

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)

血液脳関門通過型ムコ多糖症 I 型治療酵素製剤（開発番号：JR-171）
グローバル臨床第 I/II 相試験を含む 52 週中間データのお知らせ

ー 2023 年 10 月 4 日にデータ説明の WEB ミーティングを実施 ー

当社は、独自の血液脳関門（以下、BBB）通過技術「J-Brain Cargo[®]」を適用したムコ多糖症 I 型（ハーラー、ハーラー・シャイエ、シャイエ症候群、以下、MPS I 型）治療酵素製剤 JR-171（国際一般名：lepunafusp alfa）のグローバル臨床第 I/II 相試験を含めた 52 週間の中間データを発表いたします。現在、MPS I 型を対象として承認された BBB 通過型の酵素補充療法はありません。

これまでに取得した安全性データから、JR-171 は MPS I 型患者の長期治療に適することがわかりました。また、治療期間や被験者数から結論付けることはできないものの、JR-171 の投与が中枢神経症状を呈する患者に対して有益な効果をもたらすことを示唆するデータを取得しています。さらに、末梢のバイオマーカーは、既存の酵素補充療法からの切り替え症例においては維持、未治療の 1 症例においては顕著に低下しました。これらのデータは、JR-171 が全身症状に対して既存の酵素補充療法と類似した有効性を有することを示唆しています。さらに、全ての被験者で中枢神経症状のバイオマーカーである脳脊髄液中の基質が減少しました。

治験責任医師である UCSF ベニオフ・チルドレンズ・ホスピタル・オークランドの Paul Hartz 医師は次のように述べています。

「JR-171 による治療を受けた被験者のコミュニケーション、実行機能および、その他の日常生活における重要な側面において変化が観察されたことは心強いです。これらのデータに基づくと、JR-171 は MPS I 型患者の身体症状と中枢神経症状の両方を治療できる可能性があり、それこそが MPS I 型患者が求めていることです。」

当社は、2023 年 10 月 4 日に詳細な 52 週中間データを説明する WEB ミーティング（機関投資家・アナリスト対象）を開催予定です。WEB ミーティングにご参加希望の方は、[こちらのリンク](#)からご登録ください。

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す。

JR-171 について

ムコ多糖症 I 型の欠損酵素である α -L-イズロニダーゼに血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®を適用させた分子（国際一般名：lepunafusp alfa）であり、マンノース-6-リン酸受容体を介した作用に加え、トランスフェリン受容体を介して血液脳関門を通過することで、全身症状に加え、中枢神経症状に対する効果が期待できる。

ブラジル、日本、アメリカの複数の医療機関で、二つの期からなる第 1/2 相非盲検試験を実施。第 1 期では成人の MPS I 患者を対象として 4 週間の用量漸増を行い、第 2 期では小児患者も含めて JR-171 の 2 用量を比較する。本試験の主な目的は、MPS I 型患者における JR-171 の長期投与の安全性の確立、薬物動態学的データの取得、臨床的なエンドポイントとバイオマーカーによる全身症状に対する治療効果の評価、及び MPS I 型の中枢神経症状に対する有効性を探索することである。

2023 年 2 月に米国で開催された **WORLD Symposium™2023** にて、JR-171 の 12 週間の投与により、全ての被験者で脳脊髄液中の蓄積基質の濃度が減少したこと、ならびに血清・尿中の蓄積基質の維持または減少が認められたことを発表した。

52 週間の中間データにおいて、JR-171 投与と関係のある重篤な有害事象（SAE）は報告されなかった。また、有害事象の発生率ならびに抗薬物抗体の形成は、既存の酵素補充療法薬と同程度であった。また、安全性プロファイルに投与量による大きな差は認められなかった。

MPSI 型における重症例は、ライソゾーム病で唯一、標準治療として造血幹細胞移植がおこなわれる。表現型に関わらず MPSI 型には満たされない医療ニーズが存在している。

J-Brain Cargo®技術について

当社が独自に開発した血液脳関門通過技術であり、中枢神経系にバイオ医薬品を送達することを可能とする。本技術を世界で初めて適用した医薬品として、ムコ多糖症 II 型治療薬 イズカーゴ®（国際一般名：pabinafusp alfa）が日本で実用化されている。本技術を適用した JR-171 は現在、グローバル臨床開発を進めており、さらに本技術を適用するその他のライソゾーム病治療薬に関しても、2028 年度までに 5 品目の臨床試験入りを目指している。

ムコ多糖症 I 型（ハーラー、ハーラー・シャイエ、シャイエ症候群）について

ライソゾーム病の一種で、ムコ多糖を体内で分解する酵素（ α -L-イズロニダーゼ）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。全世界における患者数は約 3,000 人と推定され（当社調べ）、中枢神経症状、関節病変、低身長、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫など幅広い症状がある。既存の治療酵素製剤は血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経症状に対し効果が期待できないことが重大な課題となっている。

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