



2021年2月10日

各 位



会社名 JCR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）
米国食品医薬品局よりファストトラック指定のお知らせ**

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（以下、BBB）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）よりファストトラック制度の指定を受けましたのでお知らせいたします。

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BBB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。

JR-141は、マンノース-6-リン酸受容体を介した作用に加え、当社独自のBBB通過技術J-Brain Cargo®によりトランスフェリン受容体を介してBBBを通過させることで、中枢神経症状に対する作用が期待されています。

現在、米国・ブラジル・欧州においてJR-141のグローバル臨床第3相試験開始に向けた準備を進めており、FDAより試験開始が許可されています。

今回のファストトラック指定により、米国におけるJR-141の臨床開発の迅速化、優先審査や早期承認が期待されます。

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。

【語句の説明】

FDA ファストトラック制度

重篤な疾患を治療するために、アンメットメディカルニーズを満たす治療薬の開発を促進し、審査を迅速化することを目的とした制度。ファストトラック制度に指定された医薬品は、開発計画について FDA と頻繁にミーティングを行うほか、関連する基準を満たす場合に優先審査および早期承認の対象となる。

以 上