サノフィ株式会社

アバルグルコシダーゼ アルファ（遺伝子組換え）

CTD 第二部

2.2 緒言

Total number of pages: 2

[redacted]

アバルグルコシダーゼ アルファ（遺伝子組換え）（以下、「本剤」）は、糖原病Ⅱ型治療剤のアルグルコシダーゼ アルファに合成ビス-マンノース-6-リン酸（以下、「M6P」）基を持つヘキサマンノース構造を複数共有結合させた薬剤である。本剤は、アルグルコシダーゼ アルファに比して1分子当たりのM6P含有量を増加させることによりアルグルコシダーゼの細胞内への取込み量を向上させ、特に骨格筋におけるグリコーゲン低下を促進することで、アルグルコシダーゼ アルファを超える効果を発揮することが期待される。

本剤は、ポンペ病患者に対する酵素補充療法の有用性を可能な限り最大化するために、アルグルコシダーゼ アルファを改変し、細胞内への取込みを高めた薬剤として開発されている。

今般、日本人患者も含む国際共同臨床試験において、酵素補充療法（アルグルコシダーゼ アルファ）の治療歴のない遅発型ポンペ病患者及び酵素補充療法（アルグルコシダーゼ アルファ）から切り替えた乳児型ポンペ病患者に対する本剤の有効性及び安全性が確認されたことから、ポンペ病（糖原病Ⅱ型）患者を対象として、本剤の製造販売承認を申請することとした。

[redacted]