各　　位

平成25年２月27日

会 社 名　日本ケミカルリサーチ株式会社
代表者名　取締役会長兼社長　　芦田　信
（東証・大証各２部　コード番号4552）
問合せ先　管理本部　総務部長　三浦　祐一
（ＴＥＬ　0797-32-8591）

ファブリー病治療薬（開発コード：JR-051）と低分子シャペロンとの配合剤開発についてGSKと協業拡大

当社は、バイオ医薬品研究開発で培った基礎技術を用いて自社開発したファブリー病治療酵素JR-051（遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA）と米国Amicus Therapeutics Inc.（Amicus）*の低分子シャペロン技術を組み合わせた点滴静注用配合剤について、新たな開発プログラムとして、グラクソ・スミスクライングループ（GSK）との協業に加えることになりました。本プログラムは2009年12月にGSKと締結しておりますバイオ医薬品事業に関する包括契約に、新たな品目として加わるものであり、当社はGSKから契約金、マイルストン収入およびロイヤリティを受領することになります。なお、本件については当期業績予想に織り込み済みであり、当期業績への影響はありません。

本プログラムは、現在当社が2013年中の国際共同治験開始に向けてGSKと共同開発を進めているJR-051のバイオ後続品としての開発契約に引き続き、GSK、Amicus及び当社の3社間で検討してきたものです。これまでに実施された前臨床試験において、JR-051とミガラスタト塩酸塩を組み合わせることで、血中でのJR-051分子の安定性が向上し、投与されたJR-051がより効率的に必要な臓器で効果を発揮することを示唆するデータが得られました。これらのデータから、既存の酵素製剤に比べてより高い有効性・安全性を得ることができるものと期待されるため、当社とGSKの新たな正式開発品目として合意したものであります。

当社は、2009年12月のGSKとの提携以降、ライソゾーム病治療分野において、酵素と組み合わせて使用できる様々な技術について検討してまいりました。そして、2012年7月19日付で発表しました「ファブリー病治療薬の新たな展開について」の記載のとおり、GSKとの協業の範囲を当初のバイオ後続品から新薬を含めたバイオ医薬品全般へと拡大しました。今回、その第1号として、当社のJR-051とGSKが権利を有するAmicusの低分子シャペロン技術を応用した配合剤を、次世代のファブリー病治療薬としてGSKと共同開発を行ってまいります。本プログラムだけにとどまらず、さらに共同開発品目を拡大させていくことを、今後

両社で検討してまいります。

当社は、昨年秋にグローバル水準の品質保証体制を構築しました。製造面においては、ライソゾーム病酵素の原薬工場として、新たに神戸原薬工場（仮称）を建築することで、世界への製品供給に向けた体制整備を進めております。今後も独自のバイオ技術を生かし、付加価値の高い希少疾病治療薬の開発に積極的に取り組んでいくスペシャリティファーマとして、一日でも早く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。

以上

*Amicus（Amicus Therapeutics Inc.：米国ニュージャージー州）について

希少疾病の最前線の治療に取り組むバイオ医薬品企業。画期的治療である低分子シャペロン経口製剤の研究・開発に特化しており、低分子シャペロン技術を活用することにより、広範囲の遺伝性疾患の治療薬開発に取り組んでいる。

2010年に、GSKとファブリー病に対する低分子シャペロン技術（ミガラスタト塩酸塩）に関する開発・製造・販売権について契約し、2012年に酵素との組み合わせ治療まで協業範囲を拡大している。

【語句の説明】

ファブリー病

ファブリー病は、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300人、世界では5,000-10,000人といわれている。現在の標準治療は、酵素補充療法（ERT）であり、2週間に1回酵素製剤が静注内投与されている。静脈投与によるERTは効果的であるものの、投与関連反応や免疫反応が起こることがある。

低分子シャペロン

選択的に目的のタンパク質分子（例えば酵素）に結合し、タンパク質分子の安定性を向上させる。低分子シャペロンが結合することで、タンパク質分子が正しい３次元構造をとることができるようになり、細胞内において適正な箇所に輸送される。経口投与が可能であり、通常酵素が移送されることが困難な臓器・組織（例えば中枢神経系）において、酵素活性を上昇させることができる。

ファブリー病に用いられる低分子シャペロンであるミガラスタト塩酸塩については、Amicusの発表によれば、ファブリー病に対する単独治療について、第Ⅲ相グローバル試験が実施されており、並行して、ミガラスタト塩酸塩とERTとのCo-Administrationを評価するための第Ⅱ相試験が進行している。2013年1月には、この第Ⅱ相試験について、ポジティブな中間結果を報告した。