

各 位



2017年 9 月 29 日

会 社 名 J C R ファーマ株式会社
代表者名 代表取締役会長兼社長 芦 田 信
(東証 1 部 コード番号4552)
問 合 せ 先 執行役員経営企画本部長 本 多 裕
(TEL 0797-32-8591)

ファブリー病治療酵素製剤（開発番号：JR-051）製造販売承認申請のお知らせ

当社は、ファブリー病治療酵素製剤（開発番号：JR-051（遺伝子組換え α -ガラクトシダーゼA））について、本日、厚生労働省に製造販売承認申請いたしましたのでお知らせいたします。

JR-051は、先行バイオ医薬品〔アガルシダーゼ ベータ（遺伝子組換え）〕のバイオ後続品として開発を進めてまいりました。2015年2月に開始した臨床薬物動態試験にて先行バイオ医薬品との生物学的同等性が確認され、2015年5月から開始したファブリー病患者を対象とした第II/III相臨床試験では、先行バイオ医薬品との有効性および安全性の同等性／同質性が確認されました。

承認を取得した際には、JR-051がファブリー病に対して初めての国産の酵素補充療法治療薬として、新たな選択肢となることを期待しております。また、JR-051は当社にとってライソゾーム病治療酵素製剤の第一号となります。当社はJR-051に引き続き、画期的な新薬として現在開発中のJR-141（血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤）やJR-162（J-Brain Cargo®適用ポンペ病治療酵素製剤）に加え、他のライソゾーム病に対しても順次開発を行い、今後も希少疾病治療薬の研究開発に取り組むスペシャリティファーマとして、より多くの患者様の治療に貢献できるように取り組んでまいります。

なお、本件に関する今期業績への影響は、期首計画に折込済みであるため、本年5月10日に公表しました平成30年3月期の連結業績予想の数値から変更はございません。

以 上

【語句の説明】

ファブリー病

全身の細胞のライソゾーム内の加水分解酵素である α -ガラクトシダーゼA（ α -GAL）が生まれつき不足あるいは欠損していることにより生じる先天性のスフィンゴ糖脂質代謝異常症である。主な症状として、四肢疼痛、角膜混濁、腎臓機能障害、心機能障害等が挙げられる。症例数は、日本では約600人、世界では約10,000人とされている。現在の標準治療は、酵素補充療法（ERT）であり、2週間に1回酵素製剤が静脈内投与されている。