



ウイルスベクター製品
ゾルゲンスマ[®] 点滴静注
zolgensma[®] オナセムノゲン アベパルボベク

再生医療等製品

薬価基準収載



包装：患者の体重に応じて5.5mLバイアルと8.3mLバイアルを組み合わせ、個包装に包装しています。
※バイアルの製品ラベルは英語表記で、バイアルの種類（5.5mL又は8.3mL）を確認する目的のみご参照ください。

医療関係者 各位

新発売のお知らせ

令和2年5月吉日

謹啓 時下ますますご清祥のこととお慶び申し上げます。
平素は弊社ならびに弊社製品に格別のご高配を賜り、厚く御礼申し上げます。

さて、このたび、「ゾルゲンスマ[®] 点滴静注」（一般的名称：オナセムノゲン アベパルボベク、以下「ゾルゲンスマ」）を発売いたしましたので、ご案内申し上げます。

ゾルゲンスマは、SMAの原因遺伝子であるヒト運動神経細胞生存 (Survival Motor Neuron: SMN) タンパク質をコードする遺伝子を組み込んだ、野生型のアデノ随伴ウイルス9型 (AAV9) を利用した遺伝子治療用ベクター製品です。なお、下記に記載がございます承認条件が付与されており、要件を満たす施設／医師によってのみ治療が可能です。

今後とも、より一層のご指導、ご鞭撻を賜りますようお願い申し上げます。

謹白
ノバルティス ファーマ株式会社

【効能、効果又は性能】

脊髄性筋萎縮症（臨床所見は発現していないが、遺伝子検査により脊髄性筋萎縮症の発症が予測されるものも含む）ただし、抗AAV9抗体が陰性の患者に限る

《効能、効果又は性能に関連する使用上の注意》

- (1) SMN1 遺伝子の両アレル性の欠失又は変異が確認された患者に投与すること。
- (2) 2歳未満の患者に投与すること。
- (3) 疾患が進行した患者（永続的な人工呼吸が導入された患者等）における有効性及び安全性は確立していないことから、これらの患者に投与する場合には、リスクとベネフィットを十分考慮すること。
- (4) 承認された体外診断薬を用いた検査により抗AAV9抗体が陰性であることが確認された患者に投与すること。

承認条件及び期限

1. 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の成績に関する調査を実施することにより、本品使用患者の背景情報を把握するとともに、本品の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本品の適正使用に必要な措置を講ずること。また、製造販売後調査等における対象患者の長期成績について、解析結果を厚生労働省及び医薬品医療機器総合機構宛て報告するとともに、必要に応じ適切な措置を講ずること。
2. 脊髄性筋萎縮症に関する十分な知識及び経験を有する医師が、本品の臨床試験成績及び有害事象等の知識を十分に習得した上で、脊髄性筋萎縮症の治療に係る体制が整った医療機関において、「効能、効果又は性能」並びに「用法及び用量又は使用方法」を遵守して本品を用いるよう、関連学会との協力により作成された適正使用指針の周知等、必要な措置を講ずること。
3. 「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成15年法律第97号）」に基づき承認された第一種使用規程を遵守して本品を用いるよう、その使用規程の周知等、必要な措置を講ずること。

各種コードの詳細につきましては、裏面をご覧ください。

製品名	ゾルゲンスマ®点滴静注
剤形	注射剤(静注用溶液)
規制区分	再生医療等製品(ウイルスベクター製品) 遺伝子組換え生物等の第一種使用規程承認取得製品
規格・含量	1 mL中にアデノ随伴ウイルス9型のカプシドを有するヒトSMNタンパク質を 発現する非増殖性遺伝子組換えアデノ随伴ウイルス 2.0×10^{13} vgを含有する
貯蔵方法及び有効期間等	<貯蔵方法> -60℃以下 <有効期間> 12ヵ月 本品は、凍結した状態で医療機関に納入される。本品の受領後速やかに、2~8℃で保存し、14日間保存できる。
製造販売承認年月日 薬価基準収載・販売開始年月日	製造販売承認年月日：2020年3月19日 薬価基準収載年月日：2020年5月20日 販売開始年月日：2020年5月20日

製品情報の詳細については、添付文書をご参照ください。

各種コード						
包装 mL (5.5mLバイアル本数- 8.3mLバイアル本数)	JANコード	統一商品 コード	HOTコード	単位薬価(円)	薬価基準収載 医薬品コード	レセプト電算 処理コード
16.6mL (0-2)	4987443393745	443393745	1970050010101	167,077,222	4900404X1020	629700501
19.3mL (2-1)	4987443393752	443393752	1970050010201	167,077,222	4900404X1020	629700501
22.1mL (1-2)	4987443393769	443393769	1970050010301	167,077,222	4900404X1020	629700501
24.9mL (0-3)	4987443393776	443393776	1970050010401	167,077,222	4900404X1020	629700501
27.6mL (2-2)	4987443393783	443393783	1970050010501	167,077,222	4900404X1020	629700501
30.4mL (1-3)	4987443393790	443393790	1970050010601	167,077,222	4900404X1020	629700501
33.2mL (0-4)	4987443393806	443393806	1970050010701	167,077,222	4900404X1020	629700501
35.9mL (2-3)	4987443393813	443393813	1970050010801	167,077,222	4900404X1020	629700501
38.7mL (1-4)	4987443393820	443393820	1970050010901	167,077,222	4900404X1020	629700501
41.5mL (0-5)	4987443393837	443393837	1970050011001	167,077,222	4900404X1020	629700501
44.2mL (2-4)	4987443393844	443393844	1970050011101	167,077,222	4900404X1020	629700501
47.0mL (1-5)	4987443393851	443393851	1970050011201	167,077,222	4900404X1020	629700501
49.8mL (0-6)	4987443393868	443393868	1970050011301	167,077,222	4900404X1020	629700501
52.5mL (2-5)	4987443393875	443393875	1970050011401	167,077,222	4900404X1020	629700501
55.3mL (1-6)	4987443393882	443393882	1970050011501	167,077,222	4900404X1020	629700501
58.1mL (0-7)	4987443393899	443393899	1970050011601	167,077,222	4900404X1020	629700501
60.8mL (2-6)	4987443393905	443393905	1970050011701	167,077,222	4900404X1020	629700501
63.6mL (1-7)	4987443393912	443393912	1970050011801	167,077,222	4900404X1020	629700501
66.4mL (0-8)	4987443393929	443393929	1970050011901	167,077,222	4900404X1020	629700501
69.1mL (2-7)	4987443393936	443393936	1970050012001	167,077,222	4900404X1020	629700501
71.9mL (1-8)	4987443393943	443393943	1970050012101	167,077,222	4900404X1020	629700501
74.7mL (0-9)	4987443393950	443393950	1970050012201	167,077,222	4900404X1020	629700501
77.4mL (2-8)	4987443393967	443393967	1970050012301	167,077,222	4900404X1020	629700501
80.2mL (1-9)	4987443393974	443393974	1970050012401	167,077,222	4900404X1020	629700501
83.0mL (0-10)	4987443393981	443393981	1970050012501	167,077,222	4900404X1020	629700501
85.7mL (2-9)	4987443393998	443393998	1970050012601	167,077,222	4900404X1020	629700501
88.5mL (1-10)	4987443394001	443394001	1970050012701	167,077,222	4900404X1020	629700501
91.3mL (0-11)	4987443394018	443394018	1970050012801	167,077,222	4900404X1020	629700501
94.0mL (2-10)	4987443394025	443394025	1970050012901	167,077,222	4900404X1020	629700501
96.8mL (1-11)	4987443394032	443394032	1970050013001	167,077,222	4900404X1020	629700501
99.6mL (0-12)	4987443394049	443394049	1970050013101	167,077,222	4900404X1020	629700501

製造販売

(文献請求先及び問い合わせ先)

ノバルティス ファーマ株式会社
東京都港区虎ノ門1-23-1 〒105-6333

ノバルティス ダイレクト

TEL: 0120-003-293

販売情報提供活動に関するご意見

TEL: 0120-907-026

受付時間: 月~金 9:00~17:30 (祝祭日及び当社休日を除く)

ZOL00004AA0001

2020年5月作成