

2025 年 6 月 24 日

アミカス・セラピューティクス株式会社

遅発型ポンペ病を対象とする新規併用療法
「ボムビリティ®点滴静注用 105mg」ならびに「オブフォルダ®カプセル 65mg」
製造販売承認取得のお知らせ

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:ジョン・カールソン）は、成人遅発型ポンペ病を対象とする新規併用療法であるボムビリティ®点滴静注用 105mg（一般名：シパグルコシダーゼ アルファ（遺伝子組換え）、以下「ボムビリティ」）ならびにオブフォルダ®カプセル 65mg（一般名：ミグルスタット、以下「オブフォルダ」）の製造販売承認を 2025 年 6 月 24 日付で取得したことをお知らせします。

アミカス社最高経営責任者兼社長であるブラッドリー・キャンベルは以下のように述べています。
「ボムビリティならびにオブフォルダの承認取得は、新しい治療法を必要としている日本のポンペ病患者さんにとって大きな進展です。この薬の開発に協力くださったすべての方々、特に臨床試験に関与いただいた患者さんとそのご家族ならびに医療従事者の方々に心からお礼を申し上げます。」

ボムビリティとオブフォルダの併用療法

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 2 製剤発売されていますが、今回承認を取得した 2 製剤は成人の遅発型ポンペ病に対して新たな治療選択肢となる経口剤と点滴静注剤による新規併用療法です。

- ◆ ボムビリティは、マンノース-6-リン酸を多く含むことにより、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-グルコシダーゼ製剤です。ポンペ病の筋組織において蓄積するグリコーゲンを減少させる作用が期待されています。
- ◆ オブフォルダは経口剤であり、血中のボムビリティを安定化、活性を維持させた状態で標的組織への取込みを増加させることが期待されています。

本併用療法の開発経緯

本邦においては、遅発型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）が実施されました。

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

海外における承認状況

海外では、ボムビリティが 2023 年 3 月、オブフォルダが 2023 年 6 月に欧州連合で承認されました。本年 6 月現在、欧州連合の他、英国、米国、スイス、オーストラリア、カナダで承認されています。

製造販売について

薬価基準収載の後、自社による製造販売を行う予定です。

製品概要

製品名	ボムビリティ®点滴静注用 105mg	オブフォルダカプセル®65mg
一般名	シパグルコシダーゼ アルファ（遺伝子組換え）	ミグルスタット
効能・効果	遅発型ポンペ病に対するミグルスタットとの併用療法	遅発型ポンペ病に対するシパグルコシダーゼ アルファ（遺伝子組換え）との併用療法
用法・用量	ミグルスタットとの併用において、通常、体重 40kg 以上の成人には、シパグルコシダーゼ アルファ（遺伝子組換え）として、1 回体重 1kg あたり 20mg を隔週点滴静脈内投与する。	シパグルコシダーゼ アルファ（遺伝子組換え）との併用において、通常、成人にはミグルスタットとして体重 40kg 以上 50kg 未満の場合は 1 回 195mg、体重 50kg 以上の場合は 1 回 260mg を隔週経口投与する。なお、食事の前後 2 時間は投与を避けること。
包装	1 バイアル	4 カプセル [ボトル、バラ] 24 カプセル [ボトル、バラ]
承認取得日	2025 年 6 月 24 日	2025 年 6 月 24 日
再審査期間	10 年	10 年
規制区分	処方箋医薬品、劇薬、生物由来製品	処方箋医薬品
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。	医薬品リスク管理計画を策定の上、適切に実施すること。

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α-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。ポンペ病について詳しくは、以下のサイトをご覧ください。<https://www.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、新しい高品質な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。詳しくは、弊社ウェブサイトをご覧ください。

<http://www.amicusrx.jp>

【問い合わせ先】

アミカス・セラピューティクス株式会社 患者支援・広報部門
E-mail: info@amicusrx.jp