NOVARTIS

開発本部

LNP023

CLNP023C11401
ファビハルタカプセルの発作性夜間ヘモグロビン尿症に対する
製造販売後調査

製造販売後調査の説明文書

文書の種類：　説明文書

版番号：　第 1.0 版（東京医科大学病院版）

作成年月日：　2024 年 9 月 30 日

NIS ICF Template version 5.0, Effective from 01-Nov-2021
J -PMS ICF Standardized Template Version 3.0 14-Jul-2022

目　次

製造販売後調査とは

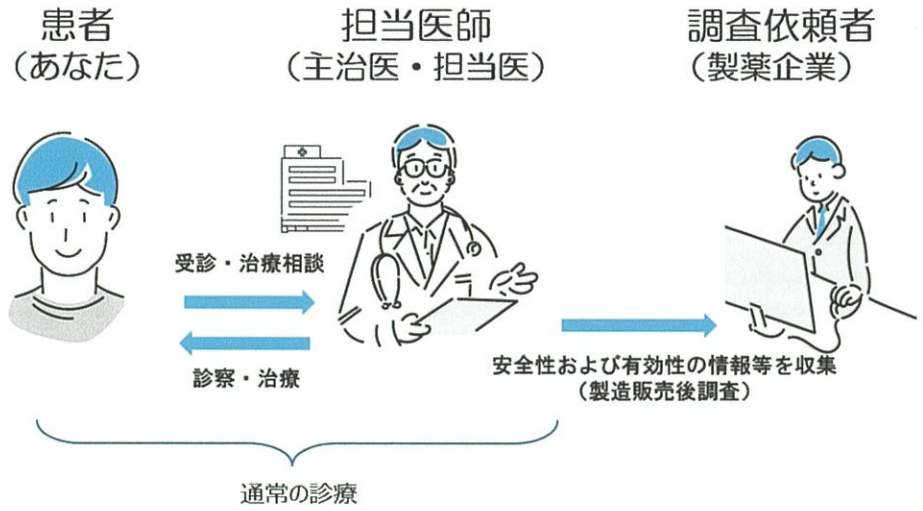
製造販売後調査とは，薬が国（厚生労働省）から医薬品として承認を得て市販された後に，その薬剤を製造している製薬会社（以下，調査依頼者）が行う調査です。その薬剤が市販される前に行われた治験*では得られなかった安全性および有効性の情報等を収集するために，通常の診療下でその薬剤を使用した場合の安全性および有効性を確認します。

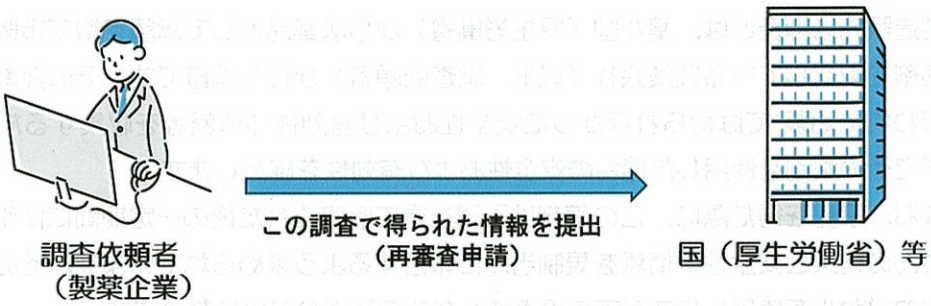
なお，承認を得た際に，この薬剤は承認を得て販売された後の一定期間に使用したすべての患者さんの効果と安全性の情報を規制当局に報告するよう求められています。そのため，ファビハルタカプセルを使用したすべての患者さんがこの調査の対象になります。

製造販売後調査を行う際は，国が定めた省令を遵守します。また，製造販売後調査で収集された情報は，調査依頼者によって，この薬剤の再審査申請**等のために国およびその関連機関（海外の規制当局を含む）に提出する資料の一部として使用させていただきます。

*治験：国（厚生労働省）から新しい医薬品として承認を得るために，健康な人や患者さんの協力を得て行われる臨床試験のこと。

**再審査申請：国（厚生労働省）が新薬を医薬品として承認し，一定期間が経過した後に，製薬会社が実際に病院で使用された情報を集め，承認された効能効果，安全性について，再確認する制度のことを再審査といいます。その再確認のために集められた情報を製薬会社が厚生労働省等へ提出することを再審査申請といいます。




調査依頼者
（製薬企業）
この調査で得られた情報を提出
（再審査申請）
国（厚生労働省）等

製造販売後調査の対象となったみなさまへ：

現在，調査依頼者から依頼を受け，ファビハルタカプセルという薬の製造販売後調査を実施しています。そのため，あなたの通常の診療で得られた情報を，この調査のために調査依頼者に提供させていただきます。以下に，この説明文書の主な内容をまとめました。ご質問があれば，担当医師に相談してください。

あなたが未成年者の親として本調査の説明を受ける場合，この説明文書内の「あなた」の記載は，「あなたの子」を意味します。同様に，被後見人の保護者の場合は，「あなたの被後見人者」を意味します。

説明文書の概要

この調査はどんな調査ですか？

- この調査はファビハルタカプセルという薬剤の製造販売後調査です。
- この調査の目的はファビハルタカプセルを投与した際の安全性と有効性を確認することです。
- あなたと同じ発作性夜間ヘモグロビン尿症の患者さんが，この調査の対象となります。
  （詳細は，２章をご覧ください）

この調査の対象になった場合，どうなりますか？

- この調査の対象患者になることによって，治療を変更することはありませんし，追加の検査や処置もありません。そのため，通常の診療にかかる費用以外の追加の費用を負担いただくことはありません。
  （治療や検査の内容は，３章をご覧ください）

この調査の対象となることで予測される利益と不利益は何ですか？

- この調査の対象患者となることは，直接的にあなたに利益はありませんが，販売後のファビハルタカプセルの安全性や有効性を確保し，適正な使用方法の確立に役立ちます。
  （詳細は，４章をご覧ください）

この調査中に健康被害を被った場合，どうなりますか？

- この薬剤を使用することで，あなたに何らかの健康上の問題が現れたり，あなたが何らかの健康被害を被った場合は，すぐに担当医師に連絡してください。
- この調査の対象患者となることで，担当医師があなたにとって適切な治療方法を変更することはなく，この調査のために治療や検査を追加することもありません。そのため，健康被害が発生した場合は，調査依頼者による健康被害補償制度の適用対象にはなりません。
  （詳細は，６章をご覧ください）

私の個人データはどのように扱われますか？

- 適用されるすべての法律に従い，あなたの個人データは保護されます。
  （詳細は，７章をご覧ください）

調査の結果はどうなりますか？

以下の目的で調査の結果を使用させていただきます。これらの掲載される調査結果に，あなたを特定できる情報は含まれません。

- 再審査申請資料
- この薬剤を適正に使用するための資料
- 学会または学術誌への公表等

調査終了後，調査結果の概要は，調査依頼者のホームページ等で閲覧できるようになります。

（詳細は，８章をご覧ください）

一般用語の説明

検体：検査に使用する血液・髄液・尿や組織の一部のこと。

規制当局：提出された調査データを審査したり，査察を実施したりする，厚生労働省および厚生労働大臣が医薬品，医療機器等の品質，有効性及び安全性の確保等に関する法律に基づき調査を委託した機関のこと。また，海外では，例えば米国の食品医薬品局（FDA），欧州の欧州医薬品庁（EMA）などのこと。

1 なぜこの文書を読む必要がありますか?

この説明文書では，調査の内容，調査が行われる理由，調査の進め方，あなたの権利のほか，予想される利益と不利益について説明します。

あなたの個人情報保護に関する権利について，この説明文書に記載されています（7 章）。

わからないことがあれば担当医師や医療スタッフに質問してください。

この説明文書に記載されている内容は，現時点で一般には公開されていない情報が含まれていますので，あなたのご家族や友人など，相談したい方以外とは共有しないでください。

2 この調査の目的は何ですか？誰が調査の対象になりますか？

この調査の目的は，あなたの通常の診療を通して状態を観察し，ファビハルタカプセルを投与した際の安全性と有効性を評価する事です。

あなたと同じ発作性夜間ヘモグロビン尿症の患者さんが，この調査の対象になる予定です。

この調査の対象患者になることで，あなたの治療内容が変更されることはありません。担当医師があなたにとって適切と判断した治療を行います。この調査のために検査や処置を追加することはありません。

3 この調査の対象になった場合，どうなりますか？

3.1 私に求められることは何ですか？

調査の対象となる期間はおよそ 1 年間です。調査中は，通常の検査や処置を実施し，通常と変わらない治療を行います。担当医師が，以下に示すような，あなたの病歴や現在の健康状態に関する情報を確認することがあります。この調査のためにあなたが追加で実施することはありませんし，調査の対象となることで通常の診療にかかる費用以外の追加の費用を負担いただくことはありません。

- 医療情報（病歴など）
- 検査結果（血液検査など）

3.2 調査中に得られたデータや情報は誰が所有しますか？

調査データ（詳細は 7 章参照）として収集された情報は，調査依頼者が所有します。

4 この調査の対象となることで予測される利益と不利益は何ですか？

この調査の対象となることは，直接的にあなたに利益はありません。調査依頼者がこの調査から得られる情報は，販売後のファビハルタカプセルの安全性や有効性を確保し，適正な使用方法の確立に役立ちます。

この調査の対象となることで，担当医師があなたにとって適切な治療を変更することはありません。あなたの担当医師は，あなたが使用する薬剤について副作用の可能性も含めて説明し，あなたの疑問にお答えします。

国が定めた省令などに従い，担当医師は，この調査中に起こった好ましくない症状（事象）を収集し，調査依頼者に報告します。

5 妊娠および授乳について知っておくべきことはありますか?

あなたが妊娠した場合は，担当医師があなたの妊娠の経過，出産，赤ちゃんの健康状態を確認するために，あなたおよび赤ちゃんの情報を収集させていただきます。また，担当医師は，これらの情報を調査依頼者に提供します。

6 この調査中に健康被害を被った場合，どうなりますか？

この調査中にあなたに何らかの健康上の問題が生じたり，何らかの健康被害を被った場合は，すぐに担当医師に連絡してください。担当医師が適切に対処します（この文書に記載された連絡先を参照してください）。

この調査の対象患者となることで，担当医師があなたにとって適切な治療方法を変更することはなく，この調査のために治療や検査を追加することもありません。そのため，健康被害が発生した場合は，調査依頼者による健康被害補償制度の適用対象にはなりません。

この場合でも，あなたの法的権利を放棄することにはならず，また，担当医師，調査依頼者，または関連施設の法的な責任や業務上の責任から免除することにもなりません。

7 個人データとは何ですか？個人データはどのように扱われますか？

この調査期間中，担当医師はあなたを特定できる「個人データ」と呼ばれるあなたに関する特定の情報／データを収集します。

7.1 個人データとは何ですか？誰が見ることができますか?

個人データとは？	誰が見ることができますか？
例としては， • 氏名，生年月日，性別 • 連絡先（住所，電話番号） • 病状および既往歴 • 画像（X 線，スキャン結果，写真など） • 検体（血液や組織など）からの情報	• 担当医師および医療スタッフ

担当医師は、後述のとおり「個人データ」からあなたの氏名や連絡先などを除いたコード化データに加工して調査依頼者に提供します。あなたの「個人データ」はあなたの担当医師が所属す

る医療機関で機密として保管されます。また，調査依頼者があなたの「個人データ」を閲覧することはありません。

あなたには以下の権利があり，法律と規制当局の関連ガイドラインの定めるところに従って行使することができます。

- 特定の個人データを確認・修正すること，調査終了時に個人データの提供を求める権利（提供の方法は権利を行使する時点で認められている標準的な方法による）

個人データに関する権利を行使したい場合は，担当医師にお問い合わせください。

7.2 コード化データとは何ですか？誰がそれを見ることができますか?

コード化データとは，あなたを特定する情報を調査対象者 ID などに置き換えて，個人が容易に特定できないように加工したデータのことです。担当医師は，あなたの氏名など，あなたを特定できる「個人データ」の部分を調査対象者 ID に置き換え（例：「調査　太郎」→「調査対象者 001」），あなたに関する情報がすべて「コード化データ」になるようにします。

コード化データとは？	誰がそれを見ることができますか?
あなたに関する情報の例としては， • 性別，年齢，生年 • 調査中に収集された画像や検体（検査に使われる血液，尿など）から得られた情報	• 担当医師および医療スタッフ • 調査依頼者 • 調査依頼者の協力者（調査依頼者に協力する研究者，この薬剤の共同販売会社，論文投稿先の関係者等） • 調査依頼者またはその事業の一部が買収された際の別会社 • 外部受託業者（調査依頼者と業務提供者） • 厚生労働省およびその関連機関や海外の規制当局のスタッフ

コード化データが使用又は共有されるたびにあなたに通知が行くことはありません。

コード化データを用いることで，担当医師とアクセス権を持つ数人の医療スタッフのみが，調査対象者 ID とあなたを紐づけることができます。

調査依頼者はコード化データのみを適切なセキュリティ環境の下で保管し，すべての調査対象者のコード化データをまとめます。

調査依頼者は，まとめられたコード化データを以下の目的で使用します。

- この薬剤の継続的な安全性評価
- 調査目的又は調査結果の公表のための、論文投稿先の関係者、および共同販売会社の関係者など調査依頼者の外部パートナーとの共有

調査依頼者は、倫理的かつ責任ある方法で人工知能（AI：artificial intelligence）を使用することに取り組んでいます。AI の使用に関する詳細な情報については、あなたや担当医師は以下のウェブサイト（英語）で確認することができます。

https://www.novartis.com/about/strategy/data-and-digital/artificial-intelligence/our-commitment-ethical-and-responsible-use-ai

7.3 プライバシーに関する権利とは何ですか?

上記の表に記載されている人／組織は，日本以外の国々も含まれている可能性がありますが，コード化データ移管の際には，調査依頼者は法律で求められているとおり，これらのデータの保護とプライバシーを確保します。

調査依頼者は，すべての調査データ（調査依頼者が受領したコード化データ）を永年保管します。

調査データが完全で，正しいものであり，規制当局の目的のために利用可能である必要があるため，すでに収集された当該医療機関ですでに収集された個人データまたはコード化データを消去することはできません。

調査依頼者は，個人データは提供を受けず，保管もせず，コード化データのみを保管します。

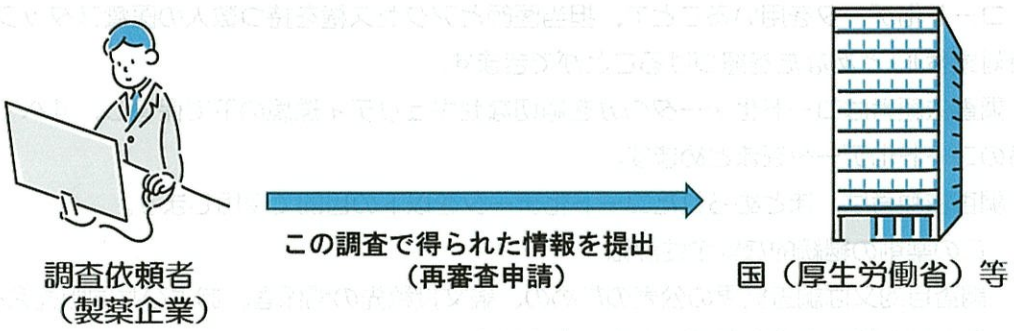
コード化データに関する質問については，担当医師にお問い合わせください。

8 調査の結果はどうなりますか?

調査終了後，調査結果の概要は，調査依頼者のホームページ：http://www.novartisclinicaltrials.com（Novartis Clinical Trial Results Registry）（英語サイト）,臨床研究等提出・公開システム（jRCT）：https://jrct.niph.go.jp（日本語サイト）などで閲覧できるようになります。

この調査で得られたデータを，以下の目的で使用させていただきます。

- この薬剤の再審査申請等のために国（厚生労働省）およびその関連機関（海外の規制当局を含む）に提出する資料の一部

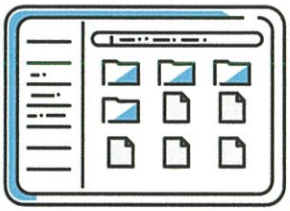


また，以下の目的で使用させていただく場合があります。

- この薬剤を適正に使用するための資料への掲載

- 調査依頼者の医療関係者向けサイトへの調査結果の掲載
- 学会または学術誌等への調査結果の概要の公表

医薬品を適正に使用するための資料へ掲載



調査依頼者（製薬企業）の医療関係者向けサイトへの調査結果の掲載

学会等で公表

上記のウェブサイトに掲載される場合や目的で使用される場合でも，公表された内容からあなた個人が特定されることはありません。また，一部の規制当局は，透明性を確認するために調査依頼者に調査データの開示を求める場合がありますが，規制当局と共有したデータからあなた個人が特定されることはありません。

調査終了後，調査結果の概要は，調査依頼者のホームページ：http://www.novartisclinicaltrials.com（Novartis Clinical Trial Results Registry），欧州の臨床試験データベース：http://www.encepp.eu/（European Union electronic Register of Post-Authorization Studies Registry）で閲覧できるようになります。

9 質問がある場合，どこに相談すればよいですか?

質問がある場合には，以下までご連絡ください：

施設名 ：東京医科大学病院
診療科名 ：血液内科
担当医師名：後藤 明彦
電話番号 ：03-3342-6111（代表）