RMP

ファビハルタ®の治療を始める前の確認事項（チェックシート）

ファビハルタ®の治療を始める前に、以下の項目について確認します。
該当する項目がある場合は、治療を受ける前に必ず主治医に伝えてください。

確認事項	チェック
5年以内に髄膜炎菌ワクチンを接種していない	☐
肺炎球菌ワクチンを接種していない	☐
インフルエンザ菌b型（Hib）ワクチンを接種していない	☐
重篤な感染症にかかっている（かかっていた）	☐
ファビハルタ®の成分に対して過敏症を起こしたことがある	☐
重度の腎機能障害がある	☐
肝機能障害がある	☐
妊娠中、または妊娠している可能性がある	☐
授乳している	☐
PNH以外の治療を受けている、あるいは薬を服用している	☐

ノバルティス ファーマ株式会社
FPN00001ZK0004
2026年9月改訂

医薬品リスク管理計画（RMP）

本資材は医薬品リスク管理計画に基づき作成された資材です（その他適正使用情報を含む）

ファビハルタ®を服用される発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）の患者さんへ

監修
大阪大学大学院 医学系研究科 血液・腫瘍内科学 招へい教授
西村 純一 先生



NOVARTIS

はじめに

発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）は非常にまれな病気で、国の指定難病の一つです。長く付き合っていく必要がありますが、近年では、薬の開発によりPNHの溶血に関連した症状は改善してきています。

症状をコントロールして安定した日常生活を送るために、医師の指示を守って治療を続けることが大切です。

この冊子では、ファビハルタ®による治療を始めるにあたり患者さんに知っておいていただきたいことをまとめました。不安や疑問に思うことがありましたら、医師や看護師、薬剤師などにご相談ください。

大阪大学大学院 医学系研究科 血液・腫瘍内科学 招へい教授

西村 純一 先生

内 容

はじめに …… 2

治療開始までの流れ RMP …… 4

発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）について …… 5

溶血について …… 6

ファビハルタ®の作用 …… 7

ファビハルタ®の治療を受けられる患者さん RMP …… 8

ワクチンの接種について RMP …… 9

重篤な感染症のリスクについて RMP …… 10

使用中のPNH治療薬からの切り替えについて RMP …… 12

ファビハルタ®の服用について RMP …… 13

ファビハルタ®の治療で注意してほしいこと RMP …… 14

ファビハルタ®患者安全性カードについて RMP …… 16

感染予防について …… 17

血液検査値について …… 18

用語解説 …… 20

医療費助成制度について …… 22

参考情報【患者会情報】 …… 23

ファビハルタ®の治療を始める前の確認事項（チェックシート） RMP …… 24

本資材は、医薬品リスク管理計画に基づく内容を含む資材であり、追加のリスク最小化活動に基づく内容に該当する箇所にマークを付与しています。

RMP

治療開始までの流れ

1. ファビハルタ®による治療の対象になるか主治医による説明・確認 ➡(p.8)

※裏表紙のチェックシートもあわせて確認ください。

2. 主治医からのファビハルタ®の有効性および安全性に関する説明

3. 患者同意書への署名

4. 髄膜炎菌(ずいまくえんきん)、肺炎球菌(はいえんきゅうきん)、インフルエンザ菌b型に対するワクチンの接種歴の確認、およびワクチンの接種 ➡(p.9)

※ワクチンの接種はファビハルタ®の服薬開始2週間以上前に済ませておく必要があります。

5. ファビハルタ®患者安全性カードへの記入 ➡(p.16)

6. ファビハルタ®による治療を開始

発作性夜間ヘモグロビン尿症(PNH)について

★印の語句についてはp.20～21の用語解説をご覧ください

PNHは、血液細胞をつくる造血幹細胞★1の遺伝子が変化し、異常な赤血球★2(PNH型赤血球★3)がつくられる病気です。PNH型赤血球は、免疫のしくみの一つである補体★4の働きを制御する「補体制御たんぱく(ほたいせいぎょ)★5」が正常に働かないため、補体の攻撃を受けやすくなっています。その結果、赤血球が壊されることにより溶血が起こります。

PNHの3大徴候は、溶血に加え、血栓症★6、造血不全であり、溶血と血栓症は密接に関連しています。造血不全に起因する症状としては貧血★7、感染症、出血があります。

PNHでは、具体的には以下のような症状や合併症を引き起こすことがあります。

主な具体的な症状

疲労、茶褐色～コーラ色の尿、腹痛、血栓症、嚥下障害(えんげしょうがい)(飲み込みにくさ)、男性機能不全、黄疸(皮膚が黄色くなる)、頭痛、息切れ　など

合併症

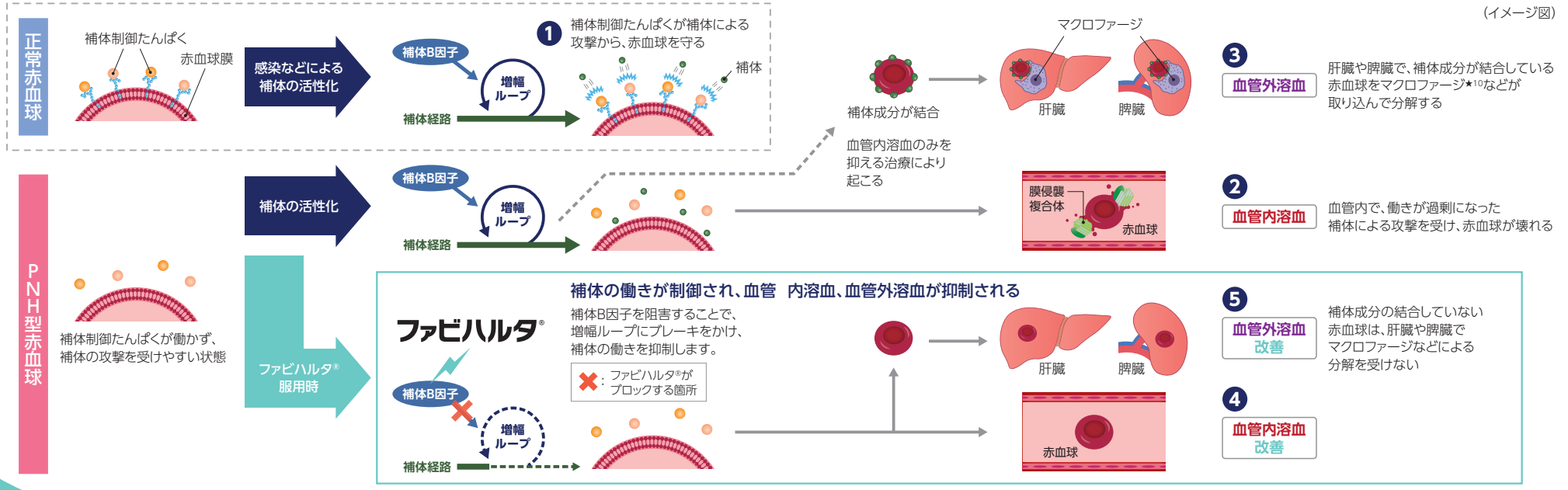
慢性腎臓病★8、肺高血圧症★9、血栓症、感染症、出血　など

溶血について

PNH患者さんでは、「補体」と呼ばれる免疫のしくみに異常が生じており、補体が過剰に働いています。正常時には、補体の働きが過剰にならないように補体制御たんぱくが補体の働きを抑制します(❶)が、PNH患者さんでは補体制御たんぱくが正しく働かず、補体がPNH型赤血球を攻撃して壊してしまいます(❷)。赤血球が壊れることを溶血といいますが、これによりヘモグロビンが放出され、さまざまな症状があらわれます(溶血に関連してみられる症状や徴候 ➡p.15)。この補体の攻撃による溶血は血管内で起こるため、**血管内溶血**と呼ばれます。血管内溶血のみを抑える治療を行うことでPNHの溶血は改善しますが、**血管外溶血**と呼ばれる別のしくみの溶血が起こることがあります。これは補体成分の結合したPNH型赤血球が肝臓や脾臓(ひぞう)などで分解されて起こり(❸)、**血管内溶血**のみを抑える治療を行っても貧血の症状が改善しないケースでは**血管外溶血**が原因になっていると考えられています。

ファビハルタ®の作用

ファビハルタ®はPNHの治療に用いられる経口薬です。PNHの患者さんでは、補体が活発に働いていますが、これを増幅ループがさらに強めることで補体の働きが過剰になっています。増幅ループには補体B因子★11が関わっています。ファビハルタ®はこの補体B因子を阻害することで増幅ループにブレーキをかけ、その結果、過剰になっている補体の働きをしずめるため、**血管内溶血**を抑えることができる(❹)と考えられています。また、増幅ループの働きにブレーキをかけることで、PNH型赤血球に結合する補体成分の生成を制御することができるため、**血管外溶血**も抑えることができる(❺)と考えられています。



RMP

ファビハルタ®の治療を受けられる患者さん

ファビハルタ®はPNHの患者さんに用いられます。

ファビハルタ®の治療を受けることができない患者さん

以下の患者さんはファビハルタ®の治療を受けることができません。
該当する場合は主治医に申し出てください。

- 髄膜炎菌感染症にかかっている
- 肺炎球菌、インフルエンザ菌などの莢膜(きょうまく)形成細菌★12による重篤な感染症にかかっている
- ファビハルタ®の成分に対して過敏症を起こしたことがある

ファビハルタ®の治療に注意が必要な患者さん

以下の患者さんはファビハルタ®の治療にあたって注意が必要です。該当する場合は主治医に申し出てください。

- 髄膜炎菌感染症の既往がある
- 感染症にかかっているまたは感染が疑われる
- 重度の腎機能障害がある
- 肝機能障害がある
- 妊娠中または妊娠している可能性がある
- 授乳している
- 小児
- 併用に注意が必要な他の薬剤※を服用している

※ クロピドグレル、シクロスポリン等：ファビハルタ®の副作用が強く出る可能性があります。
レパグリニド、パクリタキセル、モンテルカスト等：これらの薬の副作用が強く出る可能性があります。

RMP

ワクチンの接種について

ファビハルタ®は免疫系の一部を阻害するため、服用中に髄膜炎菌、肺炎球菌、インフルエンザ菌などによる重篤な感染症にかかりやすくなる可能性があります。
髄膜炎菌、肺炎球菌、インフルエンザ菌b型に対するワクチンを未接種の場合または追加接種が必要な場合は、感染のリスクを低下させるために、原則、ファビハルタ®を初めて服用する日の2週間前までにこれらのワクチンを接種しておく必要があります。

- ワクチンを接種してから2週間以内にファビハルタ®を服用する必要がある場合、主治医の判断によってワクチン接種の2週間後までは、感染予防として抗菌剤を投与します。
- 過去のワクチン接種から時間がたっている場合には、主治医と相談のうえ、必要に応じてワクチンの追加接種を受けてください。
- ワクチンを接種することにより、感染症を完全に防げるわけではありません。

ワクチン接種後、ファビハルタ®患者安全性カードへワクチン接種日を医師に記入してもらいましょう。➡(p.16)



RMP

重篤な感染症の　リスクについて

ファビハルタ®の服用中に、髄膜炎菌、肺炎球菌、インフルエンザ菌などによる重篤な感染症があらわれることがあります。
以下のような症状がみられた場合には、すぐに主治医へ連絡して、医療機関で抗菌剤の投与などの適切な処置を受け、重症化させないように注意してください。

髄膜炎菌等による感染症が疑　われる際に注意が必要な症状

- 発熱



- 震えや悪寒



- 頭痛



- 発疹



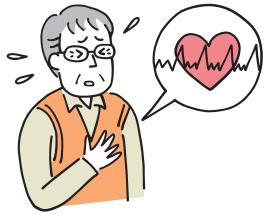
- 胸痛や咳



- 息苦しさ(息切れや呼吸数の増加)



- 高い心拍数



- 吐き気や嘔吐



- 首筋や背中のこわばり



- 錯乱(混乱していて考えがまとまらない、物事を理解できない)



- インフルエンザのような症状を伴う体の痛み



- 光に対する過敏な感覚(光が異様にギラギラ輝いて見える、異常にまぶしく感じる等)



- 皮膚の冷感



感染症の初期症状は、インフルエンザや風邪の症状と区別がつきにくい場合があります

風邪の症状などで医療機関を受診する際には、ファビハルタ®で治療中であることがわかるように、必ず医師にファビハルタ®患者安全性カード ➡(p.16)を提示してください。

感染症にかかると、溶血発作★13を引き起こす可能性もありますので、溶血に関連する症状や徴候 ➡(p.15)が悪化したり、新たにみられた場合は、すぐに主治医に連絡し、医療機関を受診してください。

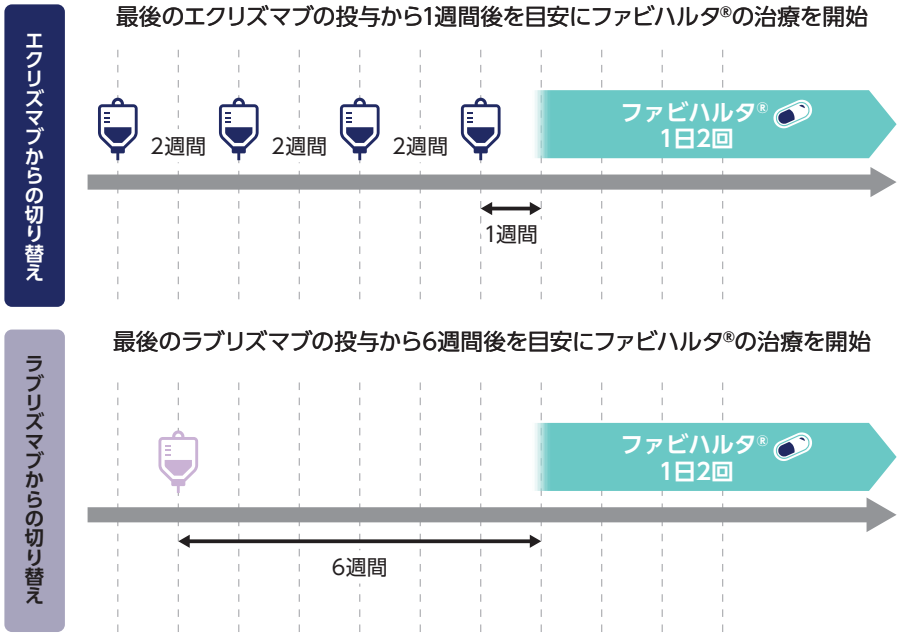
RMP

使用中のPNH治療薬からの切り替えについて

使用しているPNH治療薬を中止すると溶血を起こす可能性があります。これらの薬から切り替える際は、溶血のリスクを下げるために、前の薬の効果が続いている間に、ファビハルタ®の服用を始めることが重要です。

- エクリズマブから切り替える場合、エクリズマブの最終投与1週間後を目安にファビハルタ®の治療を開始します。
- ラブリズマブから切り替える場合、ラブリズマブの最終投与6週間後を目安にファビハルタ®の治療を開始します。

● ファビハルタ®の治療開始スケジュール（例）



ファビハルタ®治療開始の2週間前までにワクチン接種を受けます。

RMP

ファビハルタ®の服用について

服用方法

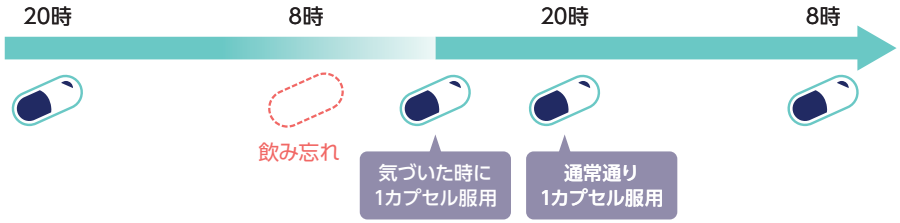
ファビハルタ®は、1回1カプセルを1日2回服用してください。
カプセルを開けたり、割ったり、噛んだりしないで服用してください。

ファビハルタ®カプセル	 ←21.7 mm→ （実物大）

服用するのを忘れたことに気づいたら

ファビハルタ®の服用を忘れることで、溶血発作が起こりやすくなる可能性があります。服用するのを忘れた場合は、決して2回分を一度に服用せず、気づいた時に1回分を服用してください。ただし、次の服用タイミングが近い場合は1回とばして、次のタイミングに1回分を服用してください。

● 飲み忘れ対応（例）：8時、20時に通常服用している例



たくさん服用してしまったら

間違えて一度にたくさん服用してしまった場合は、すぐに主治医または薬剤師に相談してください。

RMP

ファビハルタ®の治療で　注意してほしいこと

他の薬を服用するとき

他の医療機関で処方された薬や、市販の薬などを服用する場合は、ファビハルタ®を服用していることを必ず医師または薬剤師に伝えてください。

服用後にあらわれやすい副作用

ファビハルタ®の服用後に以下の副作用があらわれることがあります。
気になる症状があれば、できるだけ早く主治医または薬剤師に相談してください。

血小板数減少（出血やあざができやすくなる）、下痢、腹痛、悪心、上気道感染、尿路感染、気管支炎（しつこい咳や気道の炎症）、関節痛、頭痛、浮動性めまい、細菌性肺炎、じんましん　など

定期的な血液検査について

ファビハルタ®の服用によって、脂質異常症があらわれることがあります。

また、PNHの病状を確認するためにも、定期的な血液検査を受けることが大切です。➡(p.18)

ファビハルタ®の治療を中止/中断する場合の溶血のリスクについて

ファビハルタ®の服用を途中でやめると溶血を起こしてしまうことがあります。
体調が良くても服用をやめないようにしましょう。
ファビハルタ®の治療を中止/中断する場合は、主治医に相談してください。
治療中止/中断後に溶血に関連した症状や徴候がみられた場合には早めに主治医に相談してください。

溶血に関連してみられる症状や徴候

疲労、茶褐色～コーラ色の尿、腹痛、血栓症、嚥下障害（飲み込みにくさ）、男性機能不全、頭痛、息切れ　　など

RMP

ファビハルタ®患者安全性カードについて

ファビハルタ®患者安全性カードは、患者さんがファビハルタ®による治療中であることを知らせるカードです。ファビハルタ®の治療中や治療終了後2週間は常に携帯してください。医療機関を受診する際には受診先の医療機関に提示して、ファビハルタ®による治療を受けていることを伝えてください。また、薬局でファビハルタ®を受け取るときにも、薬剤師に提示する必要があります。



- ファビハルタ®患者安全性カードには、主治医と相談のうえ、PNHの治療で通院している病院名、主治医名、緊急時受診可能医療機関の病院名、ワクチン接種日などを記入してください。
- ファビハルタ®患者安全性カードに記載がある症状がみられた場合には、ファビハルタ®の治療を行っている主治医に連絡し、医療機関を受診してください。
- 主治医と連絡がつかない場合には、すぐに救急車を呼び、救急救命室のスタッフにファビハルタ®患者安全性カードを提示してください。

感染予防について

ファビハルタ®は免疫の働きを低下させることがあり、服用中は髄膜炎菌や肺炎球菌、インフルエンザ菌による感染症をはじめ、他のさまざまな感染症にかかるリスクが高まります。また、ワクチンの接種は有効な感染症対策の一つですが、感染のリスクがゼロになるわけではありません。
そのため、ワクチン接種だけではなく、日ごろから手洗いやうがいなどの感染症対策をするようにしましょう。

「インフルエンザ菌による感染症」と「インフルエンザ」の違い

「インフルエンザ菌による感染症」は、細菌の一種であるインフルエンザ**菌**によって引き起こされる病気です。インフルエンザ**ウイルス**によって引き起こされ、毎年冬場に流行することの多い季節性のいわゆる「インフルエンザ」とは別のものです。



血液検査値について

PNHの病状を理解するには、あらわれている症状だけではなく、血液検査値をみることも重要です。

検査値	概要	臨床検査のガイドライン※1による共用基準範囲※2
ヘモグロビン[Hb]	一定の体積の血液中に含まれるヘモグロビン量を調べる検査です。ヘモグロビンは赤血球の中に含まれていて、酸素と結合して酸素を運ぶたんぱく質です。値が低いと貧血が疑われます。	男性 13.7～16.8 g/dL (137～168 g/L) 女性 11.6～14.8 g/dL (116～148 g/L)
網(状)赤血球数	骨髄での赤血球の産生能力をみるための検査です。網(状)赤血球は、骨髄で産生されたばかりの未熟な赤血球で、再生不良性貧血などでは値が低下します。	40,000～80,000/μL※3 (0.04～0.08×10^6/μL)
白血球[WBC]数	一定の体積の血液中に含まれる白血球の数を調べる検査です。白血球は主に感染を防ぐ働きがある血球細胞で、値が低いと感染症にかかりやすくなります。	3.3～8.6×10^3/μL (3.3～8.6×10^9/L) (3,300～8,600/mm^3)
血小板[PLT]数	一定の体積の血液中に含まれる血小板の数を調べる検査です。血小板は止血に関わる血球細胞で、値が低いと出血しやすくなっている可能性があります。PNHの患者さんでは値が低くなることがあります。	158～348×10^3/μL (158～348×10^9/L) (15.8～34.8×10^4/μL) (15.8～34.8×10^4/mm^3)
PNH型赤血球	補体制御たんぱくを調べてPNH型赤血球の割合を確認するための検査です。PNH型赤血球が1%以上で他の条件も満たせばPNHと診断されます。	-
乳酸脱水素酵素[LDH, LD]	溶血の有無をみるための検査です。LDHは、赤血球や体のさまざまな細胞中で糖をエネルギーに変える酵素です。溶血が起きていると、値が高くなります。	124～222 U/L
ハプトグロビン	溶血の有無をみるための検査です。ハプトグロビンはヘモグロビンと結合して複合体を形成します。溶血が起こると、赤血球が壊れて放出されるヘモグロビンと結合するため、ハプトグロビン値が低下します。	19～170 mg/dL※3
Dダイマー	体内で血栓がつくられている可能性の有無をみるための検査です。Dダイマーは、血栓中に含まれるフィブリンという物質が溶け出て生じます。体内で血栓がつくられている場合に値が上昇します。	<1.0 μg/mL※3
総ビリルビン[TB, T-Bil]	溶血の有無をみるための検査です。溶血が起きると、赤血球が壊れて放出されたヘモグロビンが分解されることでビリルビンという黄色い色素になります。ビリルビン値が増加すると黄疸が生じることがあります。	0.4～1.5 mg/dL

※1 日本臨床検査医学会ガイドライン作成委員会 編. 臨床検査のガイドラインJSLM2024, P18, 2025
※2 施設によって異なる基準値が使用される場合があります。
※3 矢冨裕, 山田俊幸 監修. 今日の臨床検査2025-2026. 南江堂, 2025

現在の病状を理解したうえで、ファビハルタ®の治療を始めるにあたり、どのような体調を目指したいか、どのようなことができるようになりたいかなど、治療目標を医師と相談しながら考えてみましょう。

用語解説

★1 造血幹細胞
赤血球や白血球、血小板といった血球をつくる細胞です。

★2 赤血球
体内の組織に酸素を運び、組織から出た二酸化炭素を肺に運ぶ働きをする血球です。

★3 PNH型赤血球
補体の攻撃を防ぐ「補体制御たんぱく」が正常に働いていない赤血球で、補体の攻撃を受けて溶血を起こしやすくなります。造血幹細胞の遺伝子が変化することで生じます。

★4 補体
連動して働くことで、細菌やウイルスなどからの感染を防ぐ一連のたんぱく質のことです。細菌などに穴をあけたり、表面に結合してマクロファージなどに取り込まれやすくしたりする働きがあります。

★5 補体制御たんぱく
赤血球の膜に結合しているたんぱく質の一つで、補体の攻撃から赤血球を守る働きがあります。

★6 血栓症
血管に血のかたまりができて、血管が詰まってしまう病気です。呼吸困難や胸の痛み、息切れ、吐き気、冷や汗などの症状があらわれます。

★7 貧血
赤血球に含まれるヘモグロビンの濃度が低下した状態です。ヘモグロビンは、酸素と結合して全身に運ばれるため、ヘモグロビンが少なくなると、酸素を運ぶ力が低下して、疲労感、頭痛、息切れなどがみられます。

★8 慢性腎臓病
腎臓の障害や腎臓の機能の低下が続く病気で、初期は症状がみられませんが、徐々にむくみや貧血があらわれ、進行すると透析が必要になることもあります。

★9 肺高血圧症
肺動脈の血圧が高くなる病態で、呼吸困難や疲れやすい、胸の痛みなどの症状があらわれます。

★10 マクロファージ
免疫に関わっていて、病原体や異物などを取り込む細胞です。

★11 補体B因子
補体が連動して働く補体経路のうち、増幅ループと呼ばれる部分を駆動させるのに重要な役割を果たすたんぱく質です。

★12 莢膜形成細菌
莢膜と呼ばれる厚い膜に覆われた細菌で、ヒトの免疫機能によって排除されにくく、体内で増殖しやすい特徴があります。代表的なものに髄膜炎菌、肺炎球菌、インフルエンザ菌などがあります。

★13 溶血発作
溶血が起こることによって輸血が必要となったり入院が必要となる状態をいいます。

医療費助成制度について

難病医療費助成制度

PNHは厚生労働省の指定する難病（指定難病）です。中等症以上の患者さんは指定難病の認定基準を満たすため、医療費助成の対象となります。
症状の程度が重症度分類等で一定以上に該当しない患者さんでも、高額な医療を継続することが必要な場合については、医療費助成の対象となる場合があります。
難病の医療費助成を受ける場合には自治体への申請が必要です。自治体ごとに準備する書類が異なりますので、詳しくは住んでいる都道府県等の窓口（最寄りの保健所など）に問い合わせてください。

高額療養費制度※

高額療養費制度では、同一月（1日～月末まで）にかかった医療費の自己負担額が高額になった場合、一定の金額（自己負担限度額）を超えた分が払い戻されます。また、限度額適用認定証やマイナンバーカード保険証の利用により、限度額以上の医療費の一時支払いが不要になります。

※入院時の食費負担や差額ベッド代等は含みません。

参考情報【患者会情報】

PNH倶楽部（https://www.pnhclub.jp/）

PNHと自己免疫性溶血性貧血（AIHA）の患者さん及びその家族を総合的に支援し、患者さんのQOLの向上、社会復帰、闘病に伴う不安を軽減するために互いにサポートし合うことを目的に活動している団体です。
PNHに関する情報も発信しています。

PNHの治療や最新の治療薬など、
PNHに関する情報はこちらから
https://www.pnhclub.jp/患者さまへ/pnhページ/

再生つばさの会（http://www.iplus.jp/~tsubasa/）

PNHなどの血液の病気の患者さんとその家族で構成され、病気の苦しみと不安をなくすために、互いに連絡し合い、励まし助け合い、病気に対する認識の向上と、治療方法の情報交換を行っていくことを目的として活動している団体です。