



2022年10月31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
(コード番号 4552 東証プライム市場)
問合せ先 上席執行役員管理本部長 本多 裕
(TEL 0797-32-1995)

J-Brain Cargo®を適用した新薬 ーフコシドーシス治療薬ー 開発着手のお知らせ

当社は、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用した新薬の開発として、新たにフコシドーシス治療薬〔開発番号：JR-471（血液脳関門通過型遺伝子組換え α -L-フコシダーゼ）〕の開発に着手することを決定しましたので、お知らせいたします。

今回、当社が新たに着手するフコシドーシスは、ライソゾーム病の一種で、遺伝子変異により糖たんぱく質の代謝酵素（ α -フコシダーゼ）の活性が低下し、フコースを含む糖鎖や糖たんぱく質が全身に蓄積する常染色体劣性遺伝性疾患です。進行性の精神運動発達遅滞や筋緊張低下、内臓肥大、骨格異常など様々な症状を呈します。

本疾患は、急速な進行を示し小児期に生命を脅かす重篤な合併症を引き起こすタイプと、思春期に発症し進行は緩徐であるものの、成人期に重篤な合併症を引き起こす軽症型に分類することができます。以前はI型、II型と分類されていましたが、近年では、幅広く様々な発現をする”疾患スペクトラム”であると考えられています。I型は発症が早く急速な進行を呈する重症型、II型は軽症型です。有病率は200万人に1人未満と極めてまれですが、世界において承認されている標準治療薬は無く、新薬の開発が望まれている超希少疾病の1つです。

当社は、イズカーゴ®により臨床的に実証された J-Brain Cargo®技術を適用した本剤を用いた初期的な動物試験において、静脈内投与後の脳移行性および脳における原因基質の減少作用を確認しました。これらの試験結果は世界に先駆けて日本で承認されたムコ多糖症 II 型治療剤イズカーゴ®を始めとする他のライソゾーム病開発品目と同様であることより、本剤においても十分に薬効が期待でき、新たな治療薬を患者の皆さまに届けることができると確信しております。

当社は、独自の基盤技術である J-Brain Cargo®を適用したライソゾーム病治療薬の開発を順次行っております。今後も、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研究開発を加速してまいります。

なお、本件に関する 2023 年 3 月期連結業績への影響は軽微であります。

ライソゾーム病

厚生労働省指定難病。小児慢性特定疾病。ライソゾームと呼ばれる細胞内小器官内で、加水分解酵素や酵素のトランスポーターである膜タンパク等が遺伝的に欠損または変化することによって、酵素活性が低下して分解できなくなった基質がライソゾーム内に蓄積し、その結果、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さまざまであり、その多くの疾患で中枢神経症状を伴う。

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