

2014年9月2日

報道関係各位

ゴーシェ病治療薬「ビプリブ®点滴静注用 400 単位」

新発売のお知らせ

シャイアー・ジャパン株式会社（本社：東京都新宿区、代表取締役社長：グレン・スノハラ）は、ゴーシェ病治療薬「ビプリブ®点滴静注用 400 単位」（一般名：ベラグルセラゼ アルファ（遺伝子組換え））を本日 9 月 2 日、発売いたしましたので、お知らせいたします。

ゴーシェ病は、ライソゾーム病（LSD）として知られる遺伝性の希少疾患の一種で、フランスの医師、Philippe Gaucher（ゴーシェ）によって 1882 年に発見されました。先天的な酵素（グルコセレブロシダーゼ）の活性低下あるいは欠損により、糖脂質（グルコセレブロシド）が組織に蓄積し、肝脾腫、貧血、血小板減少、骨症状、神経症状などが主な症状となるスフィンゴ糖脂質蓄積症の 1 つです。

「ビプリブ®点滴静注用 400 単位」はゴーシェ病に対する酵素補充療法を目的としたヒトグルコセレブロシダーゼの酵素製剤であり、ライソゾームに蓄積したグルコセレブロシドを分解します。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。ビプリブ®はシャイアー社の有する遺伝子活性化技術によりヒト細胞株から産生され、ヒト生体内酵素であるグルコセレブロシダーゼと同一のアミノ酸配列を有しています。糖鎖修飾として高マンノース型糖鎖が付加されており、*in vitro* 試験で標的であるマクロファージへの取り込み能の増加が認められています。

「ビプリブ®点滴静注用 400 単位」は優先審査によって、米国および EU で 2010 年に承認され、2014 年 2 月現在、世界 45 カ国以上で販売されています。国内では 2013 年 4 月、希少疾病用医薬品に指定され、2014 年 7 月 4 日に製造販売承認を取得しました。シャイアー・ジャパン株式会社代表取締役社長のグレン・スノハラは「ビプリブは海外で高い支持を得ております。本製品を国内の患者さんにお届けできるようになり、大変うれしく思います。今後とも患者さまの生活向上のお役に立てるよう、新薬を導入してまいります」と述べています。

以上

【ビプリブ®点滴静注用 400 単位の特徴】

- ・糖鎖装飾として高マンノース型糖鎖が付加されており、*in vitro* 試験で標的であるマクロファージへの取り込み能の増加が認められています。
- ・本剤の有効成分とヒト生体内酵素であるグルコセレブロシダーゼは、同一のアミノ酸配列を持ちます。
- ・海外の臨床試験で、対照薬との比較試験、本剤への切替え試験、未治療患者への投与試験などから本剤の有効性が認められました。
- ・国内第Ⅲ相臨床試験で、ゴーシェ病患者 6 例において本剤に切替えた試験成績からヘモグロビン濃度、血小板数、体重補正した肝容積および脾容積で臨床効果の維持が認められました。

ビプリブ®点滴静注用の製品概要

製品名	ビプリブ®点滴静注用 400 単位
一般名	ベラグルセラーゼ アルファ（遺伝子組換え）
剤型	注射剤（凍結乾燥）
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、ベラグルセラーゼ アルファ（遺伝子組換え）として、1 回体重 1 kg あたり 60 単位を隔週点滴静脈内投与する。
製造販売承認日	2014 年 7 月 4 日
薬価基準収載日	2014 年 9 月 2 日
発売日	2014 年 9 月 2 日
製造販売元	シャイアー・ジャパン株式会社



国内臨床試験について

日本人ゴーシェ病患者 6 例（Ⅰ型：成人 2 例及び小児 2 例及びⅢ型：小児 2 例、11～39 歳）に本剤を 51 週間（12 ヶ月間）隔週点滴静脈内投与した非盲検試験が実施された。全例がイミグルセラーゼの治療を受けており、投与前のイミグルセラーゼと同一用量（最大 60 単位/kg）の本剤に切り替えた。ヘモグロビン濃度、血小板数、肝容積及び脾容積について効果の維持が認められた。投与 51 週におけるベースラインからの変化量の中央値（最小値, 最大値）は、ヘモグロビン濃度-0.05 (-0.7, 1.0) g/dL、血小板数-6.2 (-12, 64) × 10³/μL、体重補正した肝容積 0.01 (-0.1, 0.3) %、体重補正した脾容積 0.01 (0.0, 0.1) %であった。治験期間中に抗ベラグルセラーゼ アルファ抗体が認められた被験者はいなかった。

本件に関するお問い合わせ:

シャイアー・ジャパン株式会社
東京都新宿区北新宿 2-21-1 新宿フロントタワー29 階
広報担当
03-6737-0100 (代表)

シャイアー・ジャパン株式会社広報代行 (株) プラップジャパン
山下
03-4580-9106

シャイアー社について

Shire enables people with life-altering conditions to lead better lives.

シャイアー社は、アンメット・メディカル・ニーズの領域において、革新的な専門医薬品を開発、販売することに力を入れています。

神経系や希少疾患、消化器疾患、眼科、内科における治療薬を提供するとともに、専門医によって扱われるその他の領域の症状についても治療薬を開発しています。

www.shire.com

シャイアー・ジャパン株式会社について

シャイアー・ジャパン株式会社は 2012 年に設立され、アウトライセンス、提携、直販の 3 つのチャンネルで事業開発に取り組んでいます。シャイアー社の製品をお届けするほか、希少疾患および遺伝性疾患の認知向上に力を入れています。

www.shire.co.jp