2022年1月21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　執行役員管理本部長 本 多　　裕
（ＴＥＬ　0797-32-1995）

血液脳関門通過型ムコ多糖症 IIIA 型治療酵素製剤（開発番号：JR-441）欧州委員会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 IIIA 型（サンフィリッポ症候群 A 型）治療酵素製剤［開発番号：JR-441（血液脳関門通過型遺伝子組換えヘパラン N-スルファターゼ)］について、この度、欧州委員会（EC）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-441 はオーファンドラッグに指定されたことで、今後、欧州（EU）領域における開発促進のための様々なインセンティブを受けることができます。

ムコ多糖症 IIIA 型はライソゾーム病の一種であり、幅広い症状を示す中、特に中枢神経障害が急速に進行します。ムコ多糖症 III 型のうち、A 型が比較的重症であると言われています。

JR-441 はムコ多糖症 IIIA 型の欠損酵素であるヘパラン N-スルファターゼに血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®を適用させた分子です。中枢神経症状に対する作用も発揮することで、ムコ多糖症 IIIA 型の重要なアンメット・メディカルニーズに応えることが期待されます。

現在、2023 年上半期のグローバル臨床試験開始に向けた取り組みを進めております。JR-441 は当社のライソゾーム病治療薬開発ポートフォリオのうち、JR-141（対象疾患：ムコ多糖症 II 型）および JR-171（対象疾患：ムコ多糖症 I 型）に続く 3 番目の臨床開発段階にある開発品となります。

当社は、JR-441 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（2022 年 3 月期）当社連結業績への影響は軽微であります。

オーファンドラッグ（EU）について

EU 領域内における患者数が 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。指定されると経費及び税の一部免除や、上市後の 10 年間の市場独占権、科学的助言などの支援を受けられる。

サンフィリッポ症候群（ムコ多糖症 III 型）について

ムコ多糖を体内で分解する酵素の欠損により発症する常染色体劣勢遺伝性疾患。欠損する酵素の種類により、4 つの亜型（A 型、B 型、C 型、D 型）に分類される。ヘパラン硫酸が蓄積し、症状として特に中枢神経障害が急速に進行し、神経発達は 2、3 歳をピークとしてその後退行し、7～8 歳までに言語は消失する。進行すると、睡眠障害、肝脾腫、けいれん発作の症状がみられる。

以　上