



2023年3月27日

株式会社レクメド

先天性胆汁酸代謝異常症治療薬 オファコル®カプセル 50mg の製造販売承認取得の件

株式会社レクメド(本社:東京都町田市、代表取締役:松本 正、以下「当社」)は、先天性胆汁酸代謝異常症治療薬オファコル®カプセル 50mg(一般名:コール酸、開発コード:RM1319、以下「本薬剤」)の製造販売承認を2023年3月27日に取得いたしました。

先天性胆汁酸代謝異常症は、肝臓において胆汁酸の生合成を担う酵素の遺伝子が生まれた時から欠損している疾患です。生命活動において必要不可欠な胆汁酸を自ら生合成することが出来ないために、未治療の場合、重度の肝疾患を呈し生命が脅かされる疾患です。

現在確認されている患者数は、極めて少なく、超希少疾患です。

本薬剤は、胆汁酸の主成分であるコール酸を有効成分とする薬剤で、先天性胆汁酸代謝異常症の患者さんが自ら合成することのできないコール酸を経口で補充することにより、症状を抑制/改善する薬剤です。本薬剤を含むコール酸製剤は、欧米では既に承認され、標準療法としての地位を確立していますが、国内においては、「医療上の必要性の高い未承認薬・適用外薬検討会議」より国内開発企業の公募がされ、当社が開発に名乗りを上げ、フランス Laboratoires CTRS と共同開発を進めておりました。

「オファコル®カプセル 50mg」の製品概要

製品名	オファコル®カプセル 50mg
一般名	コール酸
効能・効果	先天性胆汁酸代謝異常症
用法・用量	通常、コール酸として1日量5~15 mg/kgを1回又は数回に分けて食事に経口投与する。なお、患者の状態に応じて適宜増減すること。
包装	60カプセル[10カプセル(PTP)×6]
承認取得日	2023年3月27日
再審査期間	10年
規制区分	処方箋医薬品
薬効分類番号	3999
承認条件	1.医薬品リスク管理計画を策定の上、適切に実施すること。 2.国内での治験症例が極めて限られていることから、製造販売後、再審査期間中の全投与症例を対象に使用成績調査を実施することにより、本剤使用患者の背景情報を把握するとともに、本剤の安全性及び有効性に関するデータを早期に収集し、本剤の適正使用に必要な措置を講じること。