2015年2月19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）

ファブリー病バイオマーカーの新規定量法について
LDN 11th Annual WORLDSymposium™ 2015で発表

当社は、2015年2月9日から13日に米国フロリダ州オーランドで開催されたLDN 11th Annual WORLDSymposium™ 2015において、ファブリー治療薬（開発コード：JR-051）の開発に関連したファブリー病バイオマーカーのグロボトリアオシルセラミド（GL-3）の新規定量法についてポスター発表しました。本発表の概要を下記に示します。尚、当社は本技術に関する特許を出願済みです。

ライソゾーム病の一種であるファブリー病は先天的なα-ガラクトシダーゼA（α-GalA）遺伝子の変異などによりα-GalA活性が欠損または低下し、基質のGL-3が分解されずにリソソーム内に蓄積することによって生じる疾患である。ファブリー病の病態評価のためには組織中のGL-3総量を正確に定量する必要があるが、GL-3は異なる鎖長の脂肪酸が結合した多様な分子量をもつため、質量分析計を利用した高感度定量は非常に困難であった。

本研究では、生体試料より抽出したGL-3を酵素処理し、脂肪酸側鎖を外すことによって単一分子量の物質に変換させ、これを液体クロマトグラフ-タンデム型質量分析計で定量する方法を新たに開発した。本法により、生体試料中のGL-3総量を高感度かつ正確に定量することが可能となり、実際、ファブリー病モデルマウスの血漿ならびに各臓器中のGL-3の定量を試みたところ、何れの試料においても野生型マウスと比べて有意なGL-3の増加を確認した。

以上