



## メディア・アドバイザー：Ultragenyx Japan 社、ムコ多糖症 VII 型の治療薬 「メプセヴィ®点滴静注液 10 mg®」 [ベストロニダーゼアルファ (遺伝子組換え)] の日本での販売開始を発表

*Mepsevii®は生命を脅かすこの希少な代謝性疾患に対して承認された唯一の治療剤である。*

2022年8月26日東京発(GLOBE NEWSWIRE) – Ultragenyx Pharmaceutical, Inc.は、希少・難治性の重篤な遺伝性疾患に対する新規治療薬の開発および製造販売に注力しているバイオ医薬品企業です。メプセヴィ®点滴静注液 10mg [一般名:ベストロニダーゼアルファ (遺伝子組換え)]は、ムコ多糖体症 VII 型 (MPS VII 型;スライ症候群)の適応症について、既に厚生労働省 MHLW より承認を取得していましたが、このたび販売開始となりましたのでお知らせいたします。メプセヴィ®は、MPS VII 型 (Sly 症候群) に対する最初で唯一の酵素補充療法です。今回の販売開始により、日本の医療従事者は MPS VII 型患者に本療法を処方することが可能となります。薬価基準収載は 2022 年 5 月に取得しております。

### ムコ多糖症 VII 型 (MPS VII) について

MPS VII 型は進行性の希少遺伝性疾患で、先進国をあわせた患者数は約 200 人と推定されています。MPS VII 型の患者は、体内である種の特異な糖類を分解する上で主要な役割を果たす酵素であるベータ・グルクロニダーゼを十分産生することができません。この酵素欠損の結果、細胞内にその糖類が蓄積され、多くの臓器に進行性の損傷を引き起こします。

### メプセヴィ®について

メプセヴィ®は、遺伝子組換えヒト  $\beta$  グルクロニダーゼ(ATC code: A16AB18)酵素溶液で、その有効成分はベストロニダーゼアルファ (遺伝子組換え)である。本剤は、グリコサミノグリカンの分解を助け、その結果、体内各種組織におけるその蓄積を抑制する酵素であるベータ グルクロニダーゼを供給、補充します。

### 適応症

メプセヴィ®の適応は、小児、成人におけるムコ多糖症 VII 型(MPS VII; スライ症候群)の治療です。

### 日本における重要な安全性情報

## 禁忌

いずれかの本剤成分に対して、重篤な過敏性反応（アナフィラキシーまたはアナフィラキシーショック）の既往がある患者

## 副作用および注意事項

本剤はタンパク製剤であるため、アナフィラキシーショックを起こすことがあります。そのため、注意深く患者を観察し、何らかの異常に気が付いた場合は、直ちに投与を中止し、適切な措置を取って下さい。そのような症状に備えて、緊急措置が取れるよう、十分な準備をして下さい。

本剤投与後は、注入による反応（蕁麻疹、皮疹等）が見られることがあります。そのような反応が見られたときは、注入速度を落とすか、一時中止するか、適切な薬剤（抗ヒスタミン剤、解熱剤、コルチコステロイド等）を投与するか、応急処置をするかして対応して下さい。急性の熱性または呼吸器系疾患がある患者に投与した場合、過敏性反応により症状が急性に増悪することがありますので、患者の状態を十分に観察し、必要に応じて適切な処置を行ってください。脊髄圧迫や頸髄圧迫は、MPS VII の重篤な合併症としてよく知られています。本剤の効果により頸部と脊椎可動性が改善されると、その結果として、脊髄が損傷することがあります。脊髄圧迫や頸部不安定化の兆候や症状（頸部または背部痛、脚部衰弱、反射異常、尿・便失禁等）がないか、患者をよく観察して下さい。そのような兆候や症状があれば、直ちに適切な臨床的治療を実施して下さい。

注入に伴う反応として重篤なアナフィラキシー反応が起こる可能性があるため、投与は緊急事態に備えて十分な準備をしてから始め、投与中および投与後は十分な観察をして下さい。注入に伴う高度の反応が見られた場合は、直ちに本剤の投与を中止し、適切な措置を取って下さい。臨床的意義のある有害事象としては、注入反応 (8.7%) とアナフィラキシー反応 (4.3%) があります。呼吸困難、チアノーゼ、酸素飽和度低下、血圧低下等の症状が現れたときは投与を中止し、解熱鎮痛剤、抗ヒスタミン剤、コルチコステロイド投与、気道管理等、適切な処置を行って下さい。

## Ultragenyx Pharmaceutical Inc. について

Ultragenyx は、重篤な希少・超希少遺伝性疾患の患者さんに新規治療剤を届けるべくその開発に注力しているバイオ薬品企業であり、高度のアンメット・メディカル・ニーズがあり、生物学的背景が明確になっている疾患（その基礎病態に対する治療薬がいまだに承認されていないもの）をターゲットにした承認済み医薬品や治療薬候補品を各種取り揃えています。

Ultragenyx は、希少疾患治療薬の開発、商業化において豊かな経験を有する経営陣が牽引しており、その戦略は緊急性の極めて高い患者さんに、安全かつ有効な治療薬を届けることを目的として、時間効率、コスト効率の高い薬剤開発を目指しています。

Ultragenyx についてさらに詳しくは <https://www.ultragenyx.com/jp/> をご覧ください。

### 将来の業績見通しに関する陳述

すでに歴史的事実となった事項は別にして、このプレス・リリースでお伝えする事項（ウ  
Ultragenyx の将来の事業成績や財務実績に関する期待値や予想値、予想コストや経費削減額、  
臨床プログラムや臨床試験、規制当局との交渉のタイミング、計画、進捗状況、当局への提出  
物の内容や提出のタイミング等）は 1955 年の Private Securities Litigation Reform Act でいう「免  
責条項」に該当する「将来の業績見通しに関する陳述」です。このような陳述は、大きなリス  
クと不確実性をはらむものであり、そのために弊社の臨床開発プログラム、第三者との協業、  
その将来の結果、成績、達成度はこのような陳述に表示されている、あるいは暗示されてい  
るものと大きく異なる可能性があります。そのようなリスクと不確実性としては、会社の臨床活  
動や営業活動、営業成績、運営成績、会社の製品および製品候補の予想外に小さい市場性、製  
造物責任訴訟の可能性、製造に関わるリスク、会社の製剤および原薬の単一供給業者による供  
給不能または供給停止、他の治療法または治療剤との競合、会社成長（海外業務、会社の承認  
済み製品の保険カバーおよび償還に関わる不確実性、その他事項で事業資金としての手元現  
金、現金同等物、短期投資資産の充足性）を適切にマネージする会社の能力、将来の会社事業  
成績および財務業績、臨床治験活動およびその結果発表のタイミング、Ultragenyx 製品および  
製品候補の上市可能性または市場性等があります。Ultragenyx は「将来の業績見通しに関する  
陳述」の内容を更新したり修正したりする責任を負いません。実際の結果がこの陳述に記載さ  
れている結果と異なる原因になるリスクや不確実性、さらには Ultragenyx のビジネス一般に関  
するあらゆるリスクについては、2022 年 7 月 29 日に米国証券取引委員会に提出した  
Ultragenyx のフォーム 10-Q による四半期報告書、およびその後米国証券取引委員会に提出し  
た同社の定期報告書をご参照ください。

### Contacts

Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Media

Jeff Blake

[media@ultragenyx.com](mailto:media@ultragenyx.com)

Ultragenyx Japan offices

〒135-0063

東京都江東区有明 3-7-26 有明フロンティアビル B 棟 9 階