

新丸の内センタービルディング19階

フリーダイヤル 0120-907-477

受付時間：9:00～17:00（土・日・祝日及び会社休日を除く）

お問い合わせ先（GLA遺伝子変異のミガーラスタットに対する反応性に関するお問い合わせ）：

患者のGLA遺伝子変異のミガーラスタットに対する反応性は、アマカス・セラピューティクス株式会社が提供する「ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧表」又は専用のウェブサイト（www.galafoldamenabilitytable.com）を確認してください。「ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧表」又は専用のウェブサイトにて患者のGLA遺伝子変異が未掲載であった場合等には、下記にお問い合わせください。

コールセンター

フリーダイヤル 0120-907-477

e-mail info@amicusrx.jp

【製造販売】

アマカス・セラピューティクス株式会社

〒100-0005 東京都千代田区丸の内一丁目6番2号

新丸の内センタービルディング19階