

2018年12月28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）
第III相臨床試験の患者登録完了に関するお知らせ

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エイズロン酸2スルファターゼ）〕の国内での第III相臨床試験について、この度、患者登録を完了しましたのでお知らせいたします。

本臨床試験は今年8月に開始し、ハンター症候群患者にJR-141を12ヵ月間投与し、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っております。本試験の速報結果については、得られ次第お知らせいたします。

JR-141は国内において、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、2020年には製造販売承認申請を行う予定としております。また、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。さらに、今年10月にFDA（米国食品医薬品局）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おります。

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