

ファブリー病経口治療剤「ガラフォルド®カプセル 123mg」 投薬期間制限解除と社名変更のお知らせ

Amicus Therapeutics 株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役：ウィレム・ヴァン・ウェペレン）は、ファブリー病治療剤「ガラフォルド®カプセル 123mg」（一般名：ミガーラスタット塩酸塩、以下「ガラフォルド®」）について、「新医薬品に関わる 14 日を限度とする投薬期間制限」が 6 月 1 日付で解除されることをお知らせします。

「ガラフォルド®」は経口投与による初めてのファブリー病治療剤として2018年5月30日に発売されました。厚生労働省告示第107号（平成18年3月6日付）に基づき、2019年5月末日までは1回14日分を処方限度とする投薬期間の制限が設けられていますが、2019年6月1日より投薬期間の制限が解除されます。

ファブリー病の治療は多くの場合は長期に及ぶため、患者さんの治療と日常生活の両立には、通院頻度の軽減や経口剤など負担がより少ない治療が望まれることがあります。本剤の投薬期間制限の解除によって、対象となる患者さんのQOL（生活の質）の更なる向上に、より一層、貢献できるものと期待しております。

ファブリー病とは

ファブリー病は、国が難病（特定疾患）と指定している「ライソゾーム病」に分類されている疾患の1つで、GLA 遺伝子の変異による α -Gal A の活性低下により GL-3 等の糖脂質が細胞内に蓄積し、腎障害、心筋症、脳血管疾患等の組織障害をもたらす遺伝性希少疾患です。

ファブリー病は希少疾患であり、その発症頻度は、4 万～11.7 万人に 1 人¹⁾²⁾と言われていましたが、新生児を対象としたマススクリーニングの結果、日本では約 7,000 人に 1 人³⁾と実際の患者さんの数は従来よりも多い可能性が示唆されています。 α -Gal A はさまざまな細胞・組織に存在することから、ファブリー病の症状は、四肢疼痛、脳血管症状、心機能障害、腎機能障害など、多岐にわたります⁴⁾。症状が発現する臓器や進行の程度には個人差があることから、症状がありながら診断に至っていない患者さんが存在すると言われております。早期に治療を行うことにより患者さんの症状の改善・安定が見込まれることから、疾患の啓発ならびに早期の診断が重要となります⁵⁾。

ガラフォルド®について

薬理的シャペロンとして作用し、立体構造が不安定な α -Gal A の安定性を増し、標的細胞内の輸送を正常化することにより本来の酵素の働きを活性化するように作用します。本剤は、日本人を含む酵素補充療法実施中のファブリー病患者さんを対象とした第 III 相試験 (AT1001-012 試験)ならびに酵素補充療法未実施のファブリー病患者さんを対象とした第 III 相試験 (AT1001-01 試験)において、有効性及び安全性が示されました。

また、6月1日付で、社名を Amicus Therapeutics 株式会社からアミカス・セラピューティクス株式会社へ変更致します。同日付で事務所を移転し、6月3日より新事務所にて業務を開始致します。

- ◆ 社名変更前 : Amicus Therapeutics 株式会社
- ◆ 社名変更後 : アミカス・セラピューティクス株式会社

新事務所： 〒100-0005 東京都千代田区丸の内1-6-2 新丸の内センタービルディング 19階	旧事務所： 〒100-0004 東京都千代田区大手町1-5-1 大手町ファーストスクエア イーストタワー 4階
---	--

Amicus Therapeutics 社について

患者中心を掲げるバイオテクノロジー企業で、希少疾患の新しい治療薬の開発に取り組んでいる米国ならびに英国を拠点とするグローバル企業です。詳細は、<http://www.amicusrx.com> をご覧ください。

Amicus Therapeutics 株式会社について

Amicus Therapeutics 社の日本法人として2016年11月に設立されました。詳細は、<http://www.amicusrx.jp> をご覧ください。

引用文献：

- 1) Desnick et al. The Metabolic and Molecular Bases of Inherited Disease 8th ed. McGraw-Hill, New-York, 2001, p3733-3774.
- 2) Meikle PJ et al. JAMA. 1999; 281(3): 249-254.
- 3) Inoue T et al. J Hum Genet. 2013; 58(8): 548-552.
- 4) 大橋 十也. 小児保健研究. 2010; 69 (2) : 261-264.
- 5) 澤井 撰. BRAIN and NERVE. 2015; 67 (9) : 1099-1108.