

2015. 9. 1

ゴーシェ病に対する日本で初めての経口治療薬 「サデルガ®カプセル 100mg」新発売 ～ゴーシェ病患者さんに新たな治療選択肢～

2015. 9. 1

サノフィ・グループのジェンザイム・ジャパン株式会社(本社：東京都新宿区、代表取締役社長：パスカル・リゴディ、以下「ジェンザイム」)は、本日、ゴーシェ病経口治療薬であるグルコシルセラミド合成酵素阻害薬「サデルガ®カプセル 100mg」(一般名：エリグルスタット酒石酸塩、以下「サデルガ®」)を発売しましたので、お知らせいたします。

サデルガ®は、ゴーシェ病に対する日本で初めての経口治療薬であり、効能・効果は「ゴーシェ病の諸症状(貧血、血小板減少症、肝脾腫及び骨症状)の改善」です。この新薬により日本のゴーシェ病患者さんに新たな治療選択肢を提供できると共に、その利便性などにより、患者さんのQOL(クオリティ・オブ・ライフ=生活の質)の更なる向上が期待できます。

Cerdelga®(海外販売名)の臨床開発プログラムには、29カ国、約400例の患者さんが参加しました。このプログラムには、10例の日本人のゴーシェ病患者さんが参加した国際共同第3相試験「EDGE試験」に加え、海外で実施された主要な第3相試験「ENGAGE試験」、「ENCORE試験」及び第2相試験が含まれます。それぞれの試験において、骨クリーゼ、ヘモグロビン値、血小板数、脾容積、肝容積、骨髄負荷(BMB)、骨密度(BMD)などの評価が行われ、本剤の有効性・安全性が確認されました。

本剤は主に薬物代謝酵素チトクローム P450 2D6(以下「CYP2D6」)で代謝されます。CYP2D6 遺伝子には多型が存在し、それぞれのタイプ(表現型)に応じて本剤の適正な用法・用量を決定します。安全にご使用いただくため、患者さんには本剤投与前に CYP2D6 遺伝子型を確認いただく必要があります。

本剤は日本において、2011年3月に希少疾病用医薬品指定を受け、2014年6月に製造販売承認申請を行い、本年3月26日に厚生労働省より製造販売承認を取得しました。
なお、Cerdelga®は米国・欧州では2013年9月に承認申請され、米国では2014年8月、欧州では2015年1月に承認を取得しました。

ジェンザイムは「ひとつでも多くの笑顔のために、希少疾患に向き合うみなさまへ新たな希望を届けつづけます」というミッションのもと、ゴーシェ病に対する日本で初めての経口薬となるサデルガ®を提供することで、日本の患者さんとそのご家族や医療関係者へ更なる貢献をしております。

以上

サデルガ®の製品概要

製品名	サデルガ®カプセル 100mg
一般名	エリグルスタット酒石酸塩
剤型	カプセル剤
効能・効果	ゴーシェ病の諸症状(貧血、血小板減少症、肝脾腫及び骨症状)の改善
用法・用量	通常、CYP2D6 Extensive Metabolizer 及び Intermediate Metabolizer の成人にはエリグルスタット酒石酸塩として1回100mgを1日2回経口投与する。なお、患者の状態に応じて適宜減量する。

国内製造販売承認取得日	2015年3月26日
薬価	76,925.90円
薬価収載日	2015年5月20日
発売日	2015年9月1日

ゴーシェ病について

ゴーシェ病は世界でも患者数が1万人にも満たない先天性脂質代謝異常症です。糖脂質を分解するライソゾームの酵素（グルコセレブロシダーゼ）が生まれつき少ないために、糖脂質が体内の細胞に蓄積し、肝脾腫、貧血、出血傾向、進行性の骨疾患など重篤な全身性の症状を引き起こします。詳細は、<http://www.lysolife.jp>（ライソゾーム病の疾患サイト）および<https://gaucher.mps-navi.jp>（医療従事者用 ゴーシェ病の疾患サイト）をご参照ください。

サデルガ®について

サデルガ®（一般名：エリグルスタット酒石酸塩）は経口投与可能な新規のグルコシルセラミドアナログであり、グルコシルセラミド合成酵素を阻害し、その結果、グルコシルセラミドの産生を減少させます。グルコシルセラミドは、ゴーシェ病患者さんの細胞と組織内に蓄積する物質です。

ジェンザイム・ジャパンについて

ジェンザイム・ジャパン株式会社は、ジェンザイム・コーポレーションの日本法人として1987年に設立されました。「ひとつでも多くの笑顔のために、希少疾患に向き合うみなさまへ新たな希望を届けつづけます」というミッションのもと、海外バイオ企業の日本法人としては初めて、他社と提携することなく自社単独で医療用医薬品の開発・販売に成功しました。現在、希少疾患であるライソゾーム病のうち、「ゴーシェ病」「ファブリー病」「ムコ多糖症Ⅰ型」「ムコ多糖症Ⅱ型」「糖原病Ⅱ型(ポンペ病)」の5つの治療薬と内分泌領域の1製品、併せて6つの希少疾病用医薬品を販売しています。2011年からはサノフィ・グループの一員となり、世界トップ製薬企業の規模と資源を生かし、共に患者さんの生活を向上させることにコミットしています。詳細は、<http://www.genzyme.co.jp>をご参照ください。

サノフィについて

サノフィは、患者さんのニーズにフォーカスした治療ソリューションの創出・研究開発・販売を行うグローバルヘルスケアリーダーです。糖尿病治療、ヒト用ワクチン、革新的新薬、コンシューマー・ヘルスケア、新興市場、動物用医薬品、ジェンザイムを中核としています。サノフィはパリ（EURONEXT：SAN）およびニューヨーク（NYSE：SNY）に上場しています。日本においては、約2,650人の社員が、「日本の健康と笑顔に貢献し、最も信頼されるヘルスケアリーダーになる」をビジョンに、医薬品の開発・製造・販売を行っています。詳細は、<http://www.sanofi.co.jp>をご参照ください。