



2021年3月30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)

**血液脳関門通過型ムコ多糖症I型治療酵素製剤（開発番号：JR-171）
欧州医薬品庁よりオーファンドラッグ指定のお知らせ**

当社は、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 α -L-イズロニダーゼ）〕について、この度、欧州医薬品庁（EMA）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、本年2月に米国食品医薬品局（FDA）よりオーファンドラッグの指定を受けております。現在はグローバル臨床第I/II相試験を実施しており、日本では2020年10月に、ブラジルでは2021年3月に被験者への治験薬投与が開始されました。また、米国においても治験開始に向けた取り組みを順調に進めております。当該試験の概要につきましては、clinicaltrials.govをご覧ください。

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引き続き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（EMA）について

EMAが、EU域内における患者の発症率が1万人に5人以下である希少疾病の新薬開発を促進するための制度。指定されると、上市後の10年間の市場独占権や科学的助言などの支援を受けられる。

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（ α -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。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。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る。

以 上