

平成 19 年 6 月 7 日

各位

会社名 アンジェス MG 株式会社
代表者 代表取締役社長 山田 英
(コード番号 4563 東証マザーズ)
問い合わせ先: 社長室 マネージャー
林 毅俊
電話番号: 03-5730-2480

ムコ多糖症 型治療薬「Naglazyme」の希少疾病用医薬品指定のお知らせ

厚生労働省は、6 月 5 日、ムコ多糖症 型治療薬“Naglazyme” (一般名: galsulfase)を、希少疾病用医薬品(オーファンドラッグ)に指定いたしましたのでお知らせいたします。

Naglazyme は、当社が米国 BioMarin Pharmaceutical Inc. から国内での開発及び販売権を取得した医薬品で、ムコ多糖症 型患者で欠損している酵素を外部から補う、いわゆる酵素補充療法を目的として開発された薬剤です。ムコ多糖症 型に対する治療法としては、骨髄移植術がありますが、ドナー確保の問題や移植に伴うリスクがあり、より安全で有効な治療法が求められています。一方、米国及び欧州において、Naglazyme は既に上市されており、国内においても患者団体や学会から早期使用の要望が高いことから、当社は、欧米での臨床試験データを活用し、早期に承認申請すべく準備を進めております。

希少疾病用医薬品への指定は、医療上の必要性が高いにも関わらず、対象患者数が少ない難病等に対する医薬品の研究開発促進制度に基づいています。

希少疾病用医薬品への指定は、対象患者数が 5 万人未満であること、医療上の必要性が高いこと等、薬事法の指定要件に該当することが条件とされており、指定を受けた場合には、研究開発費に対する助成金の交付、優先的な承認審査の実施、再審査期間の延長等の措置が受けられません。

<ご参考>

1. ムコ多糖症 型 (MPS (mucopolysaccharidosis) VI)

ムコ多糖症 型 (マロー・ラミー症候群)は *N*-acetylgalactosamine 4-sulfatase という酵素の欠如により起こる消耗性の遺伝性疾患です。この酵素が欠損しているため、ライソゾームに複合糖質や複合グリコサミノグリカン(GAGs)が蓄積し、細胞、組織、臓器系統に進行性の機能不全を引き起こします。

2. Naglazyme

Naglazyme はムコ多糖症 型 に対して世界で初めて適応承認を受けた酵素補充療法剤です。欧米における臨床試験にて、安全性及び歩行能力の改善等の有効性が確認されています。

- 会社概要 -

社名: BioMarin Pharmaceutical Inc.

所在地: 105 Digital Drive, Novato, CA 94949, U.S.A.

代表者: CEO Jean-Jacques Bienaimé

設立: 1997年

従業員数: 410名(2007年2月現在)

事業内容: 医薬品の研究開発、製造販売

[主な製品] Aldurazyme(ムコ多糖症 型治療薬)

Naglazyme(ムコ多糖症 型治療薬)

以上