

各 位



2018年6月1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  
治験計画届受理および第Ⅲ相臨床試験開始予定のお知らせ

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、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に第Ⅲ相臨床試験の治験計画届を提出し、所定の調査が終了しましたのでお知らせいたします。第Ⅲ相臨床試験は、今年8月に開始を予定しております。

第Ⅲ相臨床試験では、20名のハンター症候群患者にJR-141を12か月間投与し、脳脊髄液中のバイオマーカーを主要評価項目として、中枢神経系症状及び全身症状の変化について評価を行います。

昨年に実施した第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験では、安全性に問題はなく、バイオマーカーのデータから、中枢神経系症状の改善ならびに既存の遺伝子組換えイズロン酸2スルファターゼ酵素製剤に劣らない全身症状への効果が示唆されました。これらの結果を踏まえ、今年3月に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。今後、第Ⅲ相臨床試験を実施した後、2019年度中に世界に先駆けて日本での製造販売承認申請を行う予定としております。さらに、グローバル展開の第一歩として、今年6月にブラジルでの第Ⅱ相臨床試験開始を予定しております。その他の地域につきましても、具体的に検討を進めてまいります。

今後、当社は、JR-141に引き続き、病態形成に中枢神経系障害が関与している他のライソゾーム病に対して、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、より多くの患者の皆さん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。

以 上