

2014. 06. 30

ゴーシェ病に対する初めての経口治療薬
エリグルスタット酒石酸塩
日本国内にて製造販売承認申請
～ゴーシェ病患者さんに新たな選択肢～

2014. 06. 30

ジェンザイム・ジャパン株式会社（本社：東京都新宿区、代表取締役社長：ニコラス・グランド）は、本日、ゴーシェ病治療薬 経口グルコシルセラミド合成酵素阻害薬 エリグルスタット酒石酸塩（開発番号：Genz-112638）の日本国内における製造販売承認申請を行いましたのでお知らせします。エリグルスタット酒石酸塩は、ゴーシェ病に対する日本で初めての経口治療薬です。この新薬により、ゴーシェ病患者さんにさらに幅広い治療選択肢を提供でき、その利便性などにより、患者さんのQOL（クオリティ・オブ・ライフ=生活の質）の更なる向上が期待できると考えられます。

以上

ゴーシェ病について

ゴーシェ病は世界でも患者数が1万人にも満たない先天性脂質代謝異常症です。糖脂質を分解するライソゾームの酵素（グルコセレブロシダーゼ）が生まれつき少ないために、糖脂質が体内の細胞に蓄積し、肝脾腫、貧血、出血傾向、進行性の骨疾患など重篤な全身性の症状を引き起こします。

エリグルスタット酒石酸塩について

経口的に投与される新規グルコシルセラミド類似物質であるエリグルスタット酒石酸塩は、グルコシルセラミド合成酵素を部分的に阻害し、その結果グルコシルセラミドの産生を低下させるように設計されました。

グルコシルセラミドは、ゴーシェ病患者の細胞および組織内で増加する物質です。

米国及び欧州連合（EU）では2013年に新薬承認申請を行い、現在審査中です。

ジェンザイム・ジャパンについて

ジェンザイム・ジャパン株式会社は、ジェンザイム・コーポレーションの日本法人として1987年に設立されました。「稀少疾患に特化した先進企業」、「治療法のない難病の治療薬を開発し、患者さんのQOL（クオリティ・オブ・ライフ=生活の質）向上に貢献する」という基本姿勢の元、海外バイオ企業の日本法人としては初めて、他社と提携することなく自社単独で医療用医薬品の開発・販売に成功しました。

現在、稀少疾患であるライソゾーム病のうち、「ゴーシェ病」「ファブリー病」「ムコ多糖症Ⅰ型」「ムコ多糖症Ⅱ型」「糖原病Ⅱ型（ポンペ病）」の5つの治療薬と内分泌領域の1製品、併せて6つの稀少疾病用医薬品を販売しています。2011年からはサノフィ・グループの一員となり、世界トップ製薬企業の規模と資源を生かし、共に患者さんの生活を向上させることにコミットしています。

詳細は、<http://genzyme.co.jp>をご参照ください。

サノフィについて

サノフィ・グループは、フランス・パリに本社を置きグローバル事業を総合的に展開するヘルスケアリーダーです。世界100カ国に11万人以上の社員を擁し、糖尿病治療、ヒト用ワクチン、革新的

新薬、コンシューマー・ヘルスケア、新興市場、動物用医薬品、新生ジェンザイムの7つを成長基盤として、患者さんのニーズにフォーカスした治療ソリューションの創出・研究開発・販売を行っています。

サノフィは、パリ (EURONEXT:SAN) およびニューヨーク (NYSE:SNY) に上場しています。