

希少疾病患者への画期的な薬剤を開発 ジェンザイム・ジャパン株式会社

開発の経緯

- 臓器や組織の機能が徐々に損なわれる疾病であるムコ多糖症は、非常に希な遺伝病であり、国内の患者数は数十名程度といわれています。
- 平成11年に希少疾病用医薬品に指定されたものの、患者数が少ないことから臨床試験の実施が困難でした。
- 多くの支援を得て、欧米で実施された臨床試験データを用いることができ、国の認可を受けアウドラザイムという治療剤の販売に至りました。

製品の特長

<製品名:アウドラザイム(ムコ多糖症Ⅰ型治療剤)>

- 本剤は、 α -L-イズロニダーゼの遺伝子組換え製剤であり、チャイニーズハムスター卵巣(CHO)細胞培養を用いた組換えDNA技術により産生されます。
- 本剤の週1回3~4時間の点滴静注により、欠損している α -L-イズロニダーゼを補充し、ライソゾーム内に蓄積したグリコサミノグリカンの加水分解を行います。

アウドラザイム



遺伝子組換えムコ多糖症Ⅰ型
治療剤

導入事例

- 平成18年10月20日の正式承認を受け、本製品は平成18年12月5日より発売を開始しました。本製品の発売により、国内ムコ多糖症Ⅰ型患者の治療が期待されます。

会社情報

企業名:ジェンザイム・ジャパン株式会社

住所:東京都千代田区九段北4丁目2番1号

電話:03-5228-6341

資本金:4億7,500万円

事業概要:バイオ医薬品、遺伝子治療・細胞治療、バイオマテリアル・医療機器、臨床診断検査

代表者:中村良和

URL:<http://www.genzyme.co.jp/>

設立:昭和62年9月1日

従業員数:120名

SBIR補助金等概要

SBIR補助金等名:希少疾病用医薬品(オーファンドラッグ)等試験研究助成金(平成15年度~17年度)

交付機関:独立行政法人医薬基盤研究所 <http://www.nibio.go.jp/>

採択テーマ: α -L-イズロニダーゼ:ムコ多糖症Ⅰ型患者の諸症状の緩和