2015年8月14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　経営戦略部長　本多　裕
（ＴＥＬ　0797-32-8591）

ファブリー病治療薬（開発番号：JR-051）の生物学的同等性試験結果のお知らせ

当社とグラクソ・スミスクライングループにて日本及びアジア・オセアニア地区をターゲットとして共同開発を進めている酵素補充療法に基づくファブリー病治療薬，JR-051（遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA），において、当社は、本年2月より生物学的同等性試験を本邦にて実施しましたが、今般、先行バイオ医薬品との生物学的同等性および安全性が確認できましたのでお知らせいたします。

本試験は、無作為化二重盲検並行群間比較試験として実施し、JR-051と先行バイオ医薬品との間における生物学的同等性の検証およびJR-051の安全性を評価いたしました。
本試験の結果、事前に規定した生物学的同等性の基準を満たしました。また問題となる有害事象は認められず、安全性も確認されました。

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の開発を進めております。
JR-051は国産のファブリー病に対する酵素補充療法治療薬として、2017年に製造販売承認申請を行うことを目指し、さらなる有効性および安全性を確認する試験を実施しております。

当社は、独自のバイオ技術、細胞治療・再生医療技術をもとに、グローバルで存在感のある研究開発型企業を目指し､今後も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。