

2018年9月14日

各 位



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（サンフィリップ症候群A型治療酵素製剤）  
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®**」を適用した新薬の開発として、新たにサンフィリップ症候群A型治療酵素製剤〔開発番号：JR-441（血液脳関門通過型遺伝子組換えヘパランN-スルファターゼ）〕の開発に着手することを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サンフィリップ症候群A型（ムコ多糖症IIIA型）は、ハンター症候群やハーラー症候群と同じムコ多糖症の一種であり、ヘパラン硫酸が蓄積することにより、中枢神経症状、睡眠障害、肝脾腫、痙攣発作などが起きる疾患です。現段階で有効な治療法は無く、新しい治療法の開発が望まれています。

JR-441は、動物試験において、末梢臓器のみならず脳への薬剤移行や脳内に蓄積したヘパラン硫酸の減少効果でも良好な結果を示しました。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、ライソゾーム病治療薬の開発に注力しており、「**J-Brain Cargo®**」を適用した画期的な新薬の開発を順次行っております。JR-441は、JR-141（ハンター症候群治療酵素製剤）、JR-162（ポンペ病治療酵素製剤）、JR-171（ハーラー症候群治療酵素製剤）に続く、「**J-Brain Cargo®**」を適用した新薬として開発を進めてまいります。今後も、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】

### ライソゾーム病

厚生労働省指定難病。小児慢性特定疾患。ライソゾームと呼ばれる細胞内小器官内で、加水分解酵素や酸素のトランスポーターである膜タンパク等が遺伝子的に欠損または変化することによって、分解できなくなった基質がライソゾーム内に蓄積し、その結果、細胞や組織に障害が生じる疾患。症状は蓄積する物質によって様々であり、ほとんどの疾患で中枢神経症状を伴う。

### サンフィリッポ症候群A型（ムコ多糖症IIIA型）

厚生労働省指定難病。ライソゾーム病の中の疾患群であるムコ多糖症の一種であり、全身の細胞のライソゾーム内において、ヘパランN-スルファターゼが生まれつき不足あるいは欠損していることにより生じる。主な症状として、中枢神経症状、睡眠障害、肝脾腫、痙攣発作などが挙げられる。サンフィリッポ症候群は4つの亜型（A～D型）に分けられ、現在、有効的な治療法はない。