



2024年12月25日

各位

ジェダイトメディスン株式会社  
代表取締役社長 高橋栄一

### オデビキシバットのアラジール症候群（ALGS）に対する希少疾病用医薬品指定について

ジェダイトメディスン株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役社長：高橋栄一、以下「ジェダイトメディスン」）は、2024年12月25日、現在国内で開発中のオデビキシバットについて、アラジール症候群（以下「ALGS」）を予定される効能・効果として、厚生労働省より希少疾病用医薬品指定を受けましたのでお知らせ致します。

オデビキシバットは ALGS および進行性家族性肝内胆汁うっ滞症（PFIC）の胆汁うっ滞性そう痒症に対する治療薬として、米国、欧州およびその他の地域で承認され、イブセン社によって販売されています。

ジェダイトメディスンは、オデビキシバットを通じて、ALGS に苦しむ患者さんに貢献できることを心から願っています。今後もアンメットメディカルニーズを満たすため、医薬品の研究開発を通じて患者さんの健康と生活の質の向上に貢献してまいります。

以上

(ご参考)

#### ▽アラジール症候群 (ALGS)

ALGS は、肝臓、心臓、骨格、眼、腎臓など、広範な影響を及ぼす希少疾患です。肝障害は、胆管の異常から生じると考えられ、毒性胆汁酸の蓄積を通じて、瘢痕化と進行性の肝疾患を引き起こすことがあります。ALGS 患者の約 95%が慢性胆汁うっ滞を呈し、通常は生後 3 ヶ月以内に発症し、88%が重度の難治性そう痒症を伴います。ALGS の世界的な発生率は 10 万人に 3 人と推定されます。日本では厚生労働省指定難病 (#297) に指定されており、国内患者数は全国調査の結果から 200~300 人程度と推測されています。

#### ▽オデビキシバット

1日1回経口投与の非全身性回腸胆汁酸輸送阻害剤であるオデビキシバットは、小腸で局所的に作用します。

オデビキシバットは PFIC および ALGS 患者の胆汁うっ滞性そう痒症に対する治療薬として、米国、欧州およびその他の地域で承認され、イプセン社によって販売されています。また米国と欧州で、胆道閉鎖症、原発性胆汁性肝硬変（本邦において現在は原発性胆汁性胆管炎に名称変更）の治療に対する希少疾患用医薬品指定を受けており、胆道閉鎖症患者を対象とした BOLD 第3相試験が海外で進行中です。

#### ▽ジェダイトメディスン株式会社

ジェダイトメディスン株式会社（ジェダイトメディスン）は、日本における未だ満たされていない医療ニーズに対処する革新的な医薬品の臨床開発と商品化に注力するバイオ医薬品企業として 2020 年に日本で創業されました。ジェダイトメディスンの経営陣は、日本および世界の大手製薬会社等で高品質の臨床開発、薬事申請、CMC、事業開発および運営に関する豊富な実績を有します。ジェダイトメディスンは、グローバルなファーストインクラス（画期的新薬）およびベストインクラス（明確な優位性を持つ新薬）の薬剤ポートフォリオを構築することを計画しています。ジェダイトメディスンは、ヘルスケアに特化した投資ファンドである CBC グループ（本社：シンガポール）によって設立されました。詳細は、[www.jadeitemedicines.co.jp](http://www.jadeitemedicines.co.jp) をご参照ください。

#### ▽イプセン

イプセン（イプセン社）は、がん、希少疾病、神経疾患に関する革新的な医薬品に注力するグローバルなバイオフーマです。

イプセンは、社外のイノベーションを取り入れながら、100 年近い開発経験と米国、フランス、英国のグローバル拠点を中心にパイプライン製品の開発を推進しています。

40 か国以上で展開する自社組織と世界中のパートナーシップを通じて、80 か国以上の患者さんに医薬品をお届けしています。

イプセンはパリ証券取引所（Euronext：IPN）と米国にてスポンサー付き米国預託証券レベル 1（ADR：IPSEY）として上場しています。詳細は [ipsen.com](http://ipsen.com) をご参照ください。