



POMBILITI® for I.V. Infusion 105mg

シパグルコシダーゼ アルファ(遺伝子組換え) 点滴静注用製剤

生物由来製品、劇薬、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

873959



OPFOLDA® Capsules 65mg

ミグルスタット製剤

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

873999

新発売のご案内

医療関係者各位

2025年8月吉日

謹 啓

時下、益々ご清祥のこととお慶び申し上げます。

平素は、格別のご高配を賜り、厚く御礼申し上げます。

さて、この度、遺伝子組換えポンペ病治療薬、「ポムビリティ点滴静注用105mg」とポンペ病治療用酵素安定化剤「オプフォルダカプセル65mg」を新たに発売いたしましたので、謹んでご案内申し上げます。

- ポムビリティは、マンノース-6-リン酸（M6P）を増加させることにより、細胞への酵素の取り込みを促進させることが期待される遺伝子組換えヒト酸性α-グルコシダーゼです。
特に、筋組織において、ポンペ病の主要な貯蔵物質であるグリコーゲンを減少させる作用が期待されます。
- オプフォルダは、経口固形製剤で血中のポムビリティを安定化させ、活性を維持したポムビリティの標的組織への取り込みを増加させることが期待されます。

両剤の併用により、新たな治療選択肢として、ポンペ病患者さんに貢献できるよう願っております。

今後とも、弊社製品をご愛顧賜りますよう、お願い申し上げます。

謹 白



アミカス・セラピューティクス株式会社
代表取締役 ジョン・カーソン

John Carlson

※ポムビリティは、2025年8月に「保険医が投与することができる注射薬の対象薬剤」に追加され、在宅投与も選択いただけます。

【問い合わせ先】

コールセンター

フリーダイヤル：0120-907-477

受付時間：9：00～17：00

（土・日・祝日を除く）

e-mail：info@amicusrx.jp

アミカス・セラピューティクス株式会社

<https://www.amicusrx.jp/>

【ポムビリティ、オプフォルダに関する情報は下記のURLまたは二次元コードをご参照ください】

<https://www.amicusrx.jp/dr/products-pompe.html>



PP-AT-JP-0001-0825