



2021年1月22日

各位

東京都中央区日本橋1丁目16番3号  
クリニジェン株式会社

**世界初の脳室内投与用 ムコ多糖症Ⅱ型（ハンター症候群）酵素補充療法製剤  
ヒュンタラーゼ脳室内注射液 15mg 製造販売承認取得について**

クリニジェン株式会社（本社：東京都、以下「クリニジェン」）は、ムコ多糖症Ⅱ型（ハンター症候群）治療薬 ヒュンタラーゼ脳室内注射液 15mg（一般名：イデュルスルファーゼ ベータ（遺伝子組換え））について、1月22日、国内における製造販売承認取得しましたことをお知らせいたします。

本邦において酵素補充療法薬の静脈内注射はムコ多糖症Ⅱ型の治療薬として既に使用が可能であり、全身性の症状に対する効果が報告されています。一方で、患者さんの約7割が苦しんでいるとされる、中枢神経症状をターゲットとした治療薬は存在しておらず、その開発が求められてきました。

GC Pharma（本社：大韓民国龍仁市、旧名称：Green Cross Corporation）によって開発されたヒュンタラーゼ脳室内注射液 15mg は、薬剤が脳室に直接送達され、脳および中枢神経系の細胞に到達するため、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臨床検査部統括部長で、本剤の開発を主導した奥山虎之先生が実施された日本における第Ⅰ/Ⅱ相試験では、精神運動発達遅滞の原因となる脳脊髄液中へパラン硫酸の有意な低下が示されました。

なお、本製剤はいずれの国においても発売されておらず、この度の日本における承認は、世界初となります。また、ムコ多糖症Ⅱ型の中枢神経症状に対する治療薬としても、世界で初めて且つ唯一の薬剤です。

「『RIGHT MEDICINE RIGHT PATIENT RIGHT TIME』というクリニジェングループのミッションに基づき、GC Pharma とのパートナーシップをもって、このような画期的な薬剤の製造販売承認を取得できたことを大変嬉しく思います。日本のムコ多糖症Ⅱ型の患者さんに、一日でも早く、本剤をお届けできるよう努めてまいります。」

— クリニジェン株式会社 代表取締役 社長 松木 崇

「この承認は、『MPS Ⅱ 患者の精神発達の退行を遅らせる』という大きなアンメットニーズに、

皆が協力して取り組んだ結果、得ることができたものだと考えております。患者さんとそのご家族、先生方をはじめとする多くの方の努力が実を結びました。」

— GC Pharma 社長 Eun Chul Huh, Ph.D.

### 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・不足していることから、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る患者さんが多いと言われています。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ティング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います。

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

マーケティング部 加藤 Tel 03-6869-0663

#### GC Pharma

広報 Hyungoo Kang Tel +82-31-260-9382

広報 Woo Sub Shin Tel +82-31-260-9397

広報 Yelin Jun Tel +82-31-260-0759

広報 Hansaem Kim Tel +82-31-260-9392