

各 位



2017年2月23日

会社名 J C R ファーマ株式会社
代表者名 代表取締役会長兼社長 芦田 信
(東証1部 コード番号4552)
問合せ先 執行役員経営企画本部長 本多 裕
(TEL 0797-32-8591)

J-Brain Cargo®を利用した新薬（ポンペ病治療酵素製剤）開発のお知らせ

当社は、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用した、JR-141（血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤）に続く新薬の第2弾として、ポンペ病治療酵素製剤（開発番号：JR-162（J-Brain Cargo®適用遺伝子組換え酸性 α -グルコシダーゼ））の開発に着手することを本日決定しましたのでお知らせいたします。

今回、当社が新たに開発に着手するポンペ病は、体内のグリコーゲンを分解する酵素（酸性 α -グルコシダーゼ）が欠損することでグリコーゲンが過剰に蓄積し、筋組織が侵され、呼吸、運動および心臓の機能障害が起こる疾患です。そして、従来の酵素補充療法においては十分な効果が見られないなどの課題がありました。J-Brain Cargo®は、血液脳関門を通過するだけでなく、これまで薬を届けることが難しいとされていた骨格筋にも効果的に薬を届けられる特徴を有しております。

JR-162は、マウスやサルを用いた動物試験において、骨格筋、心筋および中枢神経系組織への良好な移行性を示し、またポンペ病モデルマウスを用いた薬効試験では、既存の酵素製剤と比較して、これらの組織に蓄積したグリコーゲンの顕著な減少効果が確認されました。今後、具体的な開発計画の策定を行い、早期の臨床試験開始を目指します。

当社は、JR-141やJR-162に留まらず、病態発症に中枢神経系の障害が関与している他のライソゾーム病に対しても、J-Brain Cargo®を適用した治療酵素の開発を順次行い、希少疾病治療薬のスペシャリティファーマとして、より多くの患者様の治療に貢献できるように取り組んでまいります。

なお、本件に関する今期当社連結業績に与える影響は軽微であります。当社では将来、売上に寄与するものと期待しております。

以 上

【語句の説明】

ポンペ病

ライソゾーム病の一種であるポンペ病は、酸性マルターゼ欠損症とも呼ばれ、体内のグリコーゲンを分解するライソゾーム酵素（酸性 α -グルコシダーゼ(GAA)）が欠損することにより、グリコーゲンが蓄積し、心臓や骨格筋が侵されます。乳児型・小児型・成人型の3つのタイプに分類され、乳児型では筋緊張低下による運動発達の遅れ、哺乳困難、発育不全が主症状で、進行すると呼吸不全、心不全により急速に悪化します。小児・成人型では、近位筋力低下、頭痛に始まり、進行するにつれて歩行障害、更には起立障害、呼吸筋の機能不全による呼吸困難を呈します。