



2020年6月17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
(東証第1部 コード番号 4552)
問合せ先 上席執行役員経営企画本部長 本多 裕
(TEL 0797-32-1995)

**遺伝子組換えファブリー病治療剤「アガルシダーゼ ベータ BS 点滴静注 JCR」
臨床試験結果の論文掲載 (Molecular Genetics and Metabolism) に関するお知らせ**

当社は、遺伝子組換えファブリー病治療剤「アガルシダーゼ ベータ BS 点滴静注 JCR (アガルシダーゼ ベータ後続 1)」(以下、JR-051) について、この度、臨床第 1 相および第 2/3 相試験結果が、[Society for Inherited Metabolic Disorders](#) 公式ジャーナルの [Molecular Genetics and Metabolism](#) 電子版に学術論文として掲載されましたのでお知らせいたします。本剤は、JCR 初となるライソゾーム病治療酵素製剤、ならびに国産初のライソゾーム病治療酵素製剤であり、希少疾病領域における初のバイオ後続品として 2018 年 11 月から販売を開始しています。

本論文の概要は以下の通りです。

◆ 論文タイトル :

Pharmacokinetics and pharmacodynamics of JR-051, a biosimilar of agalsidase beta, in healthy adults and patients with Fabry disease: Phase I and II/III clinical studies

◆ DOI (Digital Object Identifier : デジタルオブジェクト識別子) :

<https://doi.org/10.1016/j.ymgme.2020.04.003>

◆ 論文概要 :

JR-051 と先行バイオ医薬品 (以下、アガルシダーゼ ベータ) の同等性を臨床的に検証することを目的として、臨床第 1 相および第 2/3 相試験を実施した。これらの試験結果より、本薬とアガルシダーゼ ベータは、有効性及び安全性の観点から同等であることが検証された。

【臨床第 1 相試験】

健康成人男性 20 名を対象に JR-051 およびアガルシダーゼ ベータの薬物動態学的同等性を無作為化二重盲検並行群間比較法にて評価した。その結果、本薬とアガルシダーゼ ベータの薬物動態学的プロファイルはほぼ同等であった。

【臨床第 2/3 相試験】

ファブリー病患者 16 名を対象として、アガルシダーゼ ベータ治療 (1mg/kg、隔週 1 回) から JR-051 治療 (1mg/kg、隔週 1 回) への切り替え試験を実施した。

- ・有効性：アガルシダーゼ ベータ投与期間中と JR-051 投与 26 週及び 52 週時点における血漿中 GL-3 (主要評価項目)、並びに血漿中 Lyso-GL-3 濃度の比の 95%信頼区間は、事前に定めた同等性許容域の範囲内であった。
- ・安全性：1 名にファブリー病の酵素補充療法で通常認められる IAR (投与関連反応) が認められたのみで、アナフィラキシーショックなどの重篤な有害事象は認められなかった。

以 上