



2022年3月28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 執行役員 管理本部長 本多 裕  
(TEL 0797-32-1995)

### 武田薬品と、ライソゾーム病に対する J-Brain Cargo<sup>®</sup>技術を用いた遺伝子治療に関する共同研究開発およびライセンス契約締結のお知らせ

当社は、本日、武田薬品工業株式会社（本社：大阪市中央区、代表取締役社長 CEO：クリストフ・ウェバー、以下、武田薬品）と、ライソゾーム病に対して、JCR 独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo<sup>®</sup>」を適用した遺伝子治療に関する共同研究開発および独占的なライセンス契約を締結しましたので、お知らせいたします。

本契約により、両社は、ライソゾーム病を優先対象とした遺伝子治療の共同研究を開始いたします。また、武田薬品は、研究期間中に希少疾病もしくは非希少疾病領域における疾患をその対象として追加できるオプション権を保有します。本共同研究で見いだされた新たな遺伝子治療の今後の開発および事業化は武田薬品が実施いたします。

本契約により、JCR は、武田薬品から契約一時金を受領するほか、研究開発、販売に関するマイルストーンフィーおよび製品化後の売上高に応じたロイヤルティを受け取る権利を有します。また、武田薬品は、ライソゾーム病以降の対象疾患の追加ごとに対価を JCR に支払います。

今回の契約により、当社は J-Brain Cargo<sup>®</sup>を遺伝子治療に適用する可能性を探ることができ、また、ライソゾーム病に限らず、多くの疾患にもその可能性を評価することで新たな治療選択肢を見出すことを目指します。

JCRの代表取締役会長兼社長の芦田 信は、次のように述べています。

「JCRは複数のモダリティにおける新たな価値の創出に向けた取り組みを加速しています。今回の武田薬品との契約により、遺伝子治療という研究分野において新たなシナジーが生まれます。遺伝子治療研究に対し高い評価を得ている武田薬品と共同研究できることを大変嬉しく思い、このシナジー効果によって、私たちは一日でも早くこの治療法を確立し発展させることで、より多くの患者の皆さんに貢献できることを期待しております。」

武田薬品の希少疾患創薬ユニットヘッドのMadhu Natarajanは次のように述べています。「武田薬品は、希少疾患を抱える患者さんの治療選択肢を改善する最大の可能性を科学的に示すため、パートナーとの研究提携や社内の専門知識を活かして新規アプローチの推進に取り組んでいます。JCR独自の血液脳関門通過技術を、武田薬品が有する遺伝子治療開発の基盤と組み合わせることで、中枢神経にまで広く分布するように設計された遺伝子治療のポートフォリオが構築されます。これはライソゾーム病における体細胞性および神経細胞性症状の進行を停止、または大幅に減速させる可能性を有します。」

なお、本件に関する今期（2022年3月期）の当社連結業績への影響は織込み済みです。

ニュースリリースは株主・投資家の皆さまや報道関係者へ、当社の事業に関する最新情報の提供を目的としたものです。本資料に含まれている医薬品（開発中の物を含む）に関する情報は宣伝広告、医学的アドバイス等を目的とするものではありません。

以 上