

報道関係者 各位

令和 7 年 8 月 29 日

(担当) 医薬品安全対策第一部長 一丸 勝彦

(電話) 03 (3506) 9435

**日本ライソゾーム病患者家族会協議会、
特定非営利活動法人全国ポンペ病患者と家族の会と
独立行政法人医薬品医療機器総合機構の連携による医薬品情報提供について**

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という）と日本ライソゾーム病患者家族協議会、特定非営利活動法人全国ポンペ病患者と家族の会（以下「患者会」という）では、新たに製造販売承認された次の医薬品について、別添により、患者会会員向けの情報提供を致します。

販売名：ポムビリティ点滴静注用 105mg、オブフォルダカプセル 65mg

製造販売業者：アミカス・セラピューティクス株式会社

PMDA と患者会では連携により次の試行的実施を進めていくこととしており（参考資料）、今回の情報提供は 1. の取り組みの 3 例目となります。

1. 今後発売される新薬の有効性及び安全性に関するわかりやすい情報の提供
2. 患者会を介した治療薬使用に関連する安全性情報の収集

<これまでの取り組み>

No	販売名（製造販売業者）	情報提供開始年月
1	ゼンフォザイム点滴静注用 20mg （サノフィ株式会社）	2022 年 5 月
2	ガラフォルドカプセル 123mg （アミカス・セラピューティクス株式会社）	2023 年 2 月
3	ポムビリティ点滴静注用 105mg、 オブフォルダカプセル 65mg （アミカス・セラピューティクス株式会社）	2025 年 8 月

[患者会との連携に関する取り組み](#) | 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構 (pmda.go.jp)

日本ライソーム病患者家族会協議会
特定非営利活動法人全国ポンペ病患者と家族の会
独立行政法人医薬品医療機器総合機構

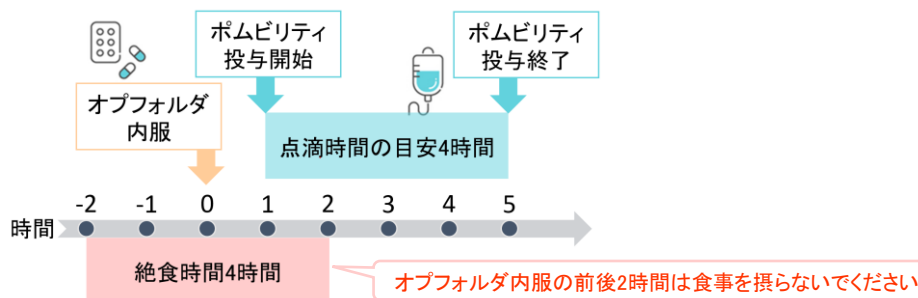
ポムビリティ[®]点滴静注用105mg オブフォルダ[®]カプセル65mg

製造販売業者: アミカス・セラピューティクス株式会社

品目概要

◆ 遅発型ポンペ病の治療薬です。

- ポムビリティはヒト酸性 α -グルコシダーゼ遺伝子組換え製剤、オブフォルダはポムビリティの酵素安定化剤です。
- オブフォルダ(カプセル)を内服してから1時間後、ポムビリティ(点滴静脈注射)の投与を開始します。2週間に1回、本併用療法は行われます。



- 体重や腎機能に応じて、服用するオブフォルダのカプセル数は調整されます。

◆ 妊婦又は妊娠している可能性のある女性には使用できません。本併用療法中及び最終投与後2週間は避妊する必要があります。

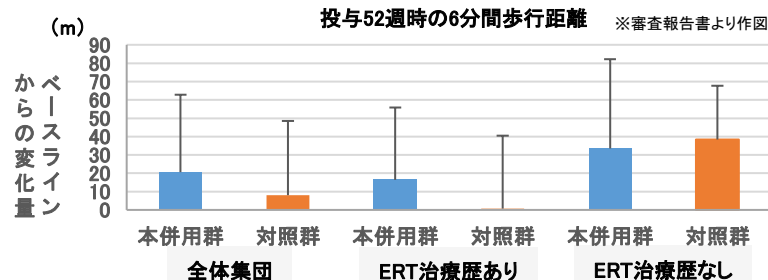
◆ 本併用療法を実施された患者さん全員を対象とした調査を行い、長期間投与における安全性及び有効性に関する情報を収集します。

- この資料は、医薬品の有効性・安全性情報を簡潔にまとめ、医薬品の適正使用の推進や、患者さん参画型安全対策の発展・向上を目的として、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)と、日本ライソゾーム病患者家族会協議会、全国ポンペ病患者と家族の会(患者会)が連携し、共同で作成したものです。
- 医薬品の情報収集には、添付文書等も参考にしてください。
PMDA 医療用医薬品添付文書等検索 <https://www.pmda.go.jp/PmdaSearch/iyakuSearch/>
- 資料に対するご意見等は、患者会でまとめてPMDAに連絡しています。
下記お問い合わせフォームよりご連絡ください。
<URL> https://pompe-family.com/contact_us.php

有効性について

別添

- 臨床試験で6分間歩行距離のベースラインからの変化量でみた本併用療法の効果は、全体集団では、対照群^{注1)}と比べて差はありませんでしたが、酵素補充療法(ERT)の治療歴のある患者さんにおいては、対照群と比較して効果が大きい傾向が示されています。また、ERT治療歴のない患者さんにおいても、対照群と比較して大きく劣ることなく、ベースラインから改善する傾向が認められています。 注1) ERTの従来の治療薬であるアルグルコシダーゼ アルファ(遺伝子組換え)とプラセボ



- 本併用療法はポンペ病の酵素補充療法における選択肢の1つとなります。

安全性について

- 重度のインフュージョンリアクションや、アナフィラキシーというアレルギーのような症状が、点滴中や点滴終了後数時間以内にまれにみられることがあり、代表的な症状は、以下のとおりです。



このような場合には、速やかに医師や看護師に連絡してください。

- また、本併用療法の臨床試験では、頭痛、下痢なども認められています。在宅中でも、気になる症状がありましたら、医療機関に連絡してください。

患者への迅速・適確な情報提供・収集のための患者会との連携

患者への情報伝達

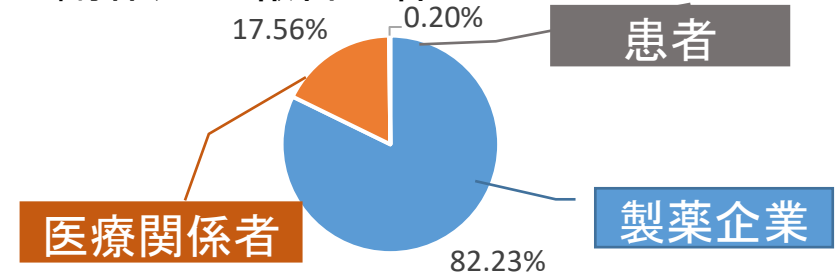
PMDAから患者には、HP掲載による提供など、限定的



○情報提供は製薬企業やPMDAのメディナビ等を介した医療関係者への提供ルートがあるが、患者への情報提供は多忙な医療現場に依存

副作用の報告主体

R 2 年度医薬品副作用報告等の状況



○副作用報告は圧倒的に、企業、医療関係者

<現状認識>

○情報提供では、PMDAホームページ、メディナビ、患者向け情報提供資材などの媒体を用いているが、ターゲットとなる使用者に確実に情報を伝達できるかが課題

○情報収集では、患者からの情報収集は報告の質・量ともに課題

○“患者”の属性は極めて多岐にわたり、多様な“患者”全体を対象にしたアプローチは困難であるが、希少疾患、難病等、小規模ながらネットワーク化が進んでいる患者会と連携することで、迅速・確実な情報提供、効率的な情報収集が行える可能性

患者会との連携を試行的に実施

<対応>

○日本ライソゾーム病患者家族会協議会と共同で、以下を試行的に実施

- ・今後発売される新薬の有効性・安全性に関するわかりやすい情報の提供
- ・治療薬使用に関連する安全性情報の患者会ネットワークを活用した収集

○試行結果を踏まえ、協力対象を拡大していくか検討