

2016.2.1

ファブリー病治療剤「ファブラザイム®点滴静注用 5mg」および「ファブラザイム®点滴静注用 35mg」 添付文書改訂に関するお知らせ

2016.2.1

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、遺伝子組換えファブリー病治療剤「ファブラザイム®点滴静注用 5mg」および「ファブラザイム®点滴静注用 35mg」(一般名:アガクトシダーゼ ベータ(遺伝子組換え)、以下「ファブラザイム®」)について、添付文書を改訂しましたので、お知らせします。

本剤については、心ファブリー病¹患者における α -ガラクトシダーゼ A(r-h α GAL)補充療法の安全性と有効性に関する多施設オープン試験の結果、心ファブリー病に対する有効性及び安全性が確認されました。この結果を基に再審査申請を行い、このたび添付文書の「効能・効果に関連する使用上の注意」の項の「心臓にのみ病変が認められる亜型のいわゆる心ファブリー病患者での安全性及び有効性は確立していない。」の文言を日本国内のファブリー病治療薬で初めて削除しました。また、使用成績調査、特定使用成績調査及び、製造販売後臨床試験の結果を踏まえ、「副作用」や「臨床成績」の項等も改訂しました。

ファブラザイム®は日本において、1999年に希少疾病用医薬品の指定を受け、2004年に製造販売承認を取得、発売しました。海外では、2001年に欧州で、2003年に米国で承認を取得し、販売を開始しました。現在、米国を含め世界70以上の国と地域で承認されています。

ジェンザイムは、今回の添付文書の改訂に伴い、今後心ファブリー病患者さんを含めた、すべてのファブリー病患者さんへファブラザイム®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まいります。

以上

¹心ファブリー病:細胞のリソソームに存在する加水分解酵素のひとつである α -galactosidase Aの遺伝子異常に起因した α -galactosidase A活性の著しい低下により生ずるFabry病の一病型(亜型)である。Fabry病では、 α -galactosidase A活性の低下により α -galactosidase Aの基質であるスフィンゴ糖脂質、特にglobotriaosylceramideが全身の細胞のリソソームに進行性に蓄積し、心臓を含む全身の臓器障害や症状を認める。これに対し、心Fabry病では、心臓の細胞へのスフィンゴ糖脂質の蓄積により心障害や心症状を呈するが、他の臓器障害やそれに伴う症状を欠く。心Fabry病では、左室肥大や右室肥大を認め、左室拡張能障害、左室収縮能障害、不整脈を含む心電図異常を示す。これらの心障害は進行性である。(出典:厚生労働省難治性疾患克服研究事業 特発性心筋症調査研究班/2005年発行)

ファブリー病とは

ファブリー病は発症頻度が少ない希少疾患であり、ライソゾーム病のひとつです。細胞のライソゾーム内で機能する α -ガラクトシダーゼ(α -GAL)という酵素の働きがなかったり、低くなったりしていることで、グロボトリアオシルセラミド(GL-3)という物質が分解されにくくなり、全身のさまざまな臓器・器官の細胞にGL-3が蓄積して、いろいろな症状を

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)をご参照ください。

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、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)」に対する6つの治療薬と内分泌領域の2製品、併せて8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、2016年1月からはサノフィのスペシャルティケアグローバルビジネスユニット「サノフィジェンザイム (Sanofi Genzyme)」として活動を開始し、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。同ビジネスユニットは、サノフィの希少疾患領域、オンコロジー領域と免疫領域で構成され、パスカル・リゴディが統括しています。