

各 位



2018年3月27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  
厚生労働省「先駆け審査指定制度」の指定について

当社が現在開発を進めております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））について、本日厚生労働省より先駆け審査指定制度の対象品目に指定されましたのでお知らせいたします。

JR-141においては、昨年実施した第II/III相臨床試験の結果、安全性に問題はなく、さらに薬剤が血液脳関門を通過して中枢神経系に作用したと推定される良好な結果が得られました。今後、2018年中に第II/III相臨床試験を開始し、2019年には世界に先駆けて日本で製造販売承認申請をする予定です。

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。

以上

#### 【語句の説明】

##### 先駆け審査指定制度

日本の患者に世界で最先端の治療薬を最も早く提供することを目指し、一定の要件を満たす画期的な新薬等について、開発の比較的早期の段階から先駆け審査指定制度の対象品目に指定し、薬事承認に係る相談・審査における優先的な取扱いの対象とするとともに、承認審査のスケジュールに沿って申請者における製造体制の整備や承認後円滑に医療現場に提供するための対応が十分になされることで、更なる迅速な実用化を図るものです。なお、先駆け審査指定制度に指定されるためには次の指定基準を満たす必要があります。

1. 治療薬の画期性
2. 対象疾患の重篤性
3. 対象疾患に係る極めて高い有効性
4. 世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思