

2022年7月14日

報道関係各位

Ultragenyx Japan 株式会社  
アミカス・セラピューティクス株式会社

## ムコ多糖症 VII 型治療薬「メプセヴィ点滴静注液 10mg」 製造販売承認 承継のお知らせ

Ultragenyx Japan 株式会社（本社：東京都江東区、代表取締役：桐谷 忠、以下、UGX-Japan）と、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、以下、ATKK）は、2022年7月8日付で日本におけるムコ多糖症VII型治療薬「メプセヴィ点滴静注液 10mg」（一般名：ベストロニダーゼアルファ（遺伝子組換え）、以下、本剤）の製造販売承認を ATKK から UGX-Japan へ承継したことをお知らせします。

### ■承継の経緯

本剤は、米国 Ultragenyx Pharmaceuticals Inc. (NASDAQ:RARE、以下、UGX) が開発したムコ多糖症VII型の治療薬で、2019年に UGX と米国 Amicus Therapeutics, Inc. (NASDAQ:FOLD、以下、Amicus) が、日本における本剤の開発に関するライセンス契約を締結し、2022年1月20日付で ATKK が本剤の製造販売承認を取得しています。

今般、UGX の日本法人が設立されたことから、Amicus と UGX は、本剤の開発元であり、海外での製造販売を既に行っている UGX の日本法人である UGX-Japan に、本剤の製造販売承認を承継することが、日本の患者さんに対する最善の医療提供になると判断し、この度の承継に至りました。

### ■日本における開発経緯

本剤は、日本先天代謝異常学会とムコ多糖症患者家族の会より厚生労働省に開発の要望書が提出され、2018年7月4日に開催された第35回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議での結果を受けて厚生労働省が開発企業の募集を行い、ATKK より厚生労働省に開発の意思を申し出たことから、開発が進められました。

### ■発売予定

UGX-Japan より、2022年第三四半期に新規発売の予定です。本剤は2022年5月25日付で薬価が収載されており、日本初のムコ多糖症VII型治療薬となります。

製品ならびに発売に関する問い合わせ先：

Ultragenyx Japan 株式会社 おくすり相談窓口  
TEL : 0120-635-111、Email : [info@ultragenyx.com](mailto:info@ultragenyx.com)

### ■ムコ多糖症VII型（スライ病）とは

ムコ多糖症VII型（スライ病）は、希少なライソゾーム病の一種です。細胞のライソゾーム内に存在するβ-グルクロニダーゼ酵素活性が先天的に欠損するため、グリコサミノグリカン

(glycosaminoglycan、GAGs)であるデルマタン硫酸、コンドロイチン硫酸、ヘパラン硫酸のムコ多糖の分解が阻害され、体内細胞組織に蓄積する進行性全身性の遺伝性疾患です。そのため多系統の組織や臓器に障害が生じます。特徴的な顔貌、肺疾患、心機能障害、肝脾腫(肝臓や脾臓の腫大)、関節拘縮、低身長、精神運動発達遅滞、多彩な骨形成異常などの症状が認められます。患者数は、先進国で200名\*1程と推測されています。

\*1Ultragenyx 社による推定

#### ■ベストロニダーゼ アルファ (遺伝子組換え) について

本剤は、遺伝子組み換えのヒト  $\beta$ -グルクロニダーゼ(ATC code: A16AB18)の酵素製剤であり、有効成分はベストロニダーゼ アルファ (遺伝子組換え) です。点滴静脈注射にて投与することにより全身に過剰に蓄積されたムコ多糖の分解が促進されます。

---

#### Ultragenyx Pharmaceuticals Inc.について

米国カリフォルニア州を拠点とするバイオ医薬品企業です。重篤で極めて希少な遺伝性疾患の治療薬の開発に注力し、治療法の無い疾患やアンメットメディカルニーズの高い疾患を対象として研究開発と治療薬の販売を行っています。詳しい情報は、同社のウェブサイトをご覧ください。 <https://www.ultragenyx.com/>

#### Ultragenyx Japan 株式会社について

Ultragenyx Pharmaceuticals Inc. の日本法人として 2021 年 9 月に設立されました。メプセヴィ点滴静注液 10 mgの承継により、日本初となるムコ多糖症VII型治療薬の新規発売を行う予定です。

#### Amicus Therapeutics Inc.について

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>, [Twitter](#), [LinkedIn](#).

#### アミカス・セラピューティクス株式会社について

Amicus Therapeutics Inc.の日本法人です。ムコ多糖症VII型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」を製造販売しています。 <http://www.amicusrx.jp>

#### 本件に関する報道関係者からの問合せ先

【Ultragenyx Japan 株式会社】 広報事務局  
TEL: 03-5530-9310, Email: [info@ultragenyx.com](mailto:info@ultragenyx.com)

【アミカス・セラピューティクス株式会社】 患者支援・広報

Tel: 03-4563-4785