

平成 30 年 3 月 23 日

アミカス・セラピューティクス株式会社

## ファブリー病治療剤「ガラフォルド®カプセル 123mg」の 日本国内における製造販売承認取得について

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、平成 30 年 3 月 23 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®」）の製造販売承認を取得しました。

ガラフォルド®は、ファブリー病に対する初めての経口治療剤です。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。

ガラフォルド®は、 $\alpha$ -Gal の構造の安定性を増し、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する薬理的シャペロンとなります。

日本国内では、これまで本疾患の治療薬として点滴静注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同疾患に対する治療剤です。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、新しい治療の選択肢となります。また、本剤は希少疾病用医薬品の指定を受けております。（指定番号：（24 薬）第 276 号）

ガラフォルド®は、2016 年 5 月に欧州において承認されました。本年 3 月現在、欧州のほか、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。

### 「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
効能・効果	ミガーラスタットに反応性のある <i>GLA</i> 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
再審査期間	10年
規制区分	処方せん医薬品
承認条件	RMP、市販直後調査、全例調査

### 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が、実際の患者数は従来の推測よりも多いのではないかと考えられています。

### 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剤であるガラフォルド<sup>®</sup>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。Amicus Therapeutics 社は、希少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。

### アミカス・セラピューティクス株式会社について

アミカス・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。ガラフォルド<sup>®</sup>の薬価収載の後、速やかに自社による発売を予定しています。詳細は、<http://www.amicusrx.jp>をご覧ください。

お問い合わせ先

アミカス・セラピューティクス株式会社

広報担当 後藤

Tel: 03-5219-1394

Email: [info@amicusrx.jp](mailto:info@amicusrx.jp)