



2019年4月4日

各位

東京都中央区日本橋1丁目13番6号
クリニジェン株式会社

**クリニジェンと GC Pharma が
ハンター症候群治療薬イデュルスルファーゼ ベータ脳室内投与製剤の
日本における開発・販売ライセンス契約を締結**

クリニジェン株式会社（本社：東京都、以下「クリニジェン」）と GC Pharma（本社：大韓民国龍仁市、旧名称：Green Cross Corporation）は、ムコ多糖症Ⅱ型（ハンター症候群）治療薬イデュルスルファーゼ ベータの脳室内投与製剤について、4月3日、日本における開発・販売ライセンス契約を締結しましたのでお知らせします。

イデュルスルファーゼの静脈内注射は既に本邦においてもムコ多糖症Ⅱ型の酵素補充療法薬として使用できますが、臨床用量では血液脳関門を通過しないと考えられています。一方、GC Pharma によって開発されたイデュルスルファーゼ ベータの脳室内投与製剤は、薬剤が脳室に直接送達されるため、脳および中枢神経系の細胞に到達します。そのため、本剤には従来の静脈注射では不可能であった精神運動発達遅滞等に対する効果が期待されています。

国立成育医療研究センターの奥山虎之先生の主導で実施された日本における第Ⅰ/Ⅱ相試験では、精神遅滞の原因となるヘパラン硫酸の有意な低下が示されました。

なお、既に韓国等においてイデュルスルファーゼ ベータの静脈内注射製剤（製品名：Hunterase）が販売されていますが、脳室内投与製剤は承認されておらず、日本で承認されれば世界で初めてのムコ多糖症Ⅱ型に対する酵素補充療法に使用される脳室内投与製剤となります。

「このパートナーシップを通じて、本製剤の価値をさらに高められることを嬉しく思います。新たな治療を提供することで、世界中のハンター症候群で苦しむ患者さん達の生活を変えるための努力を続けて参ります。」

— GC Pharma 社長 Eun Chul Huh, Ph.D.

「GC Pharma とのパートナーシップをもって、この画期的な治療を日本の患者さんに届ける機会を得たことを光栄に思います。ムコ多糖症Ⅱ型はまだまだアンメットニーズの残る難しい病気です。この製品が日本の患者さんにベネフィットをもたらすことを願ってやみません。」

— クリニジェン株式会社 代表取締役 社長 中村良和

ムコ多糖症Ⅱ型について

ムコ多糖症Ⅱ型（ハンター症候群）は、主に男児に発症する遺伝性のライソゾーム病で、体の中で不要になった脂質や糖質を分解する働きを持つライソゾームにある酵素が先天性に欠損していることから、神経、骨・関節、各臓器等に様々な臨床症状を引き起こす全身性の疾患です。重症例では10歳代半ばで寝たきりとなり、20歳までに死に至ります。日本における発症頻度は約5万人に1人で、根本的な治療法は確立していません。現在の標準治療は酵素補充療法（ERT）および対症療法です。

クリニジェンについて

クリニジェン株式会社は、本社をイギリスのバートンオントレントに置き、様々な医薬品関連事業を行っている Clinigen plc（ロンドン新興市場に上場）の100%子会社で、国内においては、主に稀少疾患治療薬やニッチな市場に向けた医薬品の研究開発、製造販売等の事業を展開して参ります。

また、グループ会社であるリンク・ヘルスケア株式会社（本社：東京都中央区）と連携して日本の製薬会社に対し、人道的立場からの未承認薬のEAP（Early Access Program）の紹介とその実施に向けたコンサルタント等のサービスを提供しています。

GC Pharma について

GC Pharma は韓国に本社を置くバイオ医薬品メーカーで、患者さんの命を救うタンパク性バイオ医薬品やワクチン等を製造・販売しています。タンパク製剤を扱うメーカーとしては世界最大規模であり、半世紀以上にもわたって、質の高い薬剤を患者さんに届け続けております。

2018年に名称を Green Cross Corporation から GC Pharma に変更しましたが、登記上の正式な社名は引き続き Green Cross Corporation となります。

問合せ先：

クリニジェン株式会社

営業本部 マーケティング部 加藤 Tel 03-6869-0663

GC Pharma

Green Cross Holdings 広報 Woo Sub Shin Tel +82-31-260-9397

Green Cross Holdings 広報 Ji Woong Kim Tel +82-31-260-0759