



2021年5月19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)

遺伝子組換えムコ多糖症 II 型治療剤「イズカーゴ®点滴静注用 10mg」
日本における薬価基準収載・販売開始のお知らせ



イズカーゴ®点滴静注用 10mg

当社は、遺伝子組換えムコ多糖症 II 型治療剤「イズカーゴ®点滴静注用 10mg」（開発番号：JR-141、一般名：パピナフスプ アルファ（遺伝子組換え））について、本日付で薬価基準に収載され販売を開始しましたことをお知らせいたします。

当該製品は、ライソゾーム病の一種であるムコ多糖症 II 型（ハンター症候群）に対して、全身症状だけでなく血液脳関門を通過し、脳実質細胞への直接の作用を発揮する世界で初めての点滴静注による医薬品です。脳実質細胞への直接の作用により、中枢神経系症状の改善または進行の抑制が期待できます。

なお、当該製品は現在、ブラジル国家衛生監督庁（ANVISA）に製造販売承認申請中であり、また、米国・ブラジル・欧州（イギリス、ドイツ、フランス）におけるグローバル臨床第3相試験の開始に向けた準備を進めております。

当社は引き続き、希少疾病治療薬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、期首計画に織込み済みであるため、今期の連結業績予想の数値から変更はございません。

<イズカーゴ[®]点滴静注用 10mg について>

- ・販売名 : イズカーゴ[®]点滴静注用 10mg
- ・一般名 : パピナフスプ アルファ (遺伝子組換え)
- ・効能・効果 : ムコ多糖症 II 型
- ・用法・用量 : 通常、パピナフスプ アルファ (遺伝子組換え) として、1 回体重 1kg あたり 2.0mg を週 1 回、点滴静注する。
- ・承認取得日 : 2021 年 3 月 23 日
- ・薬価基準収載日 : 2021 年 5 月 19 日
- ・薬価 : 251,030 円/10mg1 瓶

【語句の説明】

ライソゾーム病

細胞内のライソゾームと呼ばれる小器官において、不要物質を処理する役割を持つ酵素や、生体膜を通してそれら不要物質を輸送するタンパク質等が、遺伝子異常により欠損や発現低下していることにより、本来代謝されるべき物質が過剰に蓄積し、細胞や組織に障害が生じる疾患群。症状は蓄積する物質によって様々であり、その多くの疾患で中枢神経症状を伴う。

ムコ多糖症 II 型 (ハンター症候群)

厚生労働省指定難病。小児慢性特定疾病。ライソゾーム病の一種であり、遺伝子異常により全身の細胞においてライソゾーム内の特定の加水分解酵素 (Iduronate-2-sulfatase) が欠損又は働きが低下することでムコ多糖 (グリコサミノグリカン) が過剰蓄積する X 染色体連鎖劣性遺伝性疾患。発症頻度は男児約 5 万人に 1 人とされており*、現在日本では約 250 症例と推測されている。(当社調べ)

主な症状として、関節拘縮や骨変形、肝臓・脾臓の肥大、呼吸障害、弁膜疾患等、幅広い症状が挙げられるが、特に中枢神経症状が課題となっている。

【参考】

*ムコ多糖症 (MPS) II 型診療ガイドライン 2019

以 上

【JR-141に関する文献】

・ Sonoda, et al. A Blood-Brain-Barrier-Penetrating Anti-human Transferrin Receptor Antibody Fusion Protein for Neuronopathic Mucopolysaccharidosis II. Mol Ther. 2018; 26(5): 1366-74.

・ Morimoto, et al. Clearance of heparin sulfate in the brain prevents neurodegeneration and neurocognitive impairment in MPS II mice. Mol. Ther. 2021; <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2021.01.027>

- Yamamoto et al. Nonclinical Safety evaluation of pabinafusp alfa, an anti-human transferrin receptor antibody and iduronate-2-sulfatase fusion protein, for the treatment of neuronopathic mucopolysaccharidosis type II. *Mol Genet Metab Rep.* 2021; <https://doi.org/10.1016/j.ymgmr.2021.100758>
- Okuyama, et al. Iduronate-2-sulfatase with Anti-human Transferrin Receptor Antibody for Neuropathic Mucopolysaccharidosis II: A Phase 1/2 Trial. *Mol Ther.* 2020; 27(2): 456-464.
- Okuyama, et al. A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa, IDS Fused with Anti-Human Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in MPS-II. *Mol Ther.* 2020; 29(2): 671-679.
- Giugliani, et al. Iduronate-2-sulfatase fused with anti-human transferrin receptor antibody, pabinafusp alfa, for treatment of neuronopathic and non-neuronopathic mucopolysaccharidosis II: Report of a phase 2 trial in Brazil. *Mol Ther.* 2021; <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2021.03.019>