各　　位

2018年2月13日

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　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の非臨床試験および第II/III相試験結果について
14th Annual WORLD*Symposium*™ 2018で発表

当社は、2018年2月5日から9日に米国カリフォルニア州サンディエゴで開催された14th Annual WORLD*Symposium*™ 2018*において、遺伝子組換えアガルシダーゼ ベータのバイオ後続品として製造販売承認申請中である、ファブリー病治療酵素製剤［遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA（以下α-GalA、開発番号：JR-051）］の非臨床試験および第II/III相試験で得られた成績について、2件のポスター発表を行いました。本発表の概要を下記に示します。

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-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が分解されずにライソゾーム内に蓄積することによって生じる疾患である。JR-051は、無血清培養下で製造し開発中の国産製剤である。

【非臨床試験】

ファブリー病のモデル動物であるα-GalA遺伝子ノックアウトマウスを用いた薬効及び体内分布比較試験、並びにサルを用いた毒性試験の各成績より、JR-051の薬理及び薬物動態学的な特性や安全性が、先行バイオ医薬品［アガルシダーゼ ベータ（遺伝子組換え）］と同様であることを確認した。

【第II / III相試験】

ファブリー病患者を対象として実施した第II/III相試験において、JR-051と先行バイオ医薬品の有効性の同等性を検証した。また、JR-051の安全性を確認した。

- JR-051投与開始前と26週間投与後の血漿中GL-3濃度を指標として、JR-051と先行バイオ医薬品の有効性が同等であることを確認した。また、血漿中lyso-GL-3濃度を指標とした場合でも、先行バイオ医薬品と同様の有効性を有することを確認した。
- JR-051の安全性プロファイルについて、先行バイオ薬品との類似性を確認した。

上記の非臨床、第II/III相の各試験成績を踏まえ、JR-051がファブリー病患者への新たな治療薬として期待できると考えている。

* WORLD*Symposium*™

このシンポジウムは、毎年米国で行われるライソゾーム病について基礎研究から臨床応用をテーマとする国際学会です。（http://www.worldsymposia.org/）

以上