

製造販売承認取得のご案内

発売
準備中

医療関係者各位

日本標準商品分類番号
873959

日本標準商品分類番号
873999

遺伝子組換えポンペ病治療剤
 **ポムビリティ®** 点滴静注用105mg
POMBILITI® for I.V. Infusion 105mg
シバグルコシダーゼ 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

ポンペ病治療用酵素安定化剤
 **オブフォルダ®** カプセル65mg
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

平素より、弊社ならびに弊社製品に格別のご高配を賜り、厚く御礼申し上げます。

この度、弊社アミカス・セラピューティクス株式会社では、シバグルコシダーゼ アルファ（遺伝子組換え）点滴静注用製剤「ポムビリティ® 点滴静注用 105 mg」とミグルスタット製剤「オブフォルダ®カプセル 65mg」の製造販売承認を取得いたしましたので、謹んでご案内申し上げます。

成人遅発型ポンペ病に対し、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向上させた遺伝子組換えヒト酸性α-グルコシダーゼで、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ております。オブ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、活性を維持した多くの酵素を標的組織への輸送を増加させることが期待されます。両剤を併用することが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。

現在、薬価基準収載及び発売に向けた準備を行っており、販売開始時期につきましては担当者より改めてご案内申し上げます。

今後とも、より一層のご指導ご鞭撻を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

【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 コーポレートサイト

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



PP-AT-JP-0001-0625