

2024年12月25日

報道関係各位

株式会社オーファンパシフィック

尿素サイクル異常症治療薬フェニル酪酸グリセロール 承認申請のお知らせ

株式会社オーファンパシフィック（本社：東京都港区、代表取締役社長 原 愛、以下オーファンパシフィック）は、本日、尿素サイクル異常症（Urea Cycle Disorder:以下、UCD）に対する治療薬であるフェニル酪酸グリセロール（開発コード：HPN-100、海外販売名：RAVICTI®、以下「本剤」）の国内における医薬品製造販売承認申請を厚生労働省に行いましたのでお知らせいたします。

オーファンパシフィックは、現在、UCD の治療薬としてブフェニール®（フェニル酪酸ナトリウム）の顆粒剤及び錠剤を販売しておりますが、本剤はブフェニール®と同様に体内でフェニル酪酸となる、フェニル酪酸のプロドラッグです。無味無臭の服用しやすい経口液剤で、UCD の患者さんとその家族に新たな選択肢を提供いたします。

国内第 III 相臨床試験（HPN-100-J001 試験）の結果、本剤は ブフェニール®と同様に血中アンモニア濃度をコントロールすることができ、良好な安全性と忍容性が確認されました。

オーファンパシフィックは、UCD を持つ患者さんにご家族のために、本剤を一日も早くお届けできるよう努めてまいります。

■ 尿素サイクル異常症（UCD）について

尿素サイクルは主に肝臓において、生体内で発生する有毒なアンモニアを無毒な尿素に変える代謝経路です。尿素サイクル異常症は尿素サイクルに関与する酵素等に先天性な異常があり、高アンモニア血症などを呈する一連の疾患群です。嘔吐、哺乳力低下、多呼吸、痙攣、意識障害、行動異常、発達障害などがみられ、時には命にかかわるような重篤な状態になることもあります。多くは乳幼児期に発症しますが、なかには成人になって初めて診断されることもあります。8,000～44,000 人に 1 人の頻度で発症し、指定難病の 1 つになっています。

引用：難病情報センター 尿素サイクル異常症（指定難病 251）

<https://www.nanbyou.or.jp/entry/4732>

■ 株式会社オーファンパシフィックについて

オーファンパシフィックは、希少疾病治療薬の開発・製造販売を通じて希少疾病の患者さんに新たな治療薬を提供する日本の製薬企業です。「希少疾病を持つ患者さんにご家族に笑顔と幸せを届けます」を私たちの使命とし、“Leave No One Behind（誰一人取り残さない）”という決意で、患者数が非常に少ない希少疾病の治療薬の開発・提供にも積極的に取り組んでいます。オーファン

パシフィックは、日本の CRO（医薬品開発受託機関）のパイオニア、かつリーディングカンパニーであるシミックホールディングス（<https://www.cmicgroup.com/>）の 100%子会社であり、シミックグループの医薬品開発・製造・販売の経験とノウハウを最大限に活用し、1 人でも多くの希少疾病の患者さんが治療薬にアクセスできるようにすることを目指しています。

<https://www.orphanpacific.com/>

<本件に関するお問い合わせ>

株式会社オーファンパシフィック 経営企画部

info@orphanpacific.com

Tel.03-6779-8151