

平成 30 年 5 月 30 日  
アミカス・セラピューティクス株式会社

## 日本初、ファブリー病経口治療剤 「ガラフォルド®カプセル 123mg」新発売

～新たな治療の選択肢～

アミカス・セラピューティクス株式会社（本社：東京都千代田区、取締役社長：クルト・ヘルゲ・リムクス）は、本日、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®」）を発売いたしました。

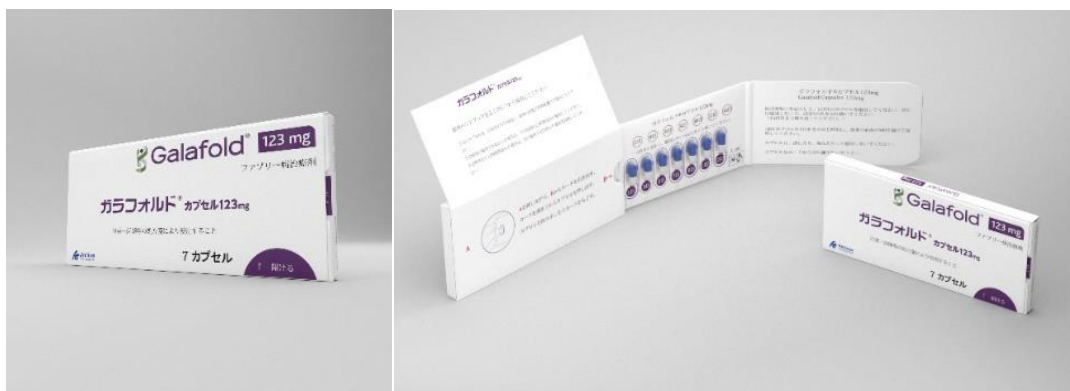
ファブリー病は、先天的な遺伝子の異常により  $\alpha$ -ガラクトシダーゼ（ $\alpha$ -Gal）という酵素の働きが十分でないために、グロボトリアオシルセラミド（GL-3）などの物質が体内に蓄積し、さまざまな症状が起こる疾患です。

日本国内では、これまでファブリー病の治療薬として点滴静注用製剤が発売されていますが、本剤は経口投与による初めてのファブリー病治療剤です。本剤に反応性のある遺伝子変異を伴うファブリー病患者さんが対象となります。反応性の有無は、アミカス社が提供する「[www.galafoldamenabilitytable.com](http://www.galafoldamenabilitytable.com)」などに掲載されています。本剤の対象となる患者さんにとって新しい治療の選択肢となるとともに、その利便性などにより、患者さんのクオリティ・オブ・ライフ（生活の質）の更なる向上が期待できます。

海外では、欧州にて 2016 年 5 月に承認され、その後、オーストラリア、カナダ、イスラエル、韓国、スイスで承認されています。本年 2 月までに 360 人程のファブリー病患者さんが本剤による治療を受けています。

### 「ガラフォルド®」の製品概要

製品名	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 150mg（ミガーラスタットとして 123mg）
効能・効果	ミガーラスタットに反応性のある GLA 遺伝子変異を伴うファブリー病
用法・用量	通常、16 歳以上の患者にはミガーラスタットとして 1 回 123mg を隔日経口投与する。なお、食事の前後 2 時間を避けて投与すること。
包装	7 カプセル 1 シート PTP
承認取得日	平成 30 年 3 月 23 日
薬価	142,662.10 円/カプセル
薬価収載日	平成 30 年 5 月 22 日
発売日	平成 30 年 5 月 30 日



### 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  $\alpha$ -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疾患です。ファブリー病の発症頻度は、4万～11.7万人に1人とも言われています。

### ガラフォルド®について

薬理的シャペロンとして作用し、立体構造が不安定化な  $\alpha$ -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(ATTRACT 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 (FACETS 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。

### Amicus Therapeutics 社について

Amicus Therapeutics 社は、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グローバル企業です。主要製品はファブリー病の治療薬であるガラフォルド®です。また ATB200/AT2221 と称するポンペ病の治療薬の開発も進めています。希少先天代謝異常疾患の分野において最先端の医薬品の開発を推進しています。詳細は、<http://www.amicusrx.com> をご覧ください。

### アマカス・セラピューティクス株式会社について

アマカス・セラピューティクス株式会社は、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。