

2018年10月19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)

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）  
米国食品医薬品局よりオーファンドラッグ指定のお知らせ

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ゾロン酸2スルファターゼ）〕について、この度、米国食品医薬品局（FDA）よりオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）の指定を受けましたのでお知らせいたします。

国内においては、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。現在、第III相臨床試験を進めており、2020年には、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月からブラジルでの第II相臨床試験を開始しております。今回、FDAよりオーファンドラッグ指定を受けたことで、米国やその他の地域につきましても、具体的な開発計画の検討を進めてまいります。

当社は、JR-141に続いて、J-Brain Cargo®を適用した他のライソゾーム病治療酵素製剤の開発を順次行っております。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への影響は軽微であります。

以 上

【語句の説明】

オーファンドラッグ指定

米国FDAが、米国における患者数20万人以下の希少疾病の新薬開発を促進するための制度。米国で7年間の市場独占権が与えられるほか、政府からの補助金支給や臨床研究費用の税額控除といった支援を受けられる。