

ファブリー病経口治療剤「ガラフォルド®カプセル 123mg」 用法・用量一変申請承認取得のお知らせ ～12歳以上が対象に～

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、代表取締役：クラウス・アイラセン）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、「12歳以上16歳未満の患者」に対する用法・用量の追加申請の承認を2022年12月23日付で取得したことをお知らせいたします。

ファブリー病は、グロボトリアオシルセラミド（以下、「GL-3」）等のスフィンゴ糖脂質を分解する α -ガラクトシダーゼ（以下、「 α -Gal A」）をコードする *GLA* 遺伝子の変異により、 α -Gal A 活性の低下を呈する X 染色体潜性遺伝疾患であり、胎児期より GL-3 等の基質がリソソームに蓄積することにより、神経因性疼痛、皮膚症状、眼症状、消化器症状、肺症状、腎障害、心筋症、脳血管疾患等の組織障害をもたらす希少疾患です。日本におけるファブリー病の推定患者数は1658例と報告されています。（Mol Genet Metab 2021;133:277-88）

「ガラフォルド®」は本邦における経口投与による初めてのファブリー病治療剤として、本剤に対して反応性のある *GLA* 遺伝子変異を有する「16歳以上のファブリー病患者」を対象に2018年5月30日に発売されました。海外においては、欧州で2016年5月に「16歳以上の患者」を対象に、米国においては2018年8月に「成人患者」を対象に承認されています。「12歳以上の患者」に対しては、欧州において2021年7月に承認されています。

この度の「12歳以上16歳未満の患者」に対する用法・用量の一部変更承認取得により、本剤の治療対象が「成人及び12歳以上の小児」となりました。新たに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。

用法・用量（下線部分に変更されました）

通常、成人及び12歳以上の小児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。

ファブリー病とは

ファブリー病は、国が難病と指定している「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が、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います。詳しくは、<https://www.fabryfacts.jp/>（医療関係者用）・<https://www.fabryconnect.jp/>（一般の方用）をご覧ください。

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 (AT1001-011 試験) において、有効性及び安全性が示されました。

アミカス・セラピューティクス株式会社について

患者中心の医療を第一に掲げる米国を拠点とするバイオテクノロジー企業で、希少な代謝疾患の患者さんへ新しい高品質の治療薬を届けるため、創薬、開発、そして医薬品の製造販売に取り組んでいるグローバル企業です。何よりも患者さんのために、代謝疾患領域において、新規性と有用性が高い最先端の画期的医薬品のパイプラインを推し進め、拡大していくことに専心しています。日本法人であるアミカス・セラピューティクス株式会社は、2018年5月よりファブリー病の治療薬を国内で製造販売しています。会社に関する詳細は、<http://www.amicusrx.jp> をご覧ください。

以上

【問い合わせ先】

アミカス・セラピューティクス 広報事務局
(株式会社ジャパン・カウンセラーズ内)
TEL : 03-3291-0118 FAX : 03-3291-0223
E-mail: amicus@jc-inc.co.jp