



2022年7月28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
(コード番号 4552 東証プライム市場)
問合せ先 上席執行役員管理本部長 本多 裕
(TEL 0797-32-1995)

**遺伝子組換えヒト成長ホルモン製剤「グロウジェクト®」の
SHOX 異常症における低身長への効能追加に係る一部変更承認申請のお知らせ**

当社は、主力製品である遺伝子組換えヒト成長ホルモン製剤「グロウジェクト®」（一般名：ソマトロピン（遺伝子組換え））の新たな効能として、骨端線閉鎖を伴わない SHOX 異常症における低身長（開発番号：JR-401X）の開発を進めておりましたが、この度、日本における効能追加の製造販売承認事項一部変更承認申請を行いましたのでお知らせいたします。

SHOX 異常症は、性染色体上に存在する成長遺伝子 *SHOX* (Short stature homeobox containing gene) の機能喪失を招く微細欠失・重複や変異等に起因する遺伝子疾患です。同疾患は、成長遺伝子の異常により低身長を呈しますが、国内において承認されている治療薬はありません。

今回の承認申請は、日本で行った臨床第 III 相試験の結果に基づいています（関連リリースは[こちら](#)）。本試験の結果、主要評価項目である暦年齢相当身長 SDS の変化量（試験開始後 12 ヶ月間）において、「グロウジェクト®」投与群と無治療群との間に統計学的に有意な差が認められました。

なお、本試験において、本剤に関連する重篤な有害事象は認められませんでした。

「グロウジェクト®」は、これまでに「骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症」、「骨端線閉鎖を伴わないターナー症候群における低身長」、「成人成長ホルモン分泌不全症（重症に限る）」および「骨端線閉鎖を伴わない SGA (small-for-gestational age) 性低身長症」の効能又は効果を取得しております。

当社では現在、小児成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象とした、持続型成長ホルモン製剤（開発番号：JR-142）の開発も併せて進めております（関連リリースは[こちら](#)）。今後も患者の皆さまのニーズにお応えできるよう、成長障害治療に対する幅広い選択肢をご提供してまいります。

なお、本件に関する今期(2023年3月期)の当社連結業績への影響は軽微であります。

以 上