

各 位



2017年3月31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)

血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤（開発番号：JR-141）の  
第I/II相臨床試験開始のお知らせ

当社は、血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用した血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤（開発番号：JR-141（血液脳関門通過型遺伝子組換えイズロン酸2スルファターゼ））の第I/II相臨床試験において、昨日、投与が開始されましたことをごお知らせいたします。

第I/II相臨床試験では、ハンター症候群患者様を対象として、JR-141を静脈内投与したときの安全性と探索的有効性、体内における薬物動態などを評価いたします。なお、本試験結果については、今秋に明らかになる見込みです。

既存の酵素製剤は、血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経症状に効果が期待できないという課題があります。そのため中枢神経症状に対して、脳室内投与や髄腔内投与などの特殊な投与方法も試みられておりますが、患者様にとって負担が大きいなどの問題が懸念されております。

一方、JR-141は、マウスやサルを用いた動物試験で、静脈内投与による脳への薬剤移行や中枢神経系障害の改善効果において非常に良好な結果を示しております。

当社は、JR-141や2月に発表しましたJR-162（J-Brain Cargo®適用遺伝子組換え酸性α-グルコシダーゼ：ポンペ病治療酵素製剤）に引き続き、病態発症に中枢神経系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、本件に関する今期および来期の当社連結業績への影響は、軽微であります。

以 上