

2012年9月28日

各 位

会 社 名 シミックホールディングス株式会社
 代表者名 代表取締役会長兼社長 CEO 中村 和男
 (コード番号 2309 東証第一部)
 問合せ先 取締役執行役員(情報開示担当) 望月 渉
 (TEL. 03-5745-7070)

尿素サイクル異常症用薬「ブフェニール®」 製造販売承認取得のお知らせ

シミックホールディングス株式会社は、2012年2月に承認申請した「ブフェニール®」(一般名：フェニル酪酸ナトリウム、開発コード：CMK-304)について、尿素サイクル異常症の効能・効果にて2012年9月28日付で、製造販売承認を取得しましたのでお知らせいたします。

「ブフェニール®」は、生体内で速やかに酸化されグルタミンと結合することにより、血中アンモニアの上昇を抑制する薬剤です。本剤は、1996年に米国で、1999年に欧州で承認され、海外においては既に尿素サイクル異常症の標準的治療薬となっていますが、このたび国内の臨床試験においても、有効性・安全性が確認されました。

尿素サイクル異常症は、アンモニアを解毒し尿素に変換する代謝経路(尿素サイクル)の酵素に遺伝的な欠損が生じるために発症する先天代謝異常症です。高アンモニア血症により中枢神経障害を呈し、死亡に至ることも稀ではない重篤な疾患であり、本邦での推定患者数は約200人で出生児46,000人に一人が乳幼児期に発症するとされています。従来、日本では本薬が医薬品として許可されていなかったため、海外から個人輸入し、治療していました。

当社は、このような臨床ニーズが高いにもかかわらず開発が見送られてきた希少疾病用医薬品を開発しながら、今後も製薬企業向けサービスを中心にさらに広く健康を支えるビジネスを展開し、社会への貢献度の高い企業を目指してまいります。

【「ブフェニール®」の製品概要】

製品名	ブフェニール®錠 500 mg、同顆粒 94%
一般名	フェニル酪酸ナトリウム
効能・効果	尿素サイクル異常症
用法・用量	通常、成人及び体重 20kg 以上の小児にはフェニル酪酸ナトリウムとして 1 日あたり 9.9~13.0g/m ² (体表面積) を 3 回~6 回に分割し、食事又は栄養補給とともに若しくは食直後に経口投与する。体重 20kg 未満の新生児、乳幼児及び小児にはフェニル酪酸ナトリウムとして 1 日あたり 450~600mg/kg を 3 回~6 回に分割し、食事又は栄養補給とともに若しくは食直後に経口投与する。投与は少量より開始し、患者の状態、血中アンモニア濃度、血漿中アミノ酸濃度等を参考に適宜増減する。また、食事制限及び必須アミノ酸補給等の十分な栄養管理の下に投与する。

以上

用語説明

希少疾病用医薬品 (オーファンドラッグ)

薬事法第 77 条の 2 で指定された、対象患者が 5 万人未満の稀な疾病に用いられる医薬品