



2020年10月30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  
(東証第1部 コード番号 4552)  
問合せ先 上席執行役員経営企画本部担当 本多 裕  
(TEL 0797-32-1995)

血液脳関門通過型ムコ多糖症 I 型治療酵素製剤 (開発番号 : JR-171)  
グローバル第 I/II 相臨床試験における投与開始のお知らせ

当社は、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用した、ムコ多糖症 I 型（ハーラー、ハーラー・シャイエ、シャイエ症候群）治療酵素製剤 [開発番号 : JR-171 (血液脳関門通過型遺伝子組換え  $\alpha$ -L-イズロニダーゼ)] のグローバル第 I/II 相臨床試験において、本年 10 月 28 日に、第 1 例目となる被験者の方に治験薬が投与されたことをご知らせいたします。

ムコ多糖症 I 型はライソゾーム病の一種であり、幅広い症状がある中、既存の治療酵素製剤は血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経系症状に対し効果が期待できないことが重大な課題となっています。

グローバル第 I/II 相臨床試験では、ムコ多糖症 I 型患者を対象に JR-171 を最大 12 週間投与し、主要評価項目である安全性に加え、副次評価項目として探索的有効性および体内薬物動態の評価を行います。当該試験は当社にとって初となるグローバル臨床試験であり、既に投与が開始された日本の他、ブラジル・米国においても実施いたします。ブラジルでは現地における希少疾病治療薬の枠組みのもと治験開始が承認されており、米国でも治験開始に向け準備を進めております。

当該試験の概要につきましては、[clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov) (Identifier : [NCT04227600](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04227600)) をご覧ください。

当社は JR-171 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。希少疾病領域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