

ミグルスタットのゴーシェ病 I 型に対する開発について

ミグルスタットのゴーシェ病 I 型に対する要望については、第 3 回検討会議で医療上の必要性が高いと判断され、平成 22 年 5 月 21 日に開発要請を行ったところである。今般、本要望について、要望者（一般社団法人 日本小児神経学会、日本先天代謝異常学会）より、当該疾患領域の治療薬について、昨今の開発状況等を踏まえ、下記のとおり要望の取り下げに関する申出が提出され、受理したので、報告する。

1. 要望の概要

要望番号	成分名	要望内容	要望者
I-293	ミグルスタット	小児例から成人例の Niemann-Pick 病 C 型（ニーマン・ピック病 C 型）※及び酵素補充療法が有効ではないまたは継続できない成人の Gaucher 病 I 型（ゴーシェ病 I 型）	一般社団法人 日本小児神経学会、日本先天代謝異常学会

※平成 23 年 4 月、ミグルスタットを有効成分とするブレーザベスカプセル 100mg が、「ニーマン・ピック病 C 型」を効能・効果として承認されている。

2. 要望者からの要望の取り下げに関する申出

ミグルスタットの「酵素補充療法が有効ではないまたは継続できない成人のゴーシェ病 I 型」患者への導入に関する要望書を提出しましたが、その後国内での実態調査を行い、医療上の必要性について再度意見集約を行いましたところ、以下の考えに至りました。当該効能・効果の対象となる患者が皆無であり、これまでゴーシェ病 I 型の治療はセレザイムのみ relied していましたが、新たに国内で velaglucerase alfa や eliglustat tartrate が開発中であり、近い将来、医療現場での使用が可能となると理解しております。また、当該疾患の要望書を提出した平成 21 年は標準的治療薬であるセレザイムのウイルス混入の疑いによる原薬廃棄に伴う供給問題に大きな関心が寄せられていましたが、現在ではこれらの問題も解決し、当時とは状況が大きく変化しております。

以上から国内開発中の velaglucerase alfa や eliglustat tartrate 等薬

剤の状況を注視し、学会としミグルスタットの成人のゴーシェ病 I 型患者への導入に関する要望に関しましては取り下げることにはいたしたいと考えております。