

セレザイム供給制限に関連した患者様への Q&A

セレザイム検討委員会

1. 酵素補充療法中止期間中の生活の中で、運動制限などの注意事項はありますか。
 - 今まで通りの生活でよろしいと思います。運動も特に制限する必要はなく、これまでと同様に活動されてよいと思います。ただし、転倒や骨折にはご注意ください。
2. どんな症状が出たら、病院へ行ったらよいでしょうか。
 - ゴーシェ病の症状と思われる症状がこれまでより強くなった、これまでなかったのに出てきた、というような時は主治医の先生に相談された方がよいでしょう。
3. 病院に行って診察を受けた場合、小児慢性や特定疾患などの保険は適用されますか。
 - これまでと変わりなく、保険適用されます。
4. セレザイムを中止している間、他の薬剤を使用することができますか。
 - ゴーシェ病の治療薬は、セレザイム以外は現在日本では承認されておりません。海外（アメリカやヨーロッパ）では経口薬が承認・発売されておりますので、個人輸入という方法があります。主治医の先生にご相談されるのがよいでしょう。また、海外で臨床試験中のセレザイム以外の薬剤が、試験的に使用できる可能性があります。現時点では使用できる時期は決まっていません。（今後の状況次第で、代替品の可能性はあります）
5. 骨に対する影響はありますか。
 - 骨に対しては、2～3ヶ月の治療中止では、大きな影響はないと思われます。
6. 3型の神経症状の進行は予想されますか。
 - 患者さんによって症状の重症度にかかなり違いがありますので、一概には申し上げられません。主治医の先生にご相談されるのがよいと思います。
7. 肝臓、脾臓、血液データはどのように推移すると思われますか。
 - 患者さんによって症状の重症度にかかなり違いがありますので、一概には申し上げられません。主治医の先生にご相談されるのがよいと思います。海外の論文では、15人の患者様が治療を8ヶ月から47ヶ月中断後、肝臓と脾臓の大きさ、貧血や血小板

数の減少が、酵素補充療法を始める前の状況に戻ることはなかったという報告もあります。

Withdrawal of enzyme replacement therapy in Gaucher's disease. British Journal of Haematology
Vol.110 p488-492, 2000

8. ゴーシェ病の酵素補充療法薬がなかったころ、どのように治療していましたか。
 - 貧血の薬や、骨折した場合に手術をするなどしかありませんでした。

9. 食事で気をつけることはありますか。
 - 特にありませんが、栄養バランスのよい食事を心がけて下さい。

10. セレザイムを長期にわたって中断することは、今後どのような症状が現れると予想されますか。
 - 患者さんによって、病気の重症度が違いますので、一概には言えません。しかし、ゴーシェ病の症状が出てくる可能性は否定は出来ません。また、質問7の答えにある論文のデータも参考にしてください。

11. 供給制限がある間、投与量が6分の1になった場合、投与時間も6分の1になりますか。
 - 希釈する輸液の量は同じなので投与時間は今までと同じくらいだと思いますが、短くできる可能性もありますので、主治医にお尋ねください。

12. サプリメントや漢方など色々な市販されておりますが、ゴーシェ病の患者に適しているサプリメントがありましたら、教えて下さい。
 - 血液に関係するビタミンB6やB12などは良いかもしれません。

13. 2週間に1回の投与のために通わなくなった場合、受診する間隔はどうすればよいでしょうか。
 - 1ヶ月に1回は受診されることをお勧めします。

14. 主治医以外、相談する窓口はありますか。
 - 日本先天代謝異常学会で、セレザイム検討委員会というものを設立しましたので、委員の先生に相談することができます。主治医の先生にご案内をお渡ししておりますので、まずは主治医の先生にご相談下さい。

15. 最新情報はどこから、どのように入手できますか。
- セレザイム検討委員会より、患者さん用のお知らせも含めて、進捗情報を主治医の先生にご連絡しています。
16. 新型インフルエンザウイルスに感染したら、どのように対応するのがよいですか。
- ゴーシェ病の患者さんでも、新型インフルエンザウイルスに感染した場合の対応は、一般的な対応と同じです。新型インフルエンザウイルス感染の疑いで受診される場合は、患者さん自身をよくご存知のいつもの主治医の先生に受診されるのがよいと思います。ワクチン使用が可能になりましたら、早期の接種をお勧めします。
17. 今回原因となったウイルスは人体に影響がありますか。また、薬の効果に対して影響がありますか。
- 今回特定されたベシウイルス 2117 は、人への感染報告はありません。また、出荷された薬剤への混入はありません。
18. 破棄にいたった原薬中間体と同じタンクで培養していたものは安全ですか？
- 厳密なウイルス検査を実施したうえで、ウイルスの混入が認められないことを確認して製品化しています。
19. 代替薬のための行動計画はありますか。
- 現在、各製薬会社が検討をしているようです。

*上記の回答は、8月27日時点での情報に基づき作成しています。今後変更する可能性があることをご了承ください。