

## ポンペ病を対象とする拡大治験を開始 CIPAGLUCOSIDASE ALFA 及びミグルスタット併用投与

アマカス・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：サイモン・コリンズ）は、日本国内の成人遅発型ポンペ病の患者さんを対象に、開発中の新規併用療法である cipaglucosidase alfa/ミグルスタットによる拡大治験を開始したことをお知らせ致します。

現在、日本では酵素補充療法の2製剤がすでに承認されていますが、患者さん及び介護者は、新たな治療選択肢が利用可能になることを切望しています。また、海外において、Amicus Therapeutics Inc. では、ポンペ病患者さんの要望に応えるため、これまでに複数の拡大アクセスプログラム(Expanded Access Program)を企業主導による臨床試験と並行して実施しています。日本においても同様に、患者さんの要望に応えるため、拡大治験を開始することと致しました。

本試験は安全性の確認に主眼を置いた拡大治験であり、対照群の設定はなく、すべての被験者は隔週で cipaglucosidase alfa/ミグルスタットの併用投与を受けます。

この臨床試験の詳細は、以下の外部サイト：jRCT（臨床研究実施計画・研究概要公開システム）からご覧いただけます。

<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2061210056>

### 治験薬 cipaglucosidase alfa/ミグルスタット

ポンペ病治療のための新規併用療法です。

Cipaglucosidase alfa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 $\alpha$ -グルコシダーゼです。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います。Cipaglucosidase alfaは点滴静注により隔週投与されます。

ミグルスタットは、（N-ブチルーデオキシノジリマイシン）は経口固形製剤であり、血中の cipaglucosidase alfa 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ています。cipaglucosidase alfaの点滴静注開始の1時間前に投与されます。

### 本製剤の開発状況

本邦においては、ポンペ病成人患者さんを対象とした主たる治験としてATB200-03試験が、またその長期継続投与試験（ATB200-07試験）が実施されています。

また、2020年12月には、厚生労働省（MHLW）より希少疾病用医薬品に指定されています。

海外では、2019年2月に米食品医薬品局(FDA)よりブレイクスルーセラピー（画期的治療薬）に指定され、すでに承認申請が行われています。また、欧州医薬品庁(EMA)にも承認申請が行われています。英国の医薬品・医療製品規制庁(MHRA)より、2020年1月に、有望な革新的医薬品（Promising Innovative Medicine: PIM）に指定されています。

### ポンペ病（糖原病 II 型）について

ライソゾーム内でのグリコーゲン分解に関与する酵素である酸性 $\alpha$ -グルコシダーゼ（GAA）をエンコードする遺伝子の突然変異によって引き起こされる稀な常染色体潜性遺伝（劣性遺伝）性疾患です。本酵素の機能障害により、ライソゾーム内にグリコーゲンが蓄積し、細胞機能の障害が進行し、筋力、運動及び肺機能が進行性に低下します。世界でのポンペ病の患者数は5千人から1万人と推定されています。

症状については、ポンペ病についてわかりやすく記載している資料：[ポンペ病のお子さんに関わる方へ「ポンペ ノート」をご覧ください。](https://amicusrx.jp/ge/pompe.html) <https://amicusrx.jp/ge/pompe.html>

### Amicus Therapeutics Inc.

患者中心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。詳しい情報は、以下のサイト等をご覧ください。

<http://www.amicusrx.com>

### アミカス・セラピューティクス株式会社

Amicus Therapeutics Inc. の日本法人です。ポンペ病と同じライソゾーム病の一種であるファブリー病において自社による臨床開発、製造販売承認取得の実績を有しており、2018年5月よりファブリー病の経口治療剤「ガラフォルド®カプセル 123mg」を製造販売しております。引き続き医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の解消に取り組み、医療に貢献して参ります。

<http://www.amicusrx.jp>

以上

#### **【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

Tel: 03-4563-4785(直) Fax: 03-4563-4751

E-mail: [patientadvocacyintl@amicusrx.com](mailto:patientadvocacyintl@amicusrx.com)