

2023年7月11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  
(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)

**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)  
グローバル臨床第 I/II 相試験 開始承認のお知らせ**

当社は、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo<sup>®</sup>」を適用した、ムコ多糖症 IIIA 型 (サンフィリップ症候群 A 型) 治療酵素製剤 [開発番号: JR-441 (血液脳関門通過型ヘパラン N-スルファターゼ)] について、この度、ドイツ連邦共和国規制当局 Paul-Ehrlich Institute (PEI) に第 I/II 相試験の CTA (clinical trial application) が受理され、当該試験の開始が承認されたことをお知らせいたします。

ムコ多糖症 IIIA 型は、ライソゾーム病の一種であり、幅広い全身症状と重度の中枢神経障害を呈する疾患で、現在、承認されている治療法はありません。ムコ多糖症 III 型において、A 型は進行が速く、また、日本における患者数はごく少数ですが、グローバルでは最も一般的な型であると考えられています。当社は前臨床試験において、JR-441 がムコ多糖症 IIIA 型に関連する症状に対する効果を示すことを確認しております。

PEI での CTA 受理を受け、当社は 2023 年度上半期中の第 I/II 相試験の患者リクルートの開始を目指し、現在、治験プロトコルの最終調整を行っています。

当社は独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo<sup>®</sup>」を保有する製薬企業として、中枢神経症状を呈するライソゾーム病治療薬の研究開発に注力しております。JR-441 は、JR-141 (対象疾患: ムコ多糖症 II 型)、JR-171 (対象疾患: ムコ多糖症 I 型) に続くグローバル臨床試験を行う開発品であり、2027 年度末までにさらに 4 品目の臨床試験入りを目指しております。

なお、本件に関する今期 (2024 年 3 月期) 当社連結業績への影響は軽微であります。

**サンフィリップ症候群 (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。ヘパラン硫酸の蓄積により、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、神経行動異常といった症状がみられる。

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