

各 位



2017年12月13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相臨床試験の速報結果についてのお知らせ

当社が本年3月に開始いたしました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相臨床試験について、速報結果が得られましたので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体内における薬物動態に加えて、探索的に有効性の評価を行いました。

その結果、安全性に問題はなく、さらにJR-141の静脈内投与（4週間）により中枢神経系症状のマーカーである脳脊髄液中のヘパラン硫酸が全例において減少し、その減少率は平均約30%でした。この減少率は、これまでに実施した動物試験での結果と同等であったことから、静脈内投与した薬剤が血液脳関門を通過して中枢神経系に作用した結果であると推定され、JR-141の治療により、これまで酵素補充療法では改善しないとされていた中枢神経系症状への効果が期待できます。

本試験結果の詳細な内容については、来年2月に米国カリフォルニア州サンディエゴで開催されます14th Annual *WORLD Symposium*TM 2018*で前臨床試験の内容と共に発表される予定です。また、当社は、本試験結果を受け、2018年中に第II/III相臨床試験の開始を予定しております。

当社は、JR-141や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）、そして10月に発表しましたJR-171（血液脳関門通過型遺伝子組換え α -L-イズロニダーゼ：ハーラー症候群治療酵素製剤）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、本件に関する今期当社連結業績への影響は軽微であります。

* *WORLD Symposium*TM

このシンポジウムは、毎年米国で行われるライソゾーム病について基礎研究から臨床応用をテーマとする国際学会です。（<http://www.worldsymposia.org/>）

以 上