



2021年2月10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)

**血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤（開発番号：JR-141）
米国におけるグローバル臨床第3相試験開始承認のお知らせ**

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II型（ハンター症候群）治療酵素製剤〔国際一般名：pabinafusp alfa 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、この度、米国食品医薬品局（FDA）に臨床第3相試験のIND（investigational new drug application）が受理され、当該試験の開始が承認されたことをお知らせいたします。

当該試験は、グローバル臨床試験として、米国に続き、ブラジル・欧州においても試験開始に向けた準備を進めております。

ハンター症候群は、ライソゾーム病の一種であり、ムコ多糖を体内で分解する酵素（Iduronate-2-sulfatase）の欠損により発症するX染色体劣性遺伝性疾患です。中枢神経症状、関節病変、低身長、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫など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。

当該試験では、標準治療薬対照並行群間比較試験として、50名のハンター症候群患者を対象にJR-141または既存治療薬を最大105週間投与します。当該試験の概要につきましては、clinicaltrials.govをご覧ください。

JR-141は、非臨床試験結果および日本・ブラジルにおける臨床試験結果から総合的に示されたエビデンスをもとに、2020年9月に日本において、同年12月にブラジルにおいて製造販売承認申請を行いました。また、2018年10月に米国食品医薬品局（FDA）より、2019年2月には欧州医薬品庁（EMA）より、2020年9月に厚生労働省（MHLW）よりオーファンドラッグの指定を受けています。

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