2026年9月作成（第1版）

抗Ig軽鎖アミロイド線維モノクローナル抗体

アミロペイブ® 点滴静注300mg

（アンセラミマブ）

薬価基準未収載

一般名：アンセラミマブ（遺伝子組換え）

生物由来製品、処方箋医薬品（注意－医師等の処方箋により使用すること）

日本標準商品分類番号	87639
承認番号	30800AMX00341000
承認年月	2026年9月
薬価基準収載年月	薬価基準未収載
販売開始年月	
国際誕生年月	2026年9月

貯法：2～8℃で保存
有効期間：24箇月

2. 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

3. 組成・性状

3.1 組成

販売名	アミロペイブ点滴静注300mg
有効成分	1バイアル（10mL）中 アンセラミマブ（遺伝子組換え）300mg
添加剤	1バイアル（10mL）中 酢酸ナトリウム水和物30.1mg 氷酢酸1.9mg 塩化ナトリウム29.2mg D-マンニトール100mg ポリソルベート80 1.0mg

本剤は、遺伝子組換え技術によりチャイニーズハムスター卵巣（CHO）細胞を用いて製造される。

3.2 製剤の性状

販売名	アミロペイブ点滴静注300mg
性状	本品は無色～黄色の澄明又は乳白光を呈する液である
pH	5.2～5.8
浸透圧比 （生理食塩液対比）	約1（生理食塩水により希釈後（4.0～10.8mg/mL））

4. 効能又は効果

全身性ALアミロイドーシス（免疫グロブリン軽鎖がκ型優位の場合に限る）

5. 効能又は効果に関連する注意

5.1 κ/λ比等において免疫グロブリン軽鎖がκ型優位である場合にのみ投与すること。［17.1.1参照］
5.2 Mayo Stage注）IIIa又はIIIbの患者に投与すること。［17.1.1参照］
注）Mayo Clinic Staging（2004年）のEU改訂版（2013年）
5.3「17.臨床成績」の項の内容を熟知し、本剤の有効性及び安全性を十分に理解した上で、本剤の使用の必要性を慎重に検討し、適応患者の選択を行うこと。［17.1.1参照］

6. 用法及び用量

他の化学療法との併用において、通常、成人にはアンセラミマブ（遺伝子組換え）として、1回1000mg/m²（体表面積）を1週間隔で4回点滴静注し、以降は2週間隔で点滴静注する。ただし、1回量は2700mgを上限とする。

7. 用法及び用量に関連する注意

7.1 本剤を単独投与した場合の有効性及び安全性は確立していない。
7.2 臨床試験において用いられた併用薬等について、「17.臨床成績」の項の内容を熟知した上で、本剤と併用する異常形質細胞を標的とした化学療法を選択すること。本剤投与により異常形質細胞の増殖を抑制する作用は示されていない。［17.1.1参照］
7.3 Infusion reactionのリスクを低減するため、2時間以上かけて点滴静注すること。また、抗ヒスタミン剤、解熱鎮痛剤等の前投与を考慮すること。

8. 重要な基本的注意

8.1 本剤は全身性ALアミロイドーシスの診断及び治療に関する十分な知識・経験を持ち、本剤の臨床試験成績を十分に理解した医師のもとで使用すること。［17.1.1参照］

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、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投与すること。本剤を用いた生殖発生毒性試験は実施されていないが、一般にヒトIgGは胎盤を通過することが知られている。

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。本剤のヒト乳汁中への移行は不明であるが、一般にヒトIgGは乳汁中に移行することが知られている。

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。

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。

11.1 重大な副作用
11.1.1 Infusion reaction（5.9%）、**重篤な過敏症**（0.7%）
発疹、斑状丘疹状皮疹等があらわれることがある。

11.2 その他の副作用

	1～10%未満
感染症および寄生虫症	肺炎、COVID-19
代謝および栄養障害	高尿酸血症
一般・全身障害および投与部位の状態	発熱

12. 臨床検査結果に及ぼす影響

本剤はキメラ型IgG1κモノクローナル抗体であり、血清中Mタンパクの血清蛋白電気泳動法及び血清免疫固定法の結果に干渉する可能性がある。全身性ALアミロイドーシス患者における血液学的完全奏効（CR）の評価及びCRからの再発の評価に影響を及ぼす可能性があるため注意すること。

14. 適用上の注意

14.1 薬剤調製時の注意
14.1.1 投与に必要なバイアル数を冷蔵庫から取り出し、調製前に30分～2時間かけて常温に戻すこと。バイアルを振ったり、加熱したりしないこと。
14.1.2 希釈前に、バイアル内の溶液が無色～黄色であることを確認すること。不溶性の粒子や異物が認められる場合には使用しないこと。
14.1.3 生理食塩液250mLを含む点滴バッグから、本剤の必要量と同量の希釈液をあらかじめ抜き取ること。
14.1.4 滅菌した注射針及びシリンジでバイアルから本剤の必要量を抜き取り、点滴バッグに注入し、ゆっくり反転させて混和すること。点滴バッグは振盪しないこと。バイアル内の未使用残液は廃棄すること。
14.1.5 調製した溶液をすぐに使用しない場合は、2～8℃で18時間まで、又は20～30℃で5時間まで保存できる。20～30℃の保存時間には点滴静注の時間を含む。保存中は遮光すること。
14.2 薬剤投与時の注意
14.2.1 急速静注で投与しないこと。インラインフィルターを使用する場合は、無菌の蛋白結合性の低い0.2又は0.22ミクロンのインラインフィルターを使用すること。
14.2.2 本剤は、独立したラインにより投与するものとし、他の注射剤・輸液等と混合しないこと。

15. その他の注意

15.1 臨床使用に基づく情報
本剤を投与された患者のうちアンセラミマブ（遺伝子組換え）に対する抗体産生が認められた患者の割合は、6.0%（17/284例）であり、この17例のうち9例においては、アンセラミマブ（遺伝子組換え）に対する中和抗体が認められた（本剤による治療開始前に抗体が検出されていた患者を含む）。本剤投与開始前に抗体産生が認められた患者の一部で、投与開始から一定期間本剤の血中濃度が低下する傾向が認められた。

20. 取扱い上の注意

外箱開封後は遮光して保存すること。

21. 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。

22. 包装

10mL［1バイアル］

製造販売元
アレクシオンファーマ合同会社
〒108-0023 東京都港区芝浦三丁目1番1号 田町ステーションタワーN
［文献請求先及び問い合わせ先］ メディカル インフォメーション センター
TEL：0120-577-657
受付時間：9:00～17:30（土日、祝日及び弊社休業日を除く）

詳細は製品電子添文をご参照ください。
製品電子添文の改訂には十分ご留意ください。

AMP-011-2609
2026年9月作成

医薬品リスク管理計画対象製品

市販直後調査
販売開始後6カ月間

アミロイドに
悩まない
新しい未来へ

κ型軽鎖アミロイド線維の除去という初めての選択肢



アミロペイブ®によるκ型アミロイド線維の貪食促進作用とCARES試験のポイント

抗Ig軽鎖アミロイド線維モノクローナル抗体

アミロペイブ® 点滴静注300mg

（アンセラミマブ）

薬価基準未収載

一般名：アンセラミマブ（遺伝子組換え）

生物由来製品、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）
本剤の成分に対し過敏症の既往歴のある患者

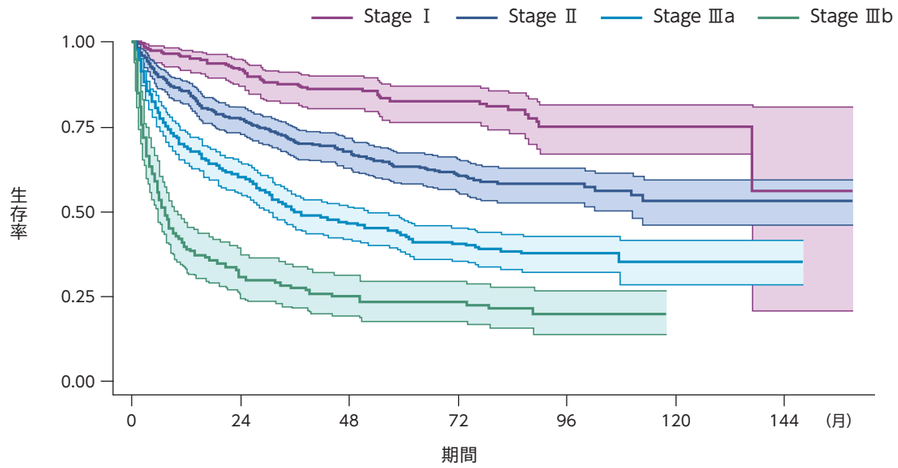
発売準備中

アレクシオンファーマ合同会社

ALアミロイドーシスの予後

- ALアミロイドーシスは予後が不良であり、病態進行が速いことから、緊急性が高い疾患として扱う必要があると考えられています[1)]。

ALアミロイドーシスの
Mayo 2004 with European modification分類別生存率（海外データ）[2)]



	0	24	48	72	96	120	144
リスク患者							
Stage Ⅰ	219	195	169	105	49	15	2
Stage Ⅱ	436	319	259	147	70	19	1
Stage Ⅲa	424	242	173	84	33	8	1
Stage Ⅲb	196	59	44	26	8	0	0

	OS中央値（月）（95%CI）	HR（95%CI）	p値*
Stage Ⅰ	NR（137, NR）	Reference	<0.001
Stage Ⅱ	NR（111, NR）	2.24（1.61, 3.12）	
Stage Ⅲa	36（31, 52）	4.13（2.99, 5.69）	
Stage Ⅲb	7（6, 10）	8.22（5.87, 11.53）	

*全群間の比較、log-rank trend検定

対象：2010年～2019年に英国国立アミロイドーシスセンターで治療を受けたALアミロイドーシス患者1,275例
方法：全生存期間を主要評価項目として、Kaplan-Meier法で推定し、Cox回帰分析及びlog-rank検定により群間比較を行った。アウトカムはEuropean modifiedに基づいて層別化された。
リミテーション：ベースラインのデータセットが完全ではない患者が含まれる。

1) アミロイドーシス診療ガイドライン2025作成委員会（編）. アミロイドーシス診療ガイドライン2025. 医歯薬出版；2024, p.7,21.
2) Khwaja J, et al. Haematologica. 2024;109(5):1598-1602. (PMID: 38205538)
［COI：著者のなかにはAlexion Pharmaceuticals, Inc. 及び AstraZeneca plc. より謝礼を受領している者が含まれる］

ALアミロイドーシス症状の出現部位（海外データ含む）

- 全身性ALアミロイドーシスは症状が多様であり、中でも最も報告が多いのは腎臓及び心臓といわれています[1)]。
- ALアミロイドーシスの特徴的な症状として巨舌があり、約20%の患者さんに見られます[1)]。

首
顎下腺肥大[2)]

皮膚 / 軟部組織
眼窩周囲紫斑、巨舌[4)]、
肥厚（shoulder pad sign）[1)]

心臓（34%）[1,3)]
HFpEF、LVH、低血圧、呼吸困難又は浮腫[2)]、
心不全、不整脈、失神、突然死[4)]

肺
胸水[2)]

肝臓（10%）[3)]
肝腫大[3)]

腎臓（73%）[1,3)]
ネフローゼ症候群、腎不全、
浮腫[2)]、泡状尿[4)]、心嚢液貯留[1)]

消化管（22%）[1,3)]
消化管出血[2)]、下痢、便秘、悪心、嘔吐、体重減少[4)]、吸収不良症候群[1)]、腸閉塞[3)]

神経（自律神経18%、末梢神経10%）[1,3)]
小径線維神経障害：異常感覚、しびれ、痛み[4)]
全線維神経障害：後期段階[4)]
自律神経：消化管運動障害[2)]、胃不全麻痺、膀胱・腸機能障害、起立性低血圧、血管運動症状、多汗症、乾燥症候群、勃起障害、両側手根管症候群[4)]
末梢神経：感覚神経障害[2)]、知覚障害、無感覚、筋力低下、アミロイドミオパチー[1)]

関節
アミロイド関節症[2)]

出血性素因
易打撲性、後天性第X因子欠乏症/後天性von Willebrand病/血管内アミロイド浸潤による自然出血[4)]

その他
骨病変、声帯病変による嗄声、副腎や甲状腺病変による副腎機能低下や甲状腺機能低下、リンパ節腫大や肺浸潤[1)]、脾腫大、甲状腺腫大[3)]

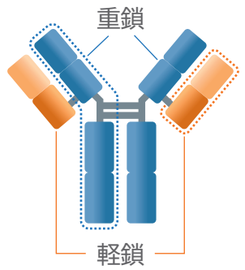
1) アミロイドーシス診療ガイドライン2025作成委員会（編）. アミロイドーシス診療ガイドライン2025. 医歯薬出版；2024, p.109-110.
2) Sanchorawala V. N Engl J Med. 2024;390(24):2295-2307. (PMID: 38924733)
3) Shimazaki C, et al. Intern Med. 2018;57(2):181-187. (PMID: 29093404)
4) Schwotzer R, et al. Swiss Med Wkly. 2020;150:w20364. (PMID: 33277911)
［COI：著者のなかにはAlexion Pharmaceuticals, Inc. 及び AstraZeneca plc. より謝礼を受領している者が含まれる］

ALアミロイドーシスのサブタイプ

- ALアミロイドーシスは、異常な形質細胞から産生されたモノクローナルな免疫グロブリン（M蛋白）の遊離軽鎖がミスフォールディングすることによってアミロイド線維を形成し、全身の臓器に沈着することで、臓器不全を来す疾患です[1-4]。
- 抗体は2つの重鎖と2つの軽鎖から構成されており、軽鎖にはκ鎖とλ鎖の2種類があります[5]。
- ALアミロイドーシスにおいてはモノクローナル軽鎖のアイソタイプがλ型である症例が72%であったことが報告[1,6]されています（海外データ）。λ型が75～80%、κ型が20～25%であるとの報告もあります（海外データ）[4]。

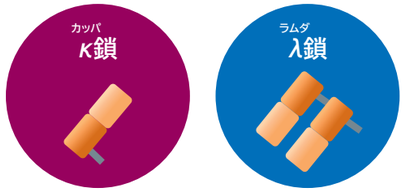
遊離軽鎖の構造とサブタイプの割合（海外データ）[1,4,5]

抗体（免疫グロブリン）



余った軽鎖は遊離軽鎖として血中に分泌される

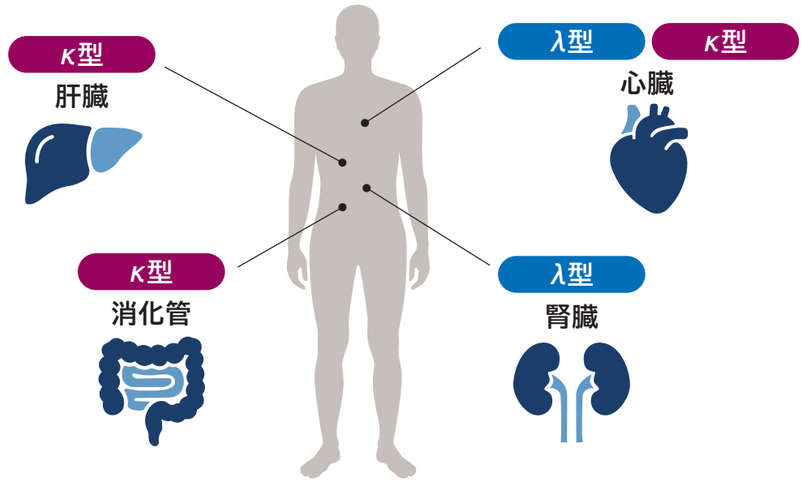
遊離軽鎖



20～25%　75～80%

κ鎖は単量体、λ鎖は二量体で存在する

サブタイプ別の関連臓器[1,6]



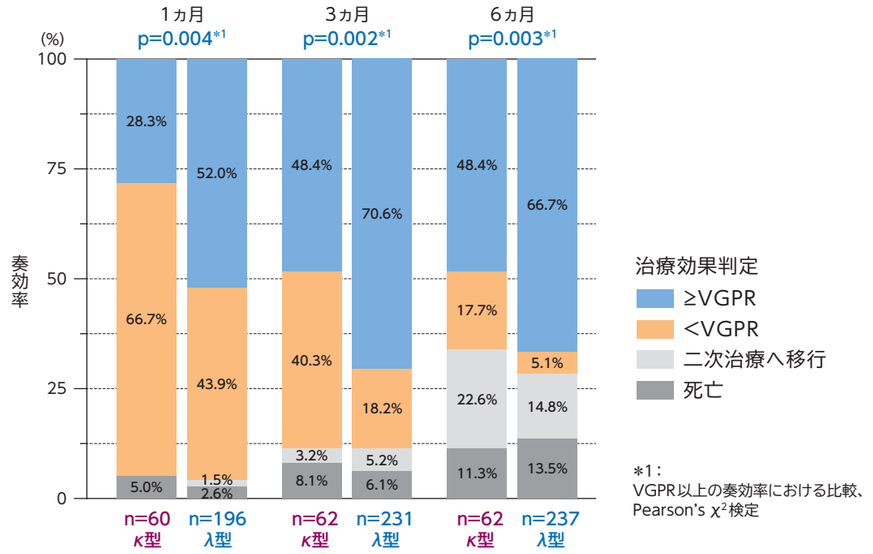
1）アミロイドーシス診療ガイドライン2025作成委員会（編）. アミロイドーシス診療ガイドライン2025. 医歯薬出版; 2024, p.109、113-114.
2）Palladini G, et al. Leuk Lymphoma. 2024;65(8):1068-1078. (PMID: 38600883)
［COI：著者のなかにはAlexion Pharmaceuticals, Inc. 及び AstraZeneca plc. 、Caelum Biosciences, Inc.より研究資金を受領している者が含まれる］
3）Griffin JM, et al. Circ Res. 2021;128(10):1554-1575. (PMID: 33983835)
4）Sanchorawala V. N Engl J Med. 2024;390(24):2295-2307. (PMID: 38924733)
5）医療情報科学研究所（編）. 病気がみえる vol.5 血液 第3版. メディックメディア; 2023, p.223,228.
6）Kumar S, et al. Blood. 2010;116(24):5126-5129. (PMID: 20798235)

DCyBorD療法のFLCサブタイプ別の評価：奏効率

DCyBorD：ダラツムマブ＋シクロホスファミド＋ボルテゾミブ＋デキサメタゾン

- κ型ではλ型と比較して1、3、6ヵ月の時点で奏効率が低かった（p<0.05、Pearson's χ^2検定）[1]。

サブタイプ別の血液学的奏効率（海外データ）[1]



*1：VGPR以上の奏効率における比較、Pearson's χ^2検定

対象： 2023年1月以前に米国及び欧州の8施設で新たにALアミロイドーシスと診断された患者315例（データカットオフ：2025年2月）

方法： 適格基準を満たす患者のデータを用いてレトロスペクティブ研究を行い、1、3、6ヵ月時点での血液学的奏効率を評価した。奏効率の群間比較にはPearson's χ^2検定を用いた。

リミテーション： 本研究はレトロスペクティブ研究である。サンプルサイズの制約があった。追跡期間が比較的短い。

ダラツムマブ併用有無別の血液学的奏効率のサブグループ解析（海外データ）[2]

	DCyBorD療法群	CyBorD療法群	名目上のp値*2
サブタイプ			
λ型	53/119 (44.5%)	21/155 (13.5%)	<0.001
κ型	10/28 (35.7%)	5/58 (8.6%)	0.004

*2：Fisherの正確検定

対象： 2018年1月～2022年12月にMayo Clinicで診断され、1st lineとしてDCyBorD療法又はCyBorD療法を受けたALアミロイドーシス患者361例

方法： ダラツムマブ、ボルテゾミブ、シクロホスファミドは標準的な用量とスケジュールで1～6サイクル投与し、デキサメタゾンは週に40mg投与した。75歳以上の患者や心筋症が進行した患者はデキサメタゾンの投与量を20mgに減量した。6ヵ月及び12ヵ月時点の心臓の臓器学的奏効、全生存期間などを評価した。血液学的奏効率はFisherの正確検定を用いて比較した。

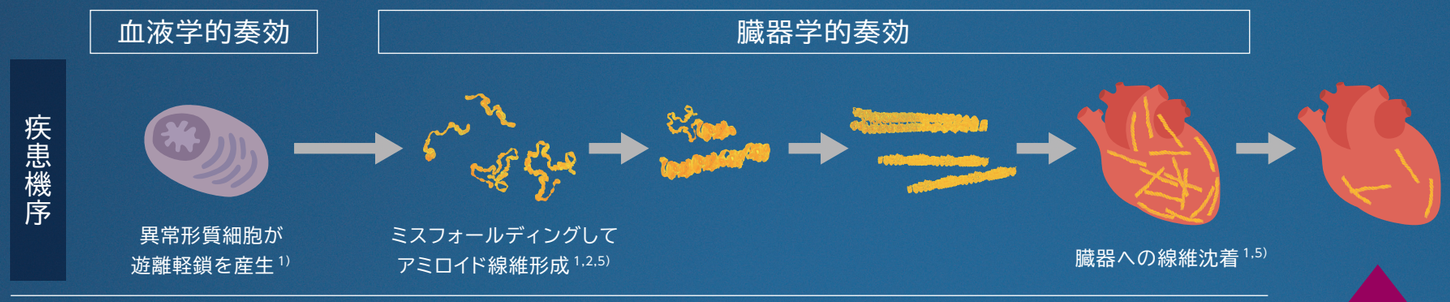
リミテーション： レトロスペクティブ研究であるため選択バイアスの影響を受ける可能性があり、結果の解釈には注意が必要である。ランドマーク時点でのデータ欠損のため、一部の患者（心臓の臓器学的奏効で約3%～5%）について奏効データを補完した。

1）Bazarbachi AH, et al. Hemasphere. 2025;9(12):e70276.© 2025 The Author(s). HemaSphere published by John Wiley & Sons Ltd on behalf of European Hematology Association. Reproduced with permission of John Wiley & Sons Inc. (PMID: 41473002)
［COI：著者のなかにはAlexion Pharmaceuticals, Inc. 及び AstraZeneca plc. 、Caelum Biosciences, Inc.よりコンサルティング料等を受領している者が含まれる］
2）Yohannan B, et al. Blood Neoplasia. 2025;2(2):100092. (PMID: 40453144)
［COI：著者のなかにはAlexion Pharmaceuticals, Inc. 及び AstraZeneca plc. よりコンサルティング料等を受領している者が含まれる］

ALアミロイドーシスのアンメットニーズ

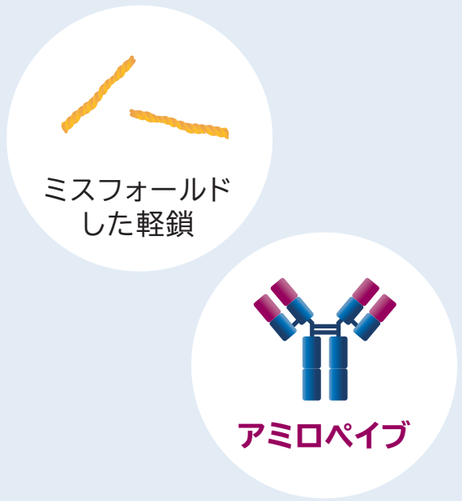
- PCD療法の発展により血液学的奏効が得られるようになってきた一方で、さらなる生存のために臓器学的奏効を早期に得られる治療薬の登場が待たれていました[1,2]。
- 標準治療（DCyBorD）は、異常形質細胞を除去し、軽鎖産生を抑制します[3]。
- アミロペイブは、臓器・組織に循環又は沈着したアミロイド線維に結合し、除去を促進すると考えられています[4]。

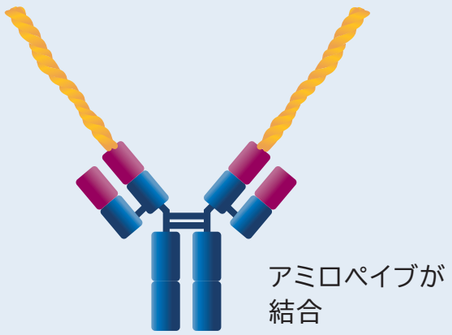
PCD療法：形質細胞異常症に対する治療
血液学的奏効はdFLC、臓器学的奏効は各臓器の障害マーカーの改善度により判定される[2]



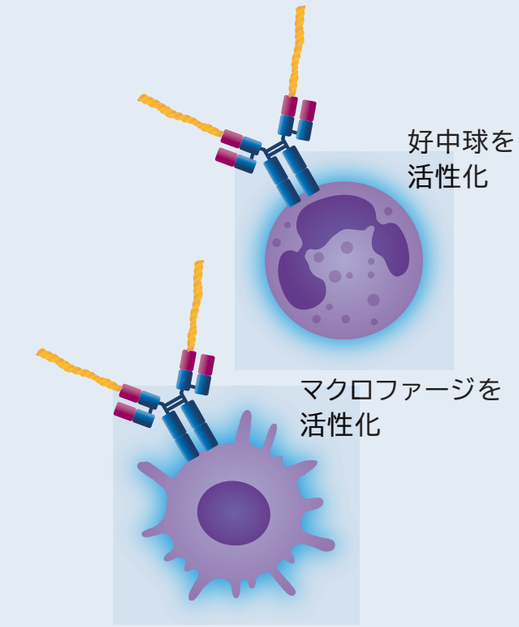
アミロペイブの作用機序

- アミロペイブは、非天然構造をもつκ型軽鎖タンパク質のN末端に存在する潜在性エピトープと結合後、アミロイド線維の生成を抑制します[1,6,7]。
- さらに、Fcγ受容体との結合を通して好中球及びマクロファージの応答を刺激し、蓄積したアミロイド線維を抗体依存性の貪食作用により減少／除去すると考えられています[1,6-8]。

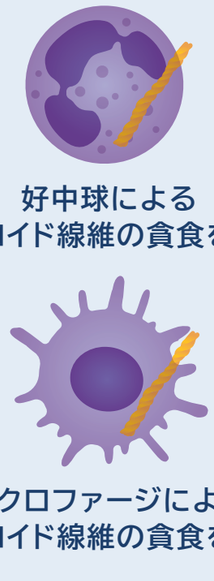




1 ミスフォールドした軽鎖にアミロペイブが結合



2 食作用に至るFc受容体を介した好中球及びマクロファージを活性化



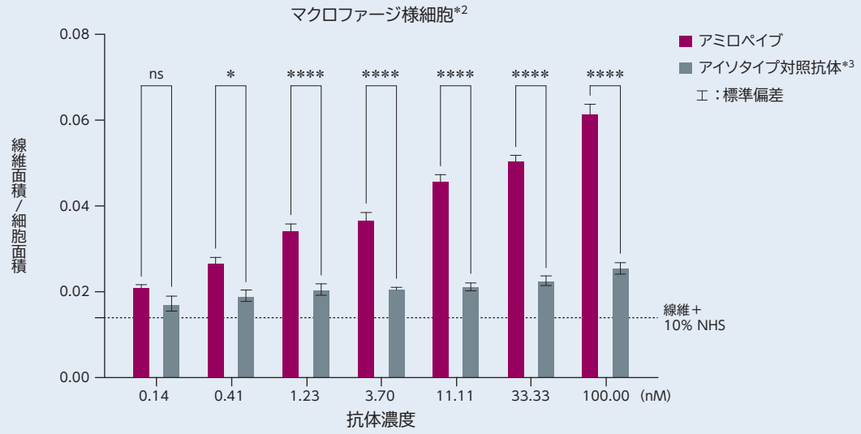
3 好中球とマクロファージによるアミロイド線維の除去

1) Wechalekar AD, et al. JACC CardioOncol. 2022;4(4):427-441. (PMID: 36444232)
[COI：本論文はAlexion Pharmaceuticals, Inc. 及び AstraZeneca plc. より執筆の支援を受けた。著者のなかには同社より研究資金を受領している者、同社の株式を保有する社員が含まれる]
2) Sanchorawala V. N Engl J Med. 2024;390(24):2295-2307. (PMID: 38924733)
3) Dima D, et al. JCO Oncol Pract. 2023;19(5):265-275. (PMID: 36854070)
4) Hrncic R, et al. Am J Pathol. 2000;157(4):1239-1246. (PMID: 11021828)
5) 社内資料：効力を裏付ける試験（CTD 2.6.2.2、承認時評価資料）
6) Quarta CC, et al. Front Cardiovasc Med. 2022;9:1073503. (PMID: 36606280)
[COI：著者のなかにはAlexion Pharmaceuticals, Inc. 及び AstraZeneca plc. よりコンサルティング料等を受領している者、同社の社員が含まれる]
7) O'Nuallain B, et al. Biochemistry. 2007;46(5):1240-1247. (PMID: 17260953)
8) Solomon A, et al. Cancer Biother Radiopharm. 2003;18(6):853-860. (PMID: 14969598)

アミロペイブによる貪食促進 (*in vitro*)

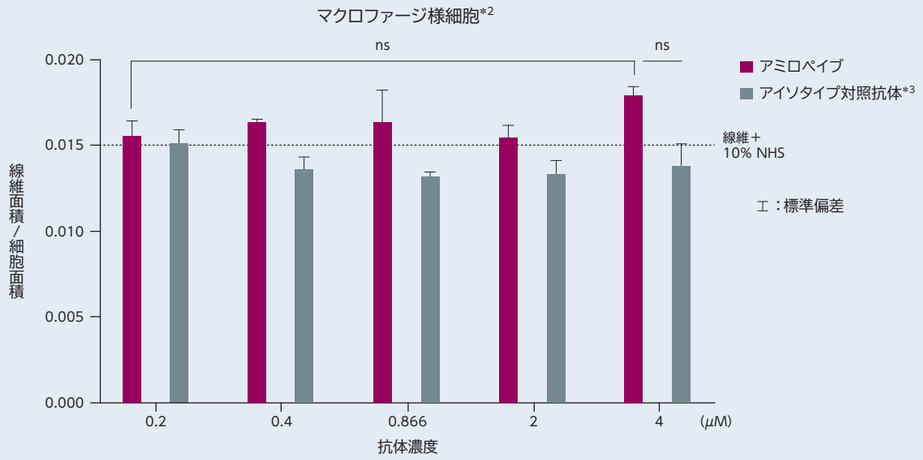
●アミロペイブは0.41～100.00nMの各濃度においてκ型線維の食作用を増強することが示されました[1,2]。

アミロペイブによるκ型線維の貪食促進[1)*1]



●アミロペイブによるλ型線維の貪食促進については、評価した濃度範囲で作用はみられませんでした[1)]。

アミロペイブによるλ型線維の貪食促進の評価*1



* p<0.05、**** p<0.0001、二元配置ANOVA
ns：有意差なし、PMA：ホルボールミリスチン酸アセテート、THP-1：ヒト単球系白血病細胞株、NHS：正常ヒト血清

*1：細胞あたりのアミロイド線維の取り込み量を定量的に表している。
*2：PMAで分化させたTHP-1細胞（THP-1細胞はPMAで刺激することによりマクロファージに分化させることができる[3)]）。
*3：アミロペイブと同じIgG1κアイソタイプを有する対照抗体。結合試験により、LEN線維（κ型軽鎖のミスフォールディングにより生成したβシート構造を有する線維）には結合しないことが示された。

1) 社内資料：効力を裏付ける試験（CTD 2.6.2.2、承認時評価資料）
2) Costello M, et al. Blood. 2023;142(Suppl 1):3307-3308.［COI：著者のなかにはAlexion Pharmaceuticals, Inc. 及び AstraZeneca plc. の株式を保有する社員が含まれる］
3) Park EK, et al. Inflamm Res. 2007;56(1):45-50. (PMID: 17334670)

アミロペイブの特徴

適応症

●アミロペイブは、アミロイド線維のミスフォールドした軽鎖を標的とするキメラ型免疫グロブリンG1κモノクローナル抗体であり[1)]、「全身性ALアミロイドーシス（免疫グロブリン軽鎖がκ型優位の場合に限る）」を効能又は効果として承認されている薬剤である。

作用機序

●アミロペイブは、アミロイド線維のミスフォールドしたκ型線維に結合し、κ型線維の食作用を増強する[1)]。

>> 6～7頁

有効性

●ALアミロイドーシス患者集団*での「ACMまでの期間とCVH頻度の階層的複合エンドポイント」に対して、アミロペイブ群のプラセボ群と比較したWin Ratio（95%CI）は1.12（0.83, 1.52）であり、統計学的有意差は認められず、アミロペイブ群の優越性は検証されなかった（p=0.301、F-S法）（検証的な解析結果）[2)]。

*一部、承認外（λ型のALアミロイドーシス患者）の成績を含みますが、承認時評価資料のため紹介します。

>>13頁

●主要評価項目のサブグループ解析である、κ型ALアミロイドーシス患者集団での「ACMまでの期間とCVH頻度の階層的複合エンドポイント」のアミロペイブ群のプラセボ群と比較したWin Ratio（95%CI）は2.15（1.02, 4.52）であり、統計学的有意差は認められなかった（名目上のp値=0.078、F-S法）。しかし、その構成要素である「ACMまでの期間」のハザード比（95%CI）は0.38（0.17, 0.83）（層別Cox比例ハザードモデル）であり、相対リスクはハザード比に基づき62%減少することが示され、生存率において統計学的有意差が認められた（名目上のp値=0.012、層別log-rank検定）。また、「CVH頻度」の発現率比（95%CI）は0.28（0.09, 0.83）であり、相対リスクが72%減少することが示された（名目上のp値=0.022、負の二項回帰モデル）[2)]。

>>13,15,16頁

安全性

●重大な副作用としてInfusion reaction、重篤な過敏症があらわれることがある。主な副作用は肺炎、COVID-19、高尿酸血症、発熱（1～10%未満）が認められた。

詳細は、電子添文の副作用及び臨床成績の安全性の結果をご参照ください。

ACM：全死因死亡、CVH：心血管事象に関連する入院

4. 効能又は効果
全身性ALアミロイドーシス（免疫グロブリン軽鎖がκ型優位の場合に限る）

1) 社内資料：効力を裏付ける試験（CTD 2.6.2.2、承認時評価資料）
2) 社内資料：臨床的有効性の概要（CTD 2.7.3.2、承認時評価資料）

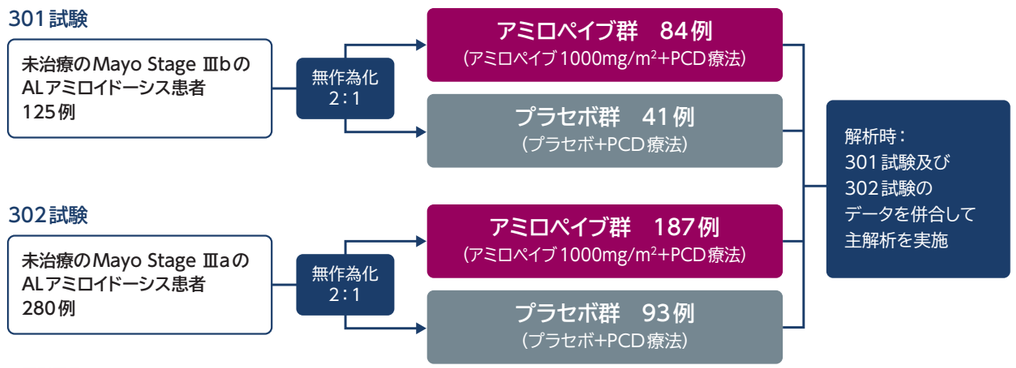
国際共同第Ⅲ相試験（CARES試験）（国際共同試験、検証試験）

社内資料：臨床的有効性の概要（CTD 2.7.3.2、承認時評価資料）
社内資料：臨床的安全性の概要（CTD 2.7.4.2、承認時評価資料）
Wechalekar AD, et al. J Clin Oncol. 2026;44(20):1899-1910. (PMID: 42212672)
［COI：本研究はAlexion Pharmaceuticals, Inc. 及び AstraZeneca plc.、Caelum Biosciences, Inc.より資金的支援を受けた。
著者のなかには同社よりコンサルティング料等を受領している者、同社の株式を保有する役員が含まれる］

試験概要

目　　的	未治療のALアミロイドーシス患者を対象に、PCDに対する標準治療下で、アミロペイブを投与したときの有効性及び安全性をプラセボと比較する。
対　　象	Mayo Clinic Staging（2004年）のEU改訂版（2013年）[1-3]に基づき、Stage Ⅲa又はStage Ⅲbに分類された18歳以上の全身性ALアミロイドーシス患者405例（日本人17例［アミロペイブ群10例、プラセボ群7例］）
方　　法	301試験及び302試験のいずれも、対象患者を2：1の割合でアミロペイブ群又はプラセボ群にランダムに割り付け、アミロペイブの用量は1000mg/m^{2}とし、最初の4週間は7日（±1日）ごと、その後は主要評価期終了まで14日（±2日）ごとに点滴静脈内投与（点滴静注）した。総投与量はスクリーニング期での体表面積（BSA）に基づき決定し、20%以上の体重変化がなければBSAの再算出は不要とした。点滴静注は約2時間かけて行い、アミロペイブの最大許容用量は2700mgとした。プラセボ群に割付けられた患者には、アミロペイブ相当量の0.9%生理食塩液を投与した。なお、PCD療法と同日に投与する場合には、治験薬を先に投与した。

【試験デザイン】



層別因子：
試験（301試験、302試験）、地域（北米、その他）、ベースライン時のダラツムマブ投与（有、無）

評価項目	301試験及び302試験共通 **主要評価項目、検証的解析項目** ●全死因死亡（ACM）までの期間と心血管事象に関連する入院（CVH）頻度の階層的複合エンドポイント **主な副次評価項目** ●ベースラインからWeek 50までのKansas City Cardiomyopathy Questionnaire Overall Score（KCCQ-OS*1）の変化量 ●ACMまでの期間 ●CVH頻度 ●ベースラインからWeek 50までの長軸方向ストレイン（GLS）%の変化量　など **その他の副次評価項目** ●ベースラインからWeek 50までのShort Form 36 Health Survey version 2身体的側面のスコア（SF-36v2® PCS*2）の変化量 ●ベースラインからWeek 50までのNT-proBNPの変化量

4. 効能又は効果
全身性ALアミロイドーシス（免疫グロブリン軽鎖がκ型優位の場合に限る）
6. 用法及び用量
他の化学療法との併用において、通常、成人にはアンセラミマブ（遺伝子組換え）として、1回1000mg/m^2（体表面積）を1週間隔で4回点滴静注し、以降は2週間隔で点滴静注する。ただし、1回量は2700mgを上限とする。

解析計画	●有効性の主解析対象集団はintent to treat（ITT）集団であり、その定義は「ランダム割付けされたすべての患者」とした。また、per protocol（PP）解析対象集団での感度分析も実施することとし、その定義は「ITTの定義を満たし、かつ有効性の評価項目の解釈に影響を及ぼす可能性のある治験実施計画書からの逸脱が認められていないすべての患者」とした。安全性解析対象集団は治験薬が投与されたすべての患者とした。 ●有効性の主要評価項目は「ACMまでの期間とCVH頻度の階層的複合エンドポイント」とした。「ACMまでの期間」は「ランダム割付から死亡までの週数」と定義し、主要評価期（最後の患者のランダム割付日から18ヵ月経過した時点まで）終了時点で生存している患者は、最終生存確認日で評価打ち切りとした。また、CVHは臨床事象判定委員会が中央判定することとした。主要評価項目の主解析での中間事象（心臓移植／左室補助人工心臓装置導入）は死亡として扱い、他の中間事象（治験薬の投与中止、治験実施計画書からの重大な逸脱）は治療方針ストラテジーを適用し、中間事象後のデータをそのまま解析に含めた。主要評価項目の主解析での仮説検定にはFinkelstein-Schoenfeld（F-S）法を用い、投与効果の推定にはWin Ratioを算出した。試験（301試験、302試験）、地域（北米、その他）、及びベースライン時のダラツムマブ投与（有、無）により層別化し、各層内の各群から1例ずつの組（ペア）を作り、アウトカムを階層的に対比較した。これを層内すべての組（ペア）に対して実施した。まず、臨床的に重要性の高い評価項目である「ACMまでの期間」を比較し、勝敗がつかない場合は「CVH頻度」を比較した。帰無仮説は「ACMまでの期間及びCVH頻度のいずれにも、アミロペイブ群とプラセボ群で群間差はない」とし、対立仮説は「ACMまでの期間及びCVH頻度のうち少なくとも1つには、アミロペイブ群とプラセボ群で群間差がある」とした。 ●主な副次評価項目は、主要評価項目が有意水準両側5%で統計学的に有意であった場合に、事前に規定した順序で階層的に検定することとした。有効性の副次評価項目のうち、KCCQ-OS*1、GLS%、6MWTの歩行距離、SF-36v2® PCS*2、NT-proBNPのベースラインからWeek 50までの変化量の群間差の検定には順位付け共分散分析（Ranked ANCOVA）モデルを用いた。Ranked ANCOVAモデルでは、投与群、試験、地域、ベースライン時のダラツムマブ投与を固定効果とし、当該評価項目のベースライン値の順位を共変量とした。また、群間差の中央値としてHodges-Lehmann推定値及びその95%信頼区間（CI）を示した。 ●主要評価項目及び副次評価項目は、事前に規定したサブグループ（試験、地域、ベースライン時のダラツムマブ投与、試験中のダラツムマブ投与、性別、人種、年齢、iFLCのサブタイプ、ベースライン時のGLS%、ベースライン時のNew York Heart Association［NYHA］）を対象に解析した。なお、κ型の部分集団解析を対象に検証を目的とした事前仮説は設定していなかった。 ●ACMまでの期間の比較には、試験、地域、ベースライン時のダラツムマブ投与による層別log-rank検定を用いた。また、試験、地域及びベースライン時のダラツムマブ投与によって補正した層別Cox比例ハザードモデルを用いてプラセボ群に対するアミロペイブ群のハザード比及び95%CIを算出した。 ●CVH頻度の比較の検定には負の二項回帰モデルを用いた。投与群、試験、地域及びベースライン時のダラツムマブ投与を固定効果とし、各患者の追跡期間の対数をオフセット項としてモデルに含めた。また、投与群間の推定発現率比とその95%CI、及びCVH年間発現頻度とその95%CIを算出した。 ●安全性の解析には安全性解析対象集団を用いた。有害事象は、医薬品規制調和国際会議（ICH）国際医薬用語集（MedDRA）version 28.0を用いてコード化し、器官別大分類及び基本語別、治験薬との関連性別、重症度別に要約した。臨床検査値及びバイタルサインは各来院時点の実測値及びベースラインからの変化量を投与群別に記述的に要約した。また、米国国立がん研究所有害事象共通用語規準（NCI CTCAE）のグレード別での臨床検査値異常の発現割合を要約した。 ●CARES試験全体に加えて、事前に規定したFLCサブタイプκ型患者集団及びλ型患者集団での安全性解析対象集団を対象に、有害事象の発現状況の概要、有害事象、重篤な有害事象、死亡に至った有害事象、治験薬の投与中止に至った有害事象の解析を実施した。

*1 KCCQ-OS：KCCQは、心不全患者を対象としたQoLを評価するために使用される自己記入式の質問票であり、7つのドメイン（身体的制限、症状の安定性、症状の頻度、症状の重症度、自己効力感、QoL、社会的制限）に分類される23項目から構成される。各ドメインスコアは0～100のスケールで表され、低いスコアはより重度の症状及び/又は制限を示す。KCCQ-OSは、身体的制限スコア、総症状スコア、QoLスコア、社会的制限スコアの平均として算出される。

*2 SF-36v2® PCS：SF-36v2は、健康関連QoLを評価するために使用される自己記入式の質問票であり、8つのドメイン（活力、身体機能、身体の痛み、全体的健康感、身体的役割機能、精神的役割機能、社会的役割機能、精神的健康）に分類される35項目と自己評価による変化の単一項目から構成される。これらのドメインは身体的側面のスコア（PCS）と精神的側面のスコア（MCS）に分類される。高いスコアはより良いQoLを示す。

1) Wechalekar AD, et al. Blood. 2013;121(17):3420-3427. (PMID: 23479568)
2) Palladini G, Merlini G. Blood. 2016;128(2):159-168. (PMID: 27053535)
3) Dispenzieri A, et al. J Clin Oncol. 2004;22(18):3751-3757. (PMID: 15365071)

患者背景

		アミロペイブ群 N=271	プラセボ群 N=134
年齢（歳）	平均値（SD）	64.6（10.27）	67.8（9.50）
	中央値（範囲）	66.0（36, 91）	69.0（36, 90）
男性、n（%）		183（67.5）	87（64.9）
人種、n（%）	アメリカインディアン又はアラスカ先住民	1（0.4）	0
	アジア人	43（15.9）	14（10.4）
	黒人又はアフリカ系アメリカ人	13（4.8）	7（5.2）
	ネイティヴ・ハワイアン又は太平洋系人種	1（0.4）	0
	白人	183（67.5）	92（68.7）
	その他	30（11.1）	21（15.7）
地域、n（%）	北米	102（37.6）	51（38.1）
	その他	169（62.4）	83（61.9）
BSA（m^2）	平均値（SD）	1.9（0.24）	1.9（0.23）
	中央値（範囲）	1.9（1, 3）	1.9（1, 3）
ベースライン時のダラツムマブ投与あり、n（%）		155（57.2）	85（63.4）
ベースラインのMayo Stage、n（%）	Stage Ⅱ	12（4.4）	7（5.2）
	Stage Ⅲa	169（62.4）	81（60.4）
	Stage Ⅲb	90（33.2）	45（33.6）
	不明	0	1（0.7）
NT-proBNP（ng/L）	n	271	133
	平均値（SD）	8921.3（9213.52）	8891.1（9541.50）
High Sensitivity cTnT（ng/mL）[a]	n	270	133
	平均値（SD）	0.1228（0.10637）	0.1286（0.13362）
cTnT（ng/mL）[b]	n	38	20
	平均値（SD）	0.0898（0.03661）	0.1014（0.05120）
cTnI（ng/mL）	n	7	3
	平均値（SD）	0.2142（0.19553）	0.1430（0.11453）
dFLC（mg/dL）	n	267	132
	平均値（SD）	56.13（92.468）	52.28（64.528）
κ/λ比、κ型iFLC	n	48	23
	平均値（SD）	115.11（329.720）	82.01（89.520）
κ/λ比、λ型iFLC	n	219	109
	平均値（SD）	0.10（0.110）	0.11（0.117）
iFLCのサブタイプ、n（%）	κ型	48（17.7）	23（17.2）
	λ型	219（80.8）	109（81.3）
	不明	4（1.5）	2（1.5）
KCCQ-OS	n	258	125
	平均値（SD）	52.21（22.028）	48.49（22.466）
GLS%	n	257	124
	平均値（SD）	−12.38（3.541）	−13.15（3.911）
6MWTでの歩行距離（m）	n	262	132
	平均値（SD）	295.233（128.6435）	275.658（131.7447）
SF-36v2® PCS	n	251	124
	平均値（SD）	36.57（8.545）	35.70（8.344）

a：中央検査機関又は院内検査室における第5世代高感度心筋トロポニンTアッセイ
b：各施設内の検査室による第4世代の心筋トロポニンT測定
dFLC：involved 遊離軽鎖（FLC）とuninvolved FLC の差、iFLC：involved 遊離軽鎖

有効性

全死因死亡（ACM）までの期間と心血管事象に関連する入院（CVH）頻度の階層的複合エンドポイント［主要評価項目、検証的解析結果］

主要評価項目であるACMまでの期間とCVH頻度の階層的複合エンドポイントに対して、アミロペイブ群はプラセボ群と比較して統計学的有意差は認められず、アミロペイブ群の優越性は検証されなかった（p=0.301、F-S法）。

■ ACMまでの期間とCVH頻度の階層的複合エンドポイント（ITT集団）

		アミロペイブ群 N=271	プラセボ群 N=134
ACMまでの期間とCVH頻度の階層的複合エンドポイント[a]	Win Ratio（95%CI）	1.12（0.83, 1.52）	
	p値（F-S法）	0.301	

a：治療効果の推定には層別Win Ratio、検定にはF-S法を用いた。いずれも、試験、地域、ベースライン時のダラツムマブ投与により層別化し、各層内の各患者のアウトカムを対比較した。まず、臨床的に重要性の高い評価項目である「ACMまでの期間」を比較し、勝敗がつかない場合は、「CVH頻度」を比較した。

全死因死亡（ACM）までの期間と心血管事象に関連する入院（CVH）頻度の階層的複合エンドポイントのFLCサブタイプ別のサブグループ解析

κ型ALアミロイドーシス患者集団でのACMまでの期間とCVH頻度の階層的複合エンドポイントのWin Ratio（95%CI）は2.15（1.02, 4.52）であった。

■ FLCサブタイプ別のACMまでの期間とCVH頻度の階層的複合エンドポイント（ITT集団）（サブグループ解析）

		κ型		λ型	
		アミロペイブ群 N=48	プラセボ群 N=23	アミロペイブ群 N=219	プラセボ群 N=109
ACMまでの期間とCVH頻度の階層的複合エンドポイント[a]	Win Ratio（95%CI）	2.15（1.02, 4.52）		0.90（0.64, 1.27）	
	名目上のp値（F-S法）	0.078		0.848	

a：治療効果の推定には層別Win Ratio、検定にはF-S法を用いた。いずれも、試験、地域、ベースライン時のダラツムマブ投与（λ型のみ）により層別化し、各層内の各患者のアウトカムを対比較した。まず、臨床的に重要性の高い評価項目である「ACMまでの期間」を比較し、勝敗がつかない場合は、「CVH頻度」を比較した。

4. 効能又は効果
全身性ALアミロイドーシス（免疫グロブリン軽鎖がκ型優位の場合に限る）
5. 効能又は効果に関連する注意（抜粋）
5.2 Mayo Stage注）IIIa又はIIIbの患者に投与すること。［17.1.1参照］
注）Mayo Clinic Staging（2004年）のEU改訂版（2013年）
6. 用法及び用量
他の化学療法との併用において、通常、成人にはアンセラミマブ（遺伝子組換え）として、1回1000mg/m^2（体表面積）を1週間隔で4回点滴静注し、以降は2週間隔で点滴静注する。ただし、1回量は2700mgを上限とする。

主な副次評価項目及びその他の副次評価項目（ITT集団）

いずれの副次評価項目でも、アミロペイブ群とプラセボ群との間で名目上の統計学的な有意差は認められなかった。

			アミロペイブ群 N=271	プラセボ群 N=134
主な副次評価項目	ACMまでの期間[a]	死亡数、n（%）	90（33.2）	52（38.8）
		50週時点でのKaplan-Meier推定値（95%CI）	0.75（0.69, 0.79）	0.67（0.59, 0.75）
		50週時点での相対リスク減少率（%）	22.32	
		ハザード比（層別Cox比例ハザードモデル）（95%CI）	0.80（0.57, 1.12）	
		名目上のp値（層別log-rank検定）	0.270	
	CVH頻度[b]	年間CVH頻度（95%CI）	0.59（0.42, 0.83）	0.89（0.56, 1.44）
		相対リスク減少率（%）	34.05	
		発現率比（負の二項回帰モデル）（95%CI）	0.66（0.38, 1.14）	
		名目上のp値（負の二項回帰モデル）	0.136	
	ベースラインからWeek 50までのKCCQ-OSの変化量[c]	n	152	75
		平均値（SD）	13.10（23.562）	14.02（23.015）
		群間差（中央値）（Hodges-Lehmann法）（95%CI）	−2.08（−8.33, 4.42）	
		名目上のp値（Ranked ANCOVAモデル）	0.941	
	ベースラインからWeek 50までのGLS%の変化量[c]	n	138	69
		平均値（SD）	0.09（3.771）	−0.09（4.150）
		群間差（中央値）（Hodges-Lehmann法）（95%CI）	−0.00（−1.10, 1.10）	
		名目上のp値（Ranked ANCOVAモデル）	0.624	
その他の副次評価項目	ベースラインからWeek 50までのSF-36v2® PCSの変化量[c]	n	145	74
		平均値（SD）	4.23（8.814）	3.79（9.075）
		群間差（中央値）（Hodges-Lehmann法）（95%CI）	0.37（−2.10, 2.90）	
		名目上のp値（Ranked ANCOVAモデル）	0.802	
	ベースラインからWeek 50までのNT-proBNP（ng/L）の変化量[c]	n	164	73
		平均値（SD）	−1641.7（8402.86）	−3193.2（7176.07）
		群間差（中央値）（Hodges-Lehmann法）（95%CI）	683.45（−241.02, 1617.06）	
		名目上のp値（Ranked ANCOVAモデル）	0.395	

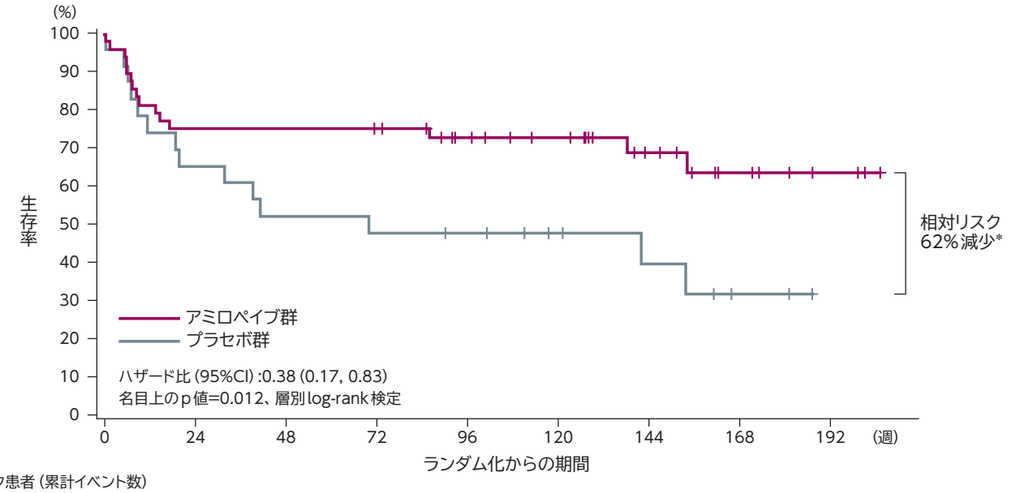
a：層として試験、地域、及びベースライン時のダラツムマブ投与を考慮した。
b：投与群、試験、地域、及びベースライン時のダラツムマブ投与を固定効果とし、各患者の追跡期間の対数をオフセット項としてモデルに含めた。
c：投与群、試験、地域、及びベースライン時のダラツムマブ投与を固定効果として調整した。また、各評価項目のベースライン時の順位を共変量とした。

4. 効能又は効果
全身性ALアミロイドーシス（免疫グロブリン軽鎖がκ型優位の場合に限る）
6. 用法及び用量
他の化学療法との併用において、通常、成人にはアンセラミマブ（遺伝子組換え）として、1回1000mg/m²（体表面積）を1週間隔で4回点滴静注し、以降は2週間隔で点滴静注する。ただし、1回量は2700mgを上限とする。

全死因死亡（ACM）までの期間のFLCサブタイプ別のサブグループ解析

κ型ALアミロイドーシス患者集団では、ACMまでの期間においてアミロペイブ群で主要評価期での相対リスクが62%減少し（ハザード比[95%CI]：0.38 [0.17, 0.83]、層別Cox比例ハザードモデル）、生存率においてプラセボ群と比較して有意差が認められた（名目上のp値=0.012、層別log-rank検定）。

FLCサブタイプκ型（ITT集団）

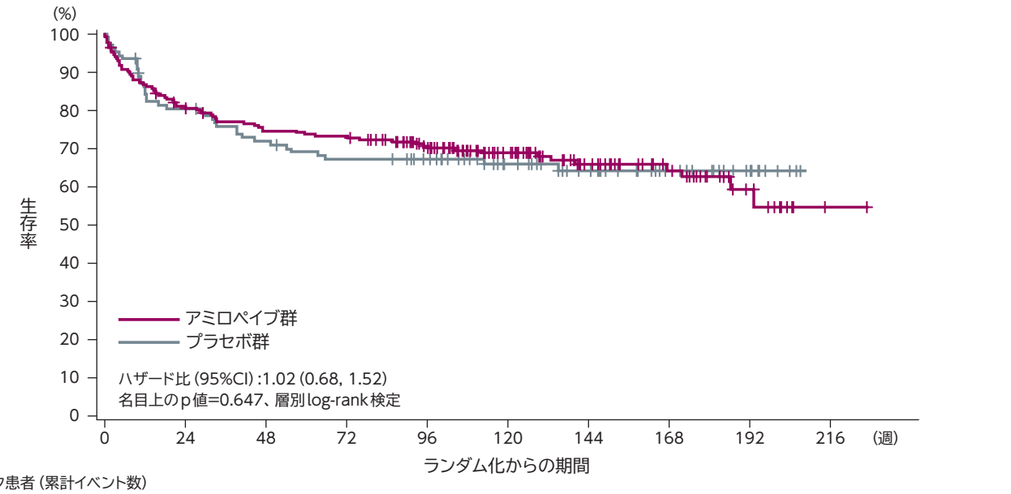


リスク患者（累計イベント数）									
アミロペイブ群	48（0）	36（12）	36（12）	35（12）	29（13）	23（13）	15（14）	9（15）	3（15）
プラセボ群	23（0）	15（8）	12（11）	11（12）	10（12）	7（12）	5（13）	2（14）	0（14）

層別因子：試験、地域、ベースライン時のダラツムマブ投与

*ハザード比（95%CI）：0.38（0.17, 0.83）、層別Cox比例ハザードモデル

FLCサブタイプλ型（ITT集団）



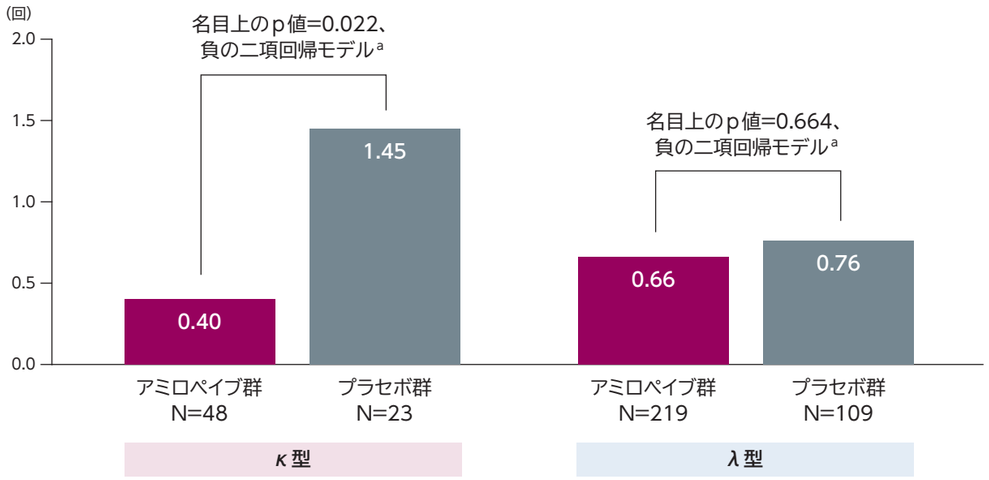
リスク患者（累計イベント数）										
アミロペイブ群	219（0）	174（42）	159（55）	156（58）	129（63）	86（66）	58（69）	39（70）	16（72）	1（73）
プラセボ群	109（0）	86（21）	76（30）	70（35）	65（35）	43（36）	33（37）	20（37）	9（37）	0（37）

層別因子：試験、地域、ベースライン時のダラツムマブ投与

心血管事象に関連する入院（CVH）頻度のFLCサブタイプ別のサブグループ解析

κ型ALアミロイドーシス患者集団では、アミロペイブ群でCVH頻度の相対リスクが72%減少した（発現率比 [95%CI]：0.28 [0.09, 0.83]、名目上のp値=0.022、負の二項回帰モデル）。

■ FLCサブタイプ別の年間CVH頻度（ITT集団）（サブグループ解析）



		κ型		λ型	
		アミロペイブ群 N=48	プラセボ群 N=23	アミロペイブ群 N=219	プラセボ群 N=109
CVH頻度[a]	年間CVH頻度 (95%CI)	0.40 (0.20, 0.81)	1.45 (0.60, 3.49)	0.66 (0.44, 0.98)	0.76 (0.43, 1.34)
	相対リスク減少率（%）	72.06		13.22	
	発現率比（負の二項回帰モデル）(95%CI)	**0.28 (0.09, 0.83)**		**0.87 (0.46, 1.65)**	
	名目上のp値（負の二項回帰モデル）	**0.022**		**0.664**	

a: 治療効果の推定及び検定には負の二項回帰モデルを適用し、投与群、試験、地域、及びベースライン時のダラツムマブ投与を固定効果とし、各患者の追跡期間の対数をオフセット項としてモデルに含めた。

4. 効能又は効果
全身性ALアミロイドーシス（免疫グロブリン軽鎖がκ型優位の場合に限る）
6. 用法及び用量
他の化学療法との併用において、通常、成人にはアンセラミマブ（遺伝子組換え）として、1回1000mg/m^2（体表面積）を1週間隔で4回点滴静注し、以降は2週間隔で点滴静注する。ただし、1回量は2700mgを上限とする。

副次評価項目のFLCサブタイプ別のサブグループ解析

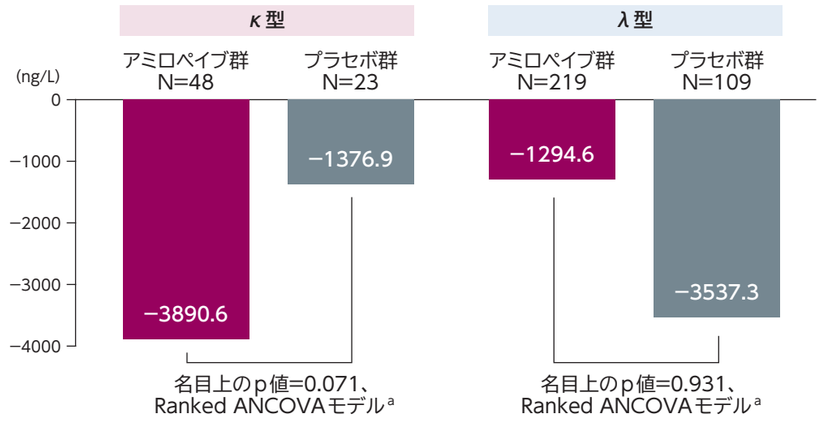
κ型ALアミロイドーシス患者集団における副次評価項目の結果は以下の通りであった。

■ FLCサブタイプ別の主な副次評価項目及びその他の副次評価項目（ITT集団）（サブグループ解析）

		κ型		λ型	
		アミロペイブ群 N=48	プラセボ群 N=23	アミロペイブ群 N=219	プラセボ群 N=109
ベースラインからWeek 50までのKCCQ-OSの変化量[a]	n	28	12	121	62
	平均値（SD）	18.46 (25.919)	9.82 (21.981)	12.33 (22.986)	14.31 (23.125)
	群間差（中央値）[b] (95%CI)	10.37 (−9.38, 26.56)		−3.38 (−9.90, 3.65)	
	名目上のp値[c]	0.130		0.464	
ベースラインからWeek 50までのSF-36v2® PCSの変化量[a]	n	27	12	115	61
	平均値（SD）	5.94 (8.063)	4.68 (8.697)	4.03 (8.936)	3.72 (9.246)
	群間差（中央値）[b] (95%CI)	1.04 (−4.58, 6.70)		0.28 (−2.41, 3.08)	
	名目上のp値[c]	0.218		0.719	
ベースラインからWeek 50までのNT-proBNP (ng/L)の変化量[a]	n	30	12	131	60
	平均値（SD）	−3890.6 (9976.85)	−1376.9 (5363.79)	−1294.6 (7799.26)	−3537.3 (7527.61)
	群間差（中央値）[b] (95%CI)	−1384.28 (−5269.56, 1323.52)		946.13 (−2.88, 2047.52)	
	名目上のp値[c]	0.071		0.931	

a: 投与群、試験、地域、及びベースライン時のダラツムマブ投与を固定効果として調整した。また、各評価項目のベースライン時の順位を共変量とした。
b: Hodges-Lehmann法
c: Ranked ANCOVAモデル

■ FLCサブタイプ別のベースラインからWeek 50までのNT-proBNP (ng/L) の変化量[a]（ITT集団）（サブグループ解析）



a: 投与群、試験、地域、及びベースライン時のダラツムマブ投与を固定効果として調整した。また、各評価項目のベースライン時の順位を共変量とした。

安全性

- 副作用はアミロペイブ群57.6%（156/271例）、プラセボ群63.9%（85/133例）に認められた。
- 主な副作用は、アミロペイブ群では下痢14.0%（38例）、悪心11.1%（30例）、便秘10.0%（27例）、プラセボ群では下痢11.3%（15例）、悪心11.3%（15例）、便秘10.5%（14例）、疲労10.5%（14例）であった。
- 重篤な副作用はアミロペイブ群で44例、プラセボ群で19例に認められた。主な重篤な副作用は、アミロペイブ群では肺炎11例、心不全、大腸炎、下痢が各3例、プラセボ群では心不全3例、末梢性浮腫、呼吸困難が各2例であった。
- 死亡に至った副作用は、アミロペイブ群では敗血症、心停止、回腸穿孔、骨髄抑制、多臓器機能不全症候群が各1例、プラセボ群では突然死、心停止、心アミロイドーシスが各1例であった。
- 投与中止に至った副作用は報告されなかった。

■ 副作用の発現状況（いずれかの群で基本語の発現割合5%以上）（安全性解析対象集団）

器官別大分類 基本語	アミロペイブ群 N=271	プラセボ群 N=133
副作用	156 (57.6)	85 (63.9)
血液およびリンパ系障害	44 (16.2)	16 (12.0)
貧血	26 (9.6)	6 (4.5)
リンパ球減少症	15 (5.5)	4 (3.0)
胃腸障害	75 (27.7)	39 (29.3)
下痢	38 (14.0)	15 (11.3)
悪心	30 (11.1)	15 (11.3)
便秘	27 (10.0)	14 (10.5)
嘔吐	23 (8.5)	7 (5.3)
一般・全身障害および投与部位の状態	58 (21.4)	35 (26.3)
疲労	26 (9.6)	14 (10.5)
末梢性浮腫	20 (7.4)	10 (7.5)
感染症および寄生虫症	47 (17.3)	23 (17.3)
肺炎	15 (5.5)	3 (2.3)
上気道感染	7 (2.6)	9 (6.8)
神経系障害	42 (15.5)	21 (15.8)
浮動性めまい	17 (6.3)	6 (4.5)
味覚不全	9 (3.3)	7 (5.3)
呼吸器、胸郭および縦隔障害	34 (12.5)	21 (15.8)
呼吸困難	10 (3.7)	9 (6.8)
皮膚および皮下組織障害	37 (13.7)	19 (14.3)
そう痒症	14 (5.2)	5 (3.8)
斑状丘疹状皮疹	5 (1.8)	7 (5.3)

n (%)

注：同一事象が同一患者に複数回発現した場合は1件として取り扱った。
有害事象名はMedDRA/J version 28.0を用いて表示した。

4. 効能又は効果
全身性ALアミロイドーシス（免疫グロブリン軽鎖がκ型優位の場合に限る）
6. 用法及び用量
他の化学療法との併用において、通常、成人にはアンセラミマブ（遺伝子組換え）として、1回1000mg/m^2（体表面積）を1週間隔で4回点滴静注し、以降は2週間隔で点滴静注する。ただし、1回量は2700mgを上限とする。

κ型患者における治験薬との関連性が否定できない有害事象（副作用）の発現頻度は、アミロペイブ群58.3%（28/48例）、プラセボ群69.6%（16/23例）であった。

■ κ型患者における有害事象の発現状況の概要（安全性解析対象集団）

	アミロペイブ群 N=48	プラセボ群 N=23
有害事象	48 (100)	23 (100)
治験薬との関連性が否定できない有害事象	28 (58.3)	16 (69.6)
Grade 3以上の有害事象	42 (87.5)	21 (91.3)
重症度別		
Grade 1	44 (91.7)	20 (87.0)
Grade 2	44 (91.7)	22 (95.7)
Grade 3	40 (83.3)	17 (73.9)
Grade 4	11 (22.9)	4 (17.4)
Grade 5	13 (27.1)	13 (56.5)
重篤な有害事象	38 (79.2)	19 (82.6)
治験薬との関連性が否定できない重篤な有害事象	5 (10.4)	2 (8.7)
死亡に至った有害事象	13 (27.1)	13 (56.5)
治験薬の投与中止に至った有害事象	3 (6.3)	2 (8.7)

n (%)