サノフィ株式会社

オリプダーゼ アルファ（遺伝子組換え）

CTD 第二部

2.2 緒言

Total number of pages: 2

オリプダーゼ アルファ（遺伝子組換え）（以下、本剤）は、遺伝子組換え技術により製造されるヒト酸性スフィンゴミエリナーゼであり、酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症（以下、ASMD）に対する酵素補充療法として開発された薬剤である。本剤の投与により、全身組織のライソゾームのスフィンゴミエリンの代謝を促進し、その蓄積を抑制することで、ASMD 患者の様々な症状の改善が期待される。

今般、日本人成人患者 1 名を含む成人 ASMD 患者を対象とした第 II/III 相臨床試験及び海外で実施された小児 ASMD 患者を対象とした第 I/II 相臨床試験において、本剤の有効性及び安全性が確認されたことから、予定する効能又は効果を酸性スフィンゴミエリナーゼ欠損症（ASMD）として本剤の製造販売承認を申請することとした。