

2016年11月18日

高アンモニア血症治療剤「カーバグル®分散錠 200mg」**薬価収載のお知らせ**

ポーラ・オルビスグループの株式会社ポーラファルマ（社長：稲岡靖規、本社：東京都品川区、以下ポーラファルマ）が開発し、製造販売承認を取得した有効成分カルグルミン酸を含有する高アンモニア血症治療剤「カーバグル®分散錠 200mg」（以下、本剤）について、本日 11 月 18 日付で薬価が収載されましたので、お知らせいたします。

本剤は、オーファンヨーロッパ社により開発され、「N-アセチルグルタミン酸合成酵素（NAGS）欠損症による高アンモニア血症」の治療薬として欧州で 2003 年に、米国で 2010 年に承認されています。また、「イソ吉草酸血症、メチルマロン酸血症及びプロピオン酸血症による高アンモニア血症」の治療薬としては、欧州で 2011 年に承認されています。

NAGS 欠損症は遺伝性酵素欠損症であり、血中アンモニアを尿素に変換する尿素サイクルに必要な酵素（NAGS）が欠損するために、尿素サイクルが活性化されず、アンモニアの過剰な蓄積により重篤な高アンモニア血症を発症する疾患です。また、イソ吉草酸血症、メチルマロン酸血症及びプロピオン酸血症においても、中間代謝物である有機酸が NAGS 活性を拮抗阻害することにより、NAGS 欠損症と同様に高アンモニア血症を発症します（二次的 NAGS 欠損症）。

このような高アンモニア血症に対しては、迅速かつ適切な治療がほどこされないと神経障害等の不可逆的な障害を残し発育障害や時に死亡する可能性もあることから、血中アンモニア濃度を速やかに低下させることが治療上極めて重要です。しかし、既存の治療法では、血中アンモニア値のコントロールが必ずしも十分ではない場合があるのが現状です。

カーバグル®の有効成分であるカルグルミン酸は尿素サイクルを活性化することにより尿素生成を復活させる、NAGS 欠損症及び二次的 NAGS 欠損症の発症機序に特化した高アンモニア血症治療薬です。

ポーラファルマは、医療上の必要性の高い未承認薬の解消は製薬企業としての社会的使命・社会貢献の一環と考えており、2014 年に本剤の国内開発に着手し、本年 9 月 28 日に、NAGS 欠損症ならびにイソ吉草酸血症、メチルマロン酸血症、プロピオン酸血症による高アンモニア血症に対して、血中アンモニア濃度を下げる医療用医薬品として製造販売承認を取得しました。今回の本剤の国内承認・上市が、これらの疾患の患者様に対して新たな治療の選択肢を提供できるものと期待しております。

なお、本剤は厚生労働省から希少疾病用医薬品に指定されており、本剤の開発においては未承認薬等開発支援センターより助成を受けております。

本剤の発売は、ポーラファルマより 2017 年 1 月上旬を予定しており、医薬情報活動および安全性情報の収集は、ポーラファルマが株式会社レクメドとの協働により実施します。

「カーバグル®分散錠 200mg」の概要

- ・販売名 : カーバグル®分散錠 200mg (英名 : CARBAGLU® dispersible tablets)
- ・効能・効果 : 下記疾患による高アンモニア血症
 - ・N-アセチルグルタミン酸合成酵素欠損症
 - ・イソ吉草酸血症
 - ・メチルマロン酸血症
 - ・プロピオン酸血症
- ・成分・含量 : 本剤は1錠中にカルグルミン酸を200mg含有する
- ・剤形 : 錠剤 (分散錠)
- ・用法・用量 : 通常、1日に体重kgあたり100mg～250mgより開始し、1日2～4回に分けて、用時、水に分散して経口投与する。その後は患者の状態に応じて適宜増減する。
- ・包装単位 : 5錠、60錠 (プラスチックボトル)
- ・薬価 : 200mg 1錠 16,295.10円
- ・薬価基準収載 : 3999041X1026
医薬品コード
- ・承認取得日 : 2016年9月28日
- ・薬価基準収載日 : 2016年11月18日
- ・販売開始予定日 : 2017年1月上旬
- ・製造販売元 : 株式会社ポーラファルマ

株式会社ポーラファルマについて

株式会社ポーラファルマは、「世界中の人々に笑顔と感動をお届けしたい」というグループ理念を掲げるポーラ・オルビスグループの皮膚関連領域に特化した医療用医薬品企業として、2007年に設立し、皮膚関連疾患を中心とした研究開発、輸入、製造・販売を行っています。

世界中の方が「日々健やかに、日々美しく生きる」ことを大切に考え、患者様の悩みと望みを全身で感じ取り、病の真の原因を探求し、一日も早く解決することに全力で取り組んでいます。

オーファンヨーロッパ社について

オーファンヨーロッパ社 (Orphan Europe SARL) は1990年にフランスで設立、現在はイタリアの製薬会社レコルダッチグループに所属しており、希少疾患治療に特化し、約25年にわたりオーファンドラッグの開発・製造・販売に組み込み患者様に貢献している製薬企業です。

株式会社レクメドについて

株式会社レクメドは人々の健康な生活の実現を第一目標として、1998年5月に設立された創薬ベンチャーです。社名は、「人々から要望される医薬」を意味しており、常に患者さんの立場に立ち、アンメットニーズの新薬開発を進めています。2014年5月には、先天的な代謝遺伝子の異常疾患であるホモシスチン尿症を適応症とする治療剤「サイスタダン®原末」(希少疾病用医薬品)を国内において上市しております。

以上

【本件に関するお問い合わせ先】

(株)ポーラファルマ 管理部 広報担当：増居
TEL 03-5436-1020

【製品に関するお問い合わせ先】

(株)ポーラファルマ カーバグル問合せ窓口
TEL 050-3690-7551