



2021年2月12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）  
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、独自の血液脳関門（以下、BBB）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）〕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。

JR-171 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、グローバル臨床第 1/2 相試験を実施しており、日本では 2020 年 10 月に第 1 例目となる被験者の方に治療薬が投与されました。また、米国・ブラジルにおいても治験開始が予定されています。

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。

**【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。

### 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）について

ライソゾーム病の一種で、ムコ多糖を体内で分解する酵素（ $\alpha$ -L-イズロニダーゼ）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患です。全世界における患者数は約 3,600 人と推定され（当社調べ）、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。

以 上