

ファブリー病治療剤

処方箋医薬品^(注)

ガラフォルド[®] カプセル123mg

GALAFOLD[®] Capsules 123mg

ミガーラストット塩酸塩

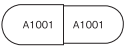
貯 法：室温保存
使用期限：外箱等に表示
^(注) 注意－医師等の処方箋により使用すること

承認番号	23000AMX00463000
※ 薬価収載	2018年5月
※ 販売開始	2018年5月
国際誕生	2016年5月

【禁忌（次の患者には投与しないこと）】

本剤の成分に対し過敏症の既往歴のある患者

【組成・性状】

有効成分 (1カプセル中)	ミガーラストット塩酸塩150mg (ミガーラストットとして123mg)
添加物	内容物：部分アルファー化デンプン、ステアリン酸マグネシウム カプセル：ゼラチン、酸化チタン、青色二号
色・剤形	ボディが白色不透明でキャップが青色不透明の硬カプセル
外形	
大きさ	6.4×18.0mm (2号)
識別コード	A1001

【効能・効果】

ミガーラストットに反応性のあるGLA遺伝子変異を伴うファブリー病

<効能・効果に関連する使用上の注意>

1. 本剤はファブリー病と確定診断された患者に対して使用すること。
2. 本剤の投与開始に先立って、患者のGLA遺伝子変異のミガーラストットに対する反応性を確認すること（【主要文献及び文献請求先】の項 お問い合わせ先参照）。

【用法・用量】

通常、16歳以上の患者にはミガーラストットとして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。

<用法・用量に関連する使用上の注意>

1. 本剤の曝露量は食事の影響を受けるため、食事の前後2時間を避けて投与すること（【薬物動態】の項参照）。
2. 投与時刻は原則毎回一定とする。服用予定時刻に服用できなかった場合は、服用予定時刻から12時間以内に服用すること。服用予定時刻から12時間を越えた場合は、次の服用予定日時から服用を再開すること。

【使用上の注意】

1. 重要な基本的注意

- (1) 本剤投与中は、定期的に腎機能、心機能、臨床検査値等を確認する等経過を十分に観察し、本剤投与で効果が認められない場合には治療法の変更を考慮すること。

- (2) 重度の腎機能障害のある患者では、本剤の血中濃度が上昇するおそれがあり、有効性及び安全性は検討されていないことから、重度の腎機能障害のある患者への投与は推奨されない（【薬物動態】【臨床成績】【薬効薬理】の項参照）。
- (3) 酵素補充療法との併用に関する有効性及び安全性は確立されていない。

2. 副作用

承認時までに実施された国際共同第Ⅲ相試験及び海外第Ⅲ相試験における成績では、本剤を投与されたファブリー病患者115例（日本人6例を含む）中47例（40.9%）に臨床検査値異常を含む副作用が認められた。主な副作用は、頭痛12例（10.4%）、下痢9例（7.8%）、及び浮動性めまい、悪心、及び錯感覚各6例（5.2%）であった。

その他の副作用^(注)

以下の副作用が認められた場合には、症状に応じて適切な処置を行うこと。

	10%以上	5%以上 10%未満	1%以上5%未満
心臓			動悸
耳および迷路			回転性めまい
胃腸		下痢、悪心	腹痛、便秘、口内乾燥、便秘切迫、消化不良
一般・全身			疲労、疼痛
臨床検査			血中クレアチンホスホキナーゼ増加、体重増加
筋骨格系および結合組織			筋痙攣、筋肉痛、斜頸、四肢痛
神経系	頭痛	浮動性めまい、錯感覚	感覚鈍麻
精神			うつ病
腎および尿路			蛋白尿
呼吸器、胸郭および縦隔			呼吸困難、鼻出血
皮膚および皮下組織			発疹、そう痒症

注) 国際共同第Ⅲ相試験及び海外第Ⅲ相試験の結果から集計した。

3. 高齢者への投与

一般に高齢者では生理機能が低下しており、合併症や併用薬の使用が多くみられることから、患者の状態を観察しながら慎重に投与すること。

4. 妊婦、産婦、授乳婦等への投与

- (1) 妊婦又は妊娠している可能性のある女性には、治療上の有益性が危険性を上回ると判断される場合にのみ使用すること。
[ウサギ胎児発生に関する試験において、臨床推奨用量投与時の曝露量の244倍以上に相当するミガーラストットの投与により、母動物毒性が発現し、着床後胚死亡率の増加、体重減少、流産、骨化遅延、軽微な骨異常の増加等が認められた。]
- (2) 授乳中の女性には投与しないこと。投与する場合には授乳を中止すること。[動物試験（ラット）で乳汁中への移行が認められた。]

5. 小児等への投与

低出生体重児、新生児、乳児、幼児又は小児に対する安全性は確立していない。[使用経験がない。]

6. 過量投与

海外の臨床試験において、健康成人に1250mg又は2000mgを単回投与したところ、最も頻繁に報告された副作用は、頭痛及び浮動性めまいであった。

7. その他の注意

雄ラットの受胎能及び初期胚発生に関する試験において、臨床推奨用量投与時の曝露量の0.163倍、1.5倍に相当するミガーラスタットの投与により、受胎率の低下（それぞれ75%、55%）が認められた。受胎率の低下は投与中止4週間後に回復した。

【薬物動態】

1. 血中濃度

(1) 単回投与¹

日本人健康成人男性（13例）にミガーラスタットとして123mgを絶食下に単回経口投与したときの血漿中濃度推移及び薬物動態パラメータは以下のとおりであった。

表1 ミガーラスタット123mgを単回経口投与したときの薬物動態パラメータ

投与量 (mg)	C _{max} ^a (ng/mL)	t _{max} ^b (h)	AUC _{0-t} ^a (ng・h/mL)	t _{1/2} ^c (h)
123 (13例)	2124 (36.3)	3.50 (2.0-5.0)	11519 (27.4)	3.82 (0.25)

a: 幾何平均値 (変動係数%), b: 中央値 (範囲), c: 平均値 (標準偏差)

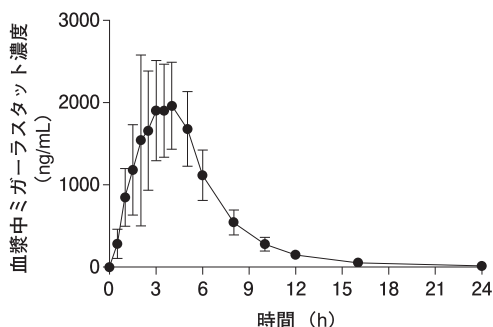


図1 ミガーラスタット123mgを単回経口投与したときの血漿中濃度推移 (平均値±標準偏差)

(2) 反復投与 (外国人データ)²

外国人女性ファブリー病患者（4例）にミガーラスタットとして123mgを12週間隔日経口投与したときの薬物動態パラメータは以下のとおりであり、反復投与によって曝露量が増加する傾向は認められなかった。

表2 ミガーラスタットとして123mgを12週間隔日経口投与したときの薬物動態パラメータ

投与量 (mg)	測定時期 (day)	C _{max} ^a (ng/mL)	t _{max} ^b (h)	AUC _{0-t} ^a (ng・h/mL)
123 (4例)	1	1691 (22.0)	3.50 (1.00-4.00)	8942 (32.2)
	14	2029 (40.0)	2.96 (2.00-4.00)	10638 (35.6)
	84	1524 (23.3)	3.50 (2.00-4.00)	8582 (29.7)

a: 幾何平均値 (変動係数%), b: 中央値 (範囲)

2. 吸収

(1) 食事の影響 (外国人データ)³

外国人健康成人（19例）にミガーラスタットとして123mgを絶食下、ブドウ糖飲料と同時、高脂肪食摂取の1時間前、軽食摂取の1時間前又は軽食摂取の1時間後に単回経口投与したときの薬物動態パラメータは以下のとおりであった。

表3 投与タイミング別における薬物動態パラメータ

本剤の投与タイミング	C _{max} (ng/mL)	AUC _{0-inf} (ng・h/mL)	絶食下投与に対する最小二乗幾何平均値の比 [90%信頼区間]	
			C _{max}	AUC _{0-inf}
絶食下投与 (19例)	1561 (33.8)	9805 (26.8)	-	-
ブドウ糖飲料との同時投与 (19例)	1408 (29.6)	8451 (28.8)	0.90 [0.80, 1.02]	0.86 [0.77, 0.97]
高脂肪食摂取の1時間前投与 (19例)	1323 (28.3)	6132 (26.8)	0.85 [0.75, 0.96]	0.63 [0.56, 0.70]
軽食摂取の1時間前投与 (19例)	1278 (39.6)	5668 (31.4)	0.82 [0.73, 0.93]	0.58 [0.52, 0.65]
軽食摂取の1時間後投与 (19例)	945 (28.3)	5890 (26.5)	0.61 [0.54, 0.68]	0.60 [0.54, 0.68]

幾何平均値 (変動係数%)

(2) 生物学的利用率 (外国人データ)⁴

外国人健康成人（10例）にミガーラスタットとして123mgを単回経口投与したときの絶対的バイオアベイラビリティは約75%であった。

3. 分布

日本人健康成人男性（13例）にミガーラスタットとして123mgを絶食下に単回経口投与したときのみかけの分布容積 (V/F) は71.7Lであった¹。

(*In vitro*データ) ミガーラスタットの¹⁴C標識体 (1~100 μmol/L) のヒト血漿タンパク非結合率は98.1~111%であった⁵。

4. 代謝

(外国人データ) 外国人健康成人男性（6例）にミガーラスタットの¹⁴C標識体123mgを単回経口投与したとき、投与24時間後までにプールした血漿中データから算出した血漿中総放射能に対する未変化体の割合は約77%であり、O-グルクロン酸抱合体 (M1、M2及びM3) の割合は13% (5、2及び6%) であった⁶。

(*In vitro*データ) ミガーラスタットはCYP1A2、CYP2A6、CYP2B6、CYP2C8、CYP2C9、CYP2C19、CYP2D6、CYP2E1、CYP3A4/5に対する阻害作用、CYP1A2、CYP2B6、CYP3A4に対する誘導作用は示さなかった⁷⁻⁹。

5. 排泄

(外国人データ) 外国人健康成人男性（6例）にミガーラスタットの¹⁴C標識体123mgを単回経口投与したとき、投与240時間後までに投与放射能の77.2%が尿中に、20.4%が糞中に排泄された。また、投与12時間後までの投与放射能に対する未変化体及びO-グルクロン酸抱合体 (M1、M2及びM3の合計) の尿中排泄率は55%及び5%であった⁶。

(*In vitro*データ) ミガーラスタットはBCRP、P-gp、MATE1、MATE2-K、OAT1、OAT3及びOCT2の基質ではなく、BCRP、BSEP、P-gp、MATE1、MATE2-K、OATP1B1、OATP1B3、OAT1、OAT3、OCT1、OCT2に対する阻害作用は示さなかった。また、SGLT1の基質であり、阻害作用 (IC₅₀値: 64.7mmol/L) を有することが示唆されたが、SGLT2の基質ではなく、阻害作用は示さなかった¹⁰⁻¹⁶。

6. 腎機能障害者 (外国人データ)¹⁷

外国人腎機能正常者 (CL_{Cr}≥90mL/min、8例)、軽度腎機能障害者 (60≤CL_{Cr}<90mL/min、8例)、中等度腎機能障害者 (30≤CL_{Cr}<60mL/min、8例) 及び重度腎機能障害者 (15≤CL_{Cr}<30mL/min、8例) にミガーラスタットとして123mgを単回経口投与したときの薬物動態パラメータは以下のとおりであった。また、腎機能正常者、軽度、中等度及び重度腎機能障害者の半減期 (幾何平均値) は6.4、7.7、22.2及び32.3時間であり、腎機能の低下に伴い延長した。

表4 腎機能正常者及び腎機能障害者における薬物動態パラメータ

	C _{max} (ng/mL)	AUC _{0-inf} (ng・h/mL)	腎機能正常者に対する 最小二乗幾何平均値の 比 [90%信頼区間]	
			C _{max}	AUC _{0-inf}
腎機能正常者 (8例)	2100 (26.0)	12397 (27.7)	-	-
軽度腎機能障害者 (8例)	2191 (28.8)	14536 (30.7)	1.04 [0.79, 1.38]	1.17 [0.90, 1.53]
中等度腎機能障害者 (8例)	1868 (32.1)	22460 (42.2)	0.89 [0.67, 1.18]	1.81 [1.39, 2.36]
重度腎機能障害者 (8例)	2078 (45.5)	56154 (24.9)	0.99 [0.75, 1.31]	4.53 [3.48, 5.90]

幾何平均値 (変動係数%)

7. 薬物相互作用 (外国人データ)¹⁸

外国人男性ファブリー病患者 (12例) にアガルシダーゼ アルファ0.2mg/kg又はアガルシダーゼ ベータ0.5mg/kg若しくは1.0mg/kgを静脈内投与下でミガーラスタットとして123mgを単回経口投与したときの薬物動態パラメータは以下のとおりであった。

表5 血漿中ミガーラスタット濃度又は血漿中α-Gal A 活性に及ぼす影響

アガルシダーゼ の投与量	血漿中ミガーラスタット 濃度の最小二乗幾何平均 値の比 ^a [90%信頼区間]		血漿中α-Gal A 活性の 最小二乗幾何平均値 の比 ^b [90%信頼区間]	
	C _{max}	AUC _{0-inf}	C _{max}	AUC _{0-inf}
アガルシダーゼ アル ファ0.2mg/kg (4例)	1.03 [0.80, 1.31]	1.03 [0.67, 1.56]	1.71 [1.44, 2.02]	4.15 [3.28, 5.25]
アガルシダーゼ ベー タ0.5mg/kg (5例)	1.01 [0.70, 1.45]	1.10 [0.68, 1.78]	1.73 [1.35, 2.21]	2.83 [2.12, 3.77]
アガルシダーゼ ベー タ1.0mg/kg (3例)	0.95 [0.46, 1.95]	1.01 [0.65, 1.55]	1.39 [0.97, 2.01]	1.99 [1.50, 2.63]
全体 (12例)	1.00 [0.79, 1.26]	1.05 [0.81, 1.37]	1.63 [1.44, 1.84]	2.94 [2.43, 3.56]

a: アガルシダーゼ併用投与/本剤単独投与、b: 本剤併用投与/アガルシダーゼ単独投与

【臨床成績】¹⁹⁻²¹

1. 酵素補充療法からの切替えにおけるファブリー病患者に対する国際共同第Ⅲ相試験

本試験は本剤と酵素補充療法 (アガルシダーゼ アルファ又はベータ) の有効性及び安全性を評価するランダム化非盲検実薬対照試験である。酵素補充療法を実施中の日本人を含む18~72歳の男女ファブリー病患者57例 (男性25例、女性32例、eGFR \geq 30mL/min/1.73m²) を対象に、ミガーラスタット123mgが18ヵ月間隔日経口投与又は酵素補充療法が2週間に1回18ヵ月間点滴静脈内投与された。その後、12ヵ月間の非盲検継続投与期では全例にミガーラスタット123mgが隔日経口投与された。本剤に反応性のあるGLA遺伝子変異を有する52例 (本剤群34例 (日本人5例)、酵素補充療法群18例 (日本人1例)) が解析対象とされた。主要評価項目である投与18ヵ月時までの糸球体ろ過量の年間変化量の結果は、下表のとおりであり、本剤群で酵素補充療法群と同等であった。

表6 糸球体ろ過量の年間変化量の結果

		本剤群	酵素補充療法群
		eGFR _{CKD-EPI} [*]	ベースライン 投与18ヵ月時 年間変化量
mGFR _{iohexol} [*]	ベースライン 投与18ヵ月時 年間変化量	82.3 \pm 16.9 (34例) 75.6 \pm 19.9 (34例) -4.35 [-7.65, -1.06] (34例)	81.4 \pm 23.9 (18例) 82.9 \pm 23.4 (16例) -3.24 [-7.81, 1.33] (18例)

平均値 \pm 標準偏差、最小二乗平均 [95%信頼区間]

^{*}単位 mL/min/1.73m²

また、左室重量係数及び血漿中lyso-Gb₃濃度の結果は下表のとおりであった。

表7 左室重量係数及び血漿中lyso-Gb₃濃度の結果

左室重量係数 (g/m ²)	ベースライン	本剤群	酵素補充療法群
	投与18ヵ月時	89.4 \pm 22.8 (32例)	95.3 \pm 22.8 (33例)
変化量	-6.6 [-11.0, -2.1] (31例)	-6.6 [-11.0, -2.1] (31例)	-2.0 [-11.0, 7.0] (13例)
血漿中 lyso-Gb ₃ 濃度 (nmol/L)	ベースライン	6.35 (0.80, 59.07) (32例)	9.65 (0.85, 73.40) (17例)
	投与18ヵ月時	7.40 (1.01, 87.37) (31例)	6.41 (0.84, 62.50) (15例)
変化量	0.55 (-2.27, 28.30) (31例)	0.55 (-2.27, 28.30) (31例)	-0.04 (-11.90, 2.57) (15例)

平均値 \pm 標準偏差、左室重量係数: 平均値 [95%信頼区間]、血漿中lyso-Gb₃濃度: 中央値 (範囲)

投与18ヵ月時までに複合臨床的アウトカム* (腎イベント、心イベント、脳血管イベント又は死亡) を発現した被験者割合は、本剤群で29% (10/34例)、酵素補充療法群で44% (8/18例) であった。

なお、本剤を30ヵ月間投与した被験者におけるeGFR_{CKD-EPI}及びmGFR_{iohexol}年間変化量は-1.72 [-2.65, -0.78] mL/min/1.73m² (31例) 及び-2.75 [-4.81, -0.68] mL/min/1.73m² (30例)、左室重量係数の変化量は-3.8 [-8.9, 1.3] g/m² (28例)、複合臨床的アウトカムを発現した被験者割合は32% (10/31例) であった。

*複合臨床的アウトカムは腎イベント、心イベント、脳血管イベント及び死亡からなり、各イベントの定義は以下のとおり。

腎イベント: ①ベースラインと比較してeGFR_{CKD-EPI}が15mL/min/1.73m²以上低下かつeGFR_{CKD-EPI}が90mL/min/1.73m²未満、又は②24時間尿タンパクがベースラインと比較して33%以上増加かつ24時間尿タンパクが300mg以上と定義された。

心イベント: 心筋梗塞、不安定狭心症、新規の症候性不整脈 (抗不整脈薬の投与、直流除細動、ペースメーカー又は植込み型除細動器を要する)、又はニューヨーク心臓協会分類Ⅲ度又はⅣ度のうっ血性心不全と定義された。

脳血管イベント: 脳卒中、又は一過性脳虚血発作と定義された。

2. 未治療のファブリー病患者に対する海外第Ⅲ相試験

本試験は本剤の有効性及び安全性を評価するランダム化二重盲検プラセボ対照試験である。酵素補充療法を未実施又は6ヵ月以上実施していない16~74歳の外国人男女ファブリー病患者67例 (男性24例、女性43例、eGFR \geq 30mL/min/1.73m²) を対象に、ミガーラスタット123mg又はプラセボが6ヵ月間隔日経口投与された。その後、18ヵ月間の非盲検継続投与期では全例にミガーラスタット123mgが隔日経口投与された。本剤に反応性のあるGLA遺伝子変異を有する50例 (プラセボ群22例、本剤群28例) における腎間質毛細血管あたりのGL-3封入体数の変化量は下表のとおりであった。

表8 腎間質毛細血管あたりのGL-3封入体数の変化量の結果

	ベースライン	投与6ヵ月時	投与6ヵ月時までの 変化量	投与12ヵ月時	投与0/6~12ヵ月* 時までの 変化量
プラセボ- 本剤群	0.493 \pm 0.594 (20例)	0.565 \pm 0.975 (20例)	0.071 \pm 0.563 (20例)	0.312 \pm 0.628 (17例)	-0.330 \pm 0.626 (17例)
本剤- 本剤群	0.649 \pm 1.229 (25例)	0.389 \pm 0.792 (26例)	-0.250 \pm 0.513 (25例)	0.429 \pm 0.861 (22例)	-0.239 \pm 0.500 (22例)

平均値 \pm 標準偏差

*投与0/6~12ヵ月: プラセボ-本剤群については投与6ヵ月時、本剤-本剤群についてはベースライン時からの変化量

本剤を18～24ヵ月間投与した被験者におけるeGFR_{CKD-EPI}年間変化量は-0.30 [-1.65, 1.04] mL/min/1.73m² (41例)、左室重量係数の変化量は-7.7 [-15.4, -0.0] g/m² (27例)であった。

【薬効薬理】

1. 作用機序²²

ファブリー病はGLA遺伝子の変異による α -Gal Aの活性低下により、GL-3等の基質が蓄積し、腎障害、心筋症、脳血管疾患等の組織障害をもたらす。特定のGLA遺伝子変異により、異常な高次構造をとる不安定な α -Gal Aが生成することがあるが²³、ミガーラスタットは α -Gal Aに対する薬理的シャペロンとして作用し、小胞体上で特定の変異型 α -Gal Aに選択的かつ可逆的に結合してリソソームへの適切な輸送を促進する。リソソーム内では、ミガーラスタットが解離し、遊離した α -Gal Aにより蓄積したGL-3の分解作用を呈する。

2. 薬理作用²⁴

マウス α -Gal A遺伝子を欠損し、ヒト変異型 α -Gal A導入遺伝子を発現させたファブリー病マウスモデルにミガーラスタットを経口投与した時、皮膚、心臓、腎臓、脳及び血漿中の α -Gal A活性は有意かつ用量依存的に増加し、GL-3濃度は低下した。また連日投与レジメンと比較して、間欠投与レジメン（隔日投与など）ではより高い組織中GL-3濃度低下作用が認められた。

【有効成分に関する理化学的知見】

一般名：ミガーラスタット塩酸塩

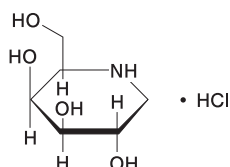
Migalastat Hydrochloride (JAN)

化学名：(2*R*,3*S*,4*R*,5*S*)-2-(Hydroxymethyl)piperidine-3,4,5-triol monohydrochloride

分子式：C₆H₁₃NO₄・HCl

分子量：199.63

構造式：



性状：白色～微褐色の結晶

溶解性：pH1.2～7.5の範囲の水溶液に溶けやすい。また、塩酸又は水に溶けやすく、ジメチルスルホキシドにやや溶けにくく、メタノールに溶けにくく、エタノール又はアセトニトリルにほとんど溶けない。

融点：約244℃

【承認条件】

- ・医薬品リスク管理計画を策定の上、適切に実施すること。
- ・国内での治験症例が極めて限られていることから、製造販売後、再審査期間中の全投与症例を対象に使用成績調査を実施することにより、本剤の使用患者の背景情報を把握するとともに、本剤の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じること。

【包装】

7カプセル 1シート PTP

※※【主要文献及び文献請求先】

主要文献：

- 1) 社内資料：日本人健康成人での薬物動態試験 (MGM115806)
- 2) 社内資料：ファブリー病患者での薬物動態試験 (FAB-CL-204)
- 3) 社内資料：食事の影響に関する試験 (AT1001-016)
- 4) 社内資料：生物学的利用率に関する試験 (AT1001-018)
- 5) 社内資料：タンパク結合率の検討 (0332-145-02)
- 6) 社内資料：マスバランス試験 (AT1001-014)
- 7) 社内資料：CYP阻害に関する検討 (XT115084)
- 8) 社内資料：CYP誘導に関する検討 (XBL07624)
- 9) 社内資料：CYP誘導に関する検討 (XBL15798)
- 10) 社内資料：トランスポーターに関する検討 (Amicus-01-02 Dec2014)
- 11) 社内資料：トランスポーターに関する検討 (Amicus-02-28 Apr2015)
- 12) 社内資料：トランスポーターに関する検討 (Amicus-04-03 Nov2015)
- 13) 社内資料：トランスポーターに関する検討 (2011N125700_00)
- 14) 社内資料：トランスポーターに関する検討 (2011N125739_00)
- 15) 社内資料：トランスポーターに関する検討 (OPT-2015-091)
- 16) 社内資料：トランスポーターに関する検討 (OPT-2015-090)
- 17) 社内資料：腎機能障害被験者での薬物動態試験 (AT1001-015)
- 18) 社内資料：アガルシダーゼとの併用試験 (AT1001-013)
- 19) 社内資料：国際共同臨床試験 (AT1001-012)
- 20) 社内資料：海外臨床試験 (AT1001-011)
- 21) 社内資料：海外臨床試験 (AT1001-041)
- 22) Benjamin ER et al. Mol Ther. 2012; 20(4) : 717-26.
- 23) Fan JQ et al. Nat Med. 1999; 5(1) : 112-5.
- 24) Khanna R, et al. Mol Ther. 2010; 18(1) : 23-33.
- 25) ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧表

文献請求先：

主要文献に記載の社内資料につきましても下記にご請求下さい。

アミカス・セラピューティクス株式会社

コールセンター

〒100-0005 東京都千代田区丸の内一丁目6番2号

新丸の内センタービルディング19階

フリーダイヤル 0120-907-477

受付時間：9：00～17：00（土・日・祝日及び会社休日を除く）

お問い合わせ先（GLA遺伝子変異のミガーラスタットに対する反応性に関するお問い合わせ）：

患者のGLA遺伝子変異のミガーラスタットに対する反応性は、アミカス・セラピューティクス株式会社が提供する「ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧表²⁵」又は専用のウェブサイト(www.galafoldamenabilitytable.com)を確認してください。「ガラフォルドに反応性のあるGLA変異一覧表²⁵」又は専用のウェブサイトには患者のGLA遺伝子変異が未掲載であった場合等には、下記にお問い合わせください。

コールセンター

フリーダイヤル 0120-907-477 e-mail info@amicusrx.jp

※※【製造販売】

アミカス・セラピューティクス株式会社

〒100-0005 東京都千代田区丸の内一丁目6番2号

新丸の内センタービルディング19階



®：登録商標

A-03