

2019年8月26日

アマカス・セラピューティクス株式会社

アマカス・セラピューティクスは、  
**Vestronidase Alfa** の日本での開発・製造販売に関する  
**Ultragenyx** 社とのライセンス契約締結についてお知らせします

ムコ多糖症Ⅶ型を対象とする医師主導治験が国内ですでに実施中

アマカスはライソゾーム病領域での実績を活かし、  
日本の希少疾患の患者さんへ治療薬を届けるために開発を着手

アマカス・セラピューティクス株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役：ウィレム・ヴァン・ウェペレン）は、日本におけるムコ多糖症Ⅶ型治療薬（一般名：Vestronidase α、以下本剤）の開発に関する Amicus Therapeutics Inc. (NASDAQ:FOLD)と Ultragenyx Pharmaceuticals Inc. (NASDAQ:RARE)（以下 Ultragenyx 社）のライセンス契約締結に伴い、すでに国内で着手されている本剤の開発を推し進めて参ります。

本剤は、Ultragenyx社が開発した酵素補充療法による治療薬で、ムコ多糖症Ⅶ型を対象とする世界初の治療薬であり、2017年11月に米国、2018年8月に欧州、同年10月にブラジルで承認されています。

ムコ多糖症Ⅶ型は、希少な遺伝性代謝疾患で、グリコサミノグリカン（glycosaminoglycan、GAGs）であるデルマタン硫酸、コンドロイチン硫酸、ヘパラン硫酸を分解するβ-グルクロニダーゼ酵素が欠損するために起こり、体内細胞組織にGAGsが蓄積する進行性の疾患です。

国内では治療法がなく、本剤は未承認です。Ⅶ型はムコ多糖症の中でも最も稀な型の一つで、患者数は、先進国で200名\*1程と推測されています。

日本先天代謝異常学会とムコ多糖症患者家族の会より開発の要望書が厚生労働省に提出され、2018年7月4日に開催された第35回医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議での結果を受けて厚生労働省が開発企業の募集を行い、当社より厚生労働省に開発の意思を申し出ました。

#### ムコ多糖症Ⅶ型（スライ病）とは

ムコ多糖症Ⅶ型は、希少なライソゾーム病の一種です。細胞のライソゾーム内に存在するβ-グルクロニダーゼ酵素活性が先天的に欠損するため、グリコサミノグリカン（glycosaminoglycan、GAGs）であるデルマタン硫酸、コンドロイチン硫酸、ヘパラン硫酸のムコ多糖の分解が阻害され、体内細胞組織に蓄積する進行性全身性の遺伝性疾患です。そのため多系統の組織や臓器に障害が生じます。特徴的な顔貌、肺疾患、心機能障害、肝脾腫（肝臓や脾臓の腫大）、関節拘縮、低身長、精神運動発達遅滞、多彩な骨形成異常などの症状が認められます。

**Vestronidase  $\alpha$  について**

本剤は、遺伝子組み換えのヒト  $\beta$ -グルクロニダーゼ(ATC code: A16AB18)の酵素製剤であり、有効成分は **Vestronidase  $\alpha$**  です。点滴静脈注射にて投与することにより全身に過剰に蓄積されたムコ多糖の分解が促進されます。

**Ultragenyx Pharmaceuticals Inc.について**

米国カリフォルニア州を拠点とするバイオ医薬品企業です。重篤で極めて希少な遺伝性疾患の治療薬の開発に注力し、治療法の無い疾患やアンメット・メディカル・ニーズの高い疾患を対象として研究開発と治療薬の販売を行っています。詳しい情報は、同社のウェブサイトをご覧ください。 <https://www.ultragenyx.com/>

**Amicus Therapeutics Inc.について**

患者中心を第一に掲げる米国を拠点とするバイオテクノロジー企業で、希少な代謝疾患の患者さんへ新しい高品質の治療薬を届けるため、創薬、開発、そして医薬品の販売に取り組んでいるグローバル企業です。何よりも患者さんのために、代謝疾患領域において、新規性と有用性が高い最先端の画期的医薬品のパイプラインを推し進め、拡大していくことに専心しています。詳しい情報は、以下のサイト等をご覧ください。

<http://www.amicusrx.com>、Twitter, LinkedIn.

**アミカス・セラピューティクス株式会社について**

Amicus Therapeutics Inc.の日本法人です。ムコ多糖症VII型と同じライソゾーム病の一種であるファブリー病において自社による臨床開発、製造販売承認取得の実績を有しており、2018年5月よりファブリー病の経口治療剤「ガラフォルド®カプセル 123mg」を製造販売しております。引き続き医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬の解消に取り組み、医療に貢献して参ります。 <http://www.amicusrx.jp>

以上

\*1Ultragenyx 社による推定