

2025 年 12 月 22 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「ラヴィクティ®内用液 1.1 g/mL」 製造販売承認取得のお知らせ

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）を効能又は効果とする「ラヴィクティ®内用液 1.1 g/mL」（一般名：フェニル酪酸グリセロール、以下「ラヴィクティ®」）について、日本国内における製造販売承認を取得したことをお知らせいたします。

ラヴィクティ®は、フェニル酪酸のプロドラッグであり、味や臭いがほとんどない服用しやすい経口液剤です。ブフェニール®錠 500mg および顆粒 94%（一般名：フェニル酪酸ナトリウム）と同等の有効成分量（用量）が必要な場合でも、ラヴィクティ®ではその製剤特性により、患者さんが実際に服用する液量（服用量）を少なくすることができ、同様の安定した血中アンモニアコントロール効果が期待されます。また、ナトリウムを含まないため、ナトリウム制限のある患者さん也可以使用できます。ラヴィクティ®は、こうした特徴により治療負担の軽減につながり、UCD 患者さんおよびその家族に新たな治療選択肢を提供します。

オーファンパシフィックは、ラヴィクティ®が UCD 治療におけるアンメットメディカルニーズの解消に寄与するものと考えています。今後も、適正使用のための情報提供をはじめ、希少疾患領域における医薬品の開発・提供に取り組み、希少疾患の患者さんやご家族の生活の質向上に貢献できるように努めてまいります。

承認内容の概要

| | |
|-----------|--|
| 販 売 名 | ラヴィクティ®内用液 1.1 g/mL |
| 一般的名称 | フェニル酪酸グリセロール |
| 製造販売承認取得日 | 2025 年 12 月 22 日 |
| 効能又は効果 | 尿素サイクル異常症 |
| 用法及び用量 | 通常、フェニル酪酸グリセロールとして 1 日 4.5 mL/m ² （体表面積）を開始用量とし、3 回から 6 回に分けて、食事若しくは栄養補給とともに又は食直後に経口投与する。その後は患者の状態に応じて適宜増減するが、1 日量は 11.2 mL/m ² （体表面積）を超えないこと。 |
| 製造販売元 | 株式会社オーファンパシフィック |

■ 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、指定難病に認定されています。

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と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