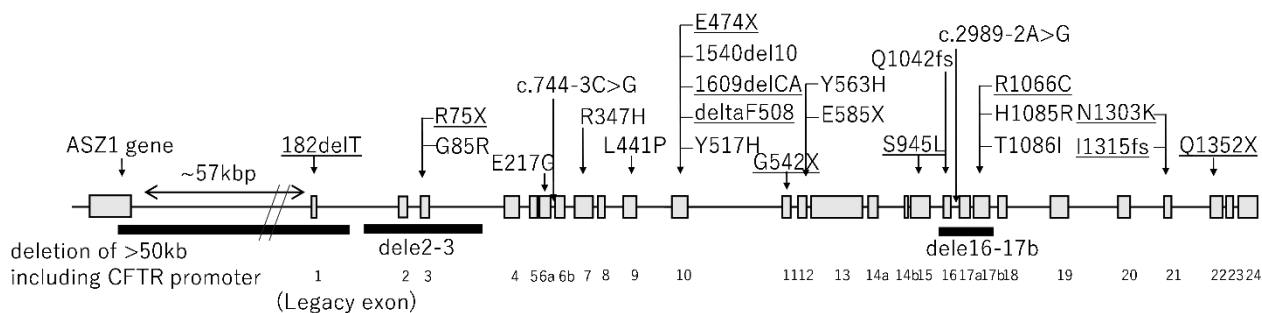


別図1 CF 確診患者 33 名から検出された病的 CFTR 遺伝子変異と位置 (下線はヨーロッパ型変異)



別表1 リパクレオンの登録患者数 (2016~2018 年)

治療薬	リパクレオン			
発売日	2011/8/31			
調査時期	2015.12/31	2016/12/31	2017/12/31	2018/03/31*
新規登録患者数	3	2	2	1
前調査から継続	14	15	17	17
中止・中断	2	0	0	0
死亡による中止	1	0	1	1
その他(転院)	1	0	1	0
調査時点の患者数	15	17	17	17
副作用	0	0	0	0
有害事象	10	3	20	2
CF に起因する事象	17	43	23	

使用開始時点と登録時点は手続き上一致しないことがある。

* 2018/3/31 調査終了

別表2 プルモザイムの登録患者数 (2016~2018 年)

治療薬	プルモザイム			
発売日	2012/6/8			
調査時期	2015/11/30	2016/12/31	2017/12/31	2018/12/31
新規登録患者数	2	6	6	4
前調査から継続	18	18	19	22
中止・中断	2	5	3	0
症状改善	1			
死亡による中止			2	
副作用		1	1	
肺移植	1	1		
転院		1		1

個人輸入		1	1	1
経済的理由				
不明		1	1	2
調査時点の患者数	18	19	22	26
副作用*	3	0	1	0
有害事象	58	47	26	11
CF に起因する事象				
* 4例7件(すべて非重篤、発声障害、呼吸困難・喀血・発熱、発熱、口腔咽頭痛・上室性徐脈)				

使用開始時点と登録時点は手続き上一致しないことがある。

別表3 トービイの登録患者数(2016～2018年)

治療薬	トービイ			
発売日	2013/1/9			
調査時期	2015/12/31	2016/12/31	2017/12/31	2018/12/31
新規登録患者数	2	1	2	0
前調査から継続	9	9	9	11
中止・中断	1	1	0	0
死亡による中止	0	0	0	0
その他(転院)	1	0	2	1
調査時点の患者数	11	9	11	10
副作用	0	0	0	2
有害事象	1	1	0	4
CF に起因する事象	0	0	0	0

使用開始時点と登録時点は手続き上一致しないことがある。

別表4 栄養評価の対象

	年齢	性別	膵外分泌不全	呼吸器症状	汗中CF濃度	胎便性イレウス	CFTR 遺伝子変異
症例1	12歳	女	なし	あり	高値	あり	L441P
症例2	10歳	女	あり	あり	高値	あり	dele 16-17b、F508del
症例3	3歳	男	あり	あり	高値	なし	dele16-17b ホモ接合体
症例4	5歳	女	あり	あり	未測定	なし	dele16-17b ホモ接合体

別表5 食事摂取状況と栄養状態

		症例1	症例2	症例3	症例4
食事バランス	主食	適量	やや多い	やや少ない	適量
	副菜	やや少ない	少ない	少ない	少ない

	主菜	多い	やや多い	やや少ない	適量
	牛乳・乳製品	適量	適量	多い	多い
	果物	少ない	少ない	やや少ない	やや少ない
栄養素充足率 (%)	エネルギー	81	92	120	136
	たんぱく質	140	119	248	253
	カルシウム	40	18	103	108
	鉄	80	24	70	62
	ビタミンD	96	104	192	127
	ビタミンK	139	15	459	385
栄養状態	身長	134.6 (-3.0SD)	120.0 (-3.0SD)	97.0 (0.0SD)	103.0 (-1.5SD)
	体重	32.5 (-1.5SD)	20.0 (-2.0SD)	14.0 (-0.4SD)	19.0 (0.2SD)
	パーセントイル BMI	25~50	3~10	25~50	50~75
	アルブミン値(g/dl)	4.7	2.7	4.2	4.3
	ヘモグロビン(g/dl)	11.7	10.8	13.9	12.9