2015年2月10日

各　　位

会 社 名　ＪＣＲ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　経営戦略部 広報・IRグループ長　伊藤　学
（ＴＥＬ　0797-32-8591）

ファブリー病治療薬（開発番号：JR-051）の臨床試験開始のお知らせ

当社は、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）の開発の準備を進めておりましたが、このたび、臨床プログラムを開始し、最初の臨床試験が始まりましたのでお知らせいたします。

当社は、α-ガラクトシダーゼAのバイオ後続品としてJR-051の開発を目指しております。JR-051は国産のファブリー病治療薬酵素として、2017年に製造販売承認申請を行うことを目指し開発を進めております。当社は今後も希少疾病治療薬の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。

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300人、世界では約5,000人-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回酵素製剤が静脈内投与されている。