

2018年9月21日

各 位



会社名 J C R 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「アガルシダーゼ ベータBS点滴静注『JCR』」
製造販売承認取得に関するお知らせ

当社は、本日、ファブリー病治療酵素製剤「アガルシダーゼ ベータBS点滴静注5mg『JCR』」
「同35mg『JCR』」（開発番号：JR-051）について、厚生労働省より製造販売承認を取得
しましたのでお知らせいたします。

「アガルシダーゼ ベータBS点滴静注『JCR』」は、ライソゾーム病の一種であるファブ
リー病に対する治療酵素製剤のバイオ後続品として、開発を進めてまいりました。本製品
は、当社にとって第一号となるライソゾーム病治療酵素製剤であると同時に、国産初のラ
イソゾーム病治療酵素製剤となります。臨床試験においては、先行バイオ医薬品である「ア
ガルシダーゼ ベータ（遺伝子組換え）」と同等の有効性と安全性が確認されました。製造
面においても、無血清培養での高品質製造を実現したことから、ファブリー病の治療にお
ける新たな選択肢となることが期待されています。

当社は、ライソゾーム病治療薬の開発に注力しており、現在は、血液脳関門通過技術
「J-Brain Cargo®」を適用した画期的な新薬の開発を順次行っております。希少疾病治療
薬のスペシャリティファーマとして、より多くの患者の皆さんの治療に貢献できるよう取
り組んでまいります。

なお、本件に関する今期当社連結業績への影響は、期首計画に織込済であるため、2019
年3月期の連結業績予想の数値から変更はございません。

<アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」について>

- ・ 販 売 名：アガルシダーゼ ベータBS点滴静注5mg「JCR」
アガルシダーゼ ベータBS点滴静注35mg「JCR」
- ・ 一 般 名：アガルシダーゼ ベータ（遺伝子組換え）
- ・ 効能・効果：ファブリー病（厚生労働省指定難病）
- ・ 用法・用量：1回体重1 kgあたり1.0 mgを隔週、点滴静注する。

以 上

【語句の説明】

ライソゾーム病

厚生労働省指定難病。小児慢性特定疾患。ライソゾームと呼ばれる細胞内小器官内で、加水分解酵素や酸素のトランスポーターである膜タンパク等が遺伝子的に欠損または変化することによって、分解できなくなった基質がライソゾーム内に蓄積し、その結果、細胞や組織に障害が生じる疾患。症状は蓄積する物質によって様々であり、ほとんどの疾患で中枢神経症状を伴う。

ファブリー病

厚生労働省指定難病。ライソゾーム病の一種であり、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。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。現在の標準治療は、酵素補充療法 (ERT) であり、酵素製剤が隔週静脈内投与されている。