



2023年12月14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)

**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)  
米国食品医薬品局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<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、米国食品医薬品局 (FDA) 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、2022 年 1 月には欧州委員会 (EC) よりオーファンドラッグの指定を受けております。現在はグローバル臨床第 I/II 相試験を行っており、2023 年 10 月には、第 1 例目となる被験者の方に治験薬が投与されました。グローバル臨床第 I/II 相試験の概要は、[ClinicalTrials.gov \(Identifier: \[NCT06095388\]\(https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06095388\)\)](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06095388) をご覧ください。

当社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。  
「JR-441 が FDA のオーファンドラッグ指定を受けたことを嬉しく思います。この指定は、病気とともに生きる患者の皆さんのために、新たな治療法の開発を進められることを表しています。現在、ムコ多糖症 IIIA 型に対する治療選択肢は確立されていません。我々は、JR-441 の臨床開発を進めるとともにこの重要な治療選択肢をムコ多糖症 IIIA 型の患者の皆さんにできるだけ早く、安全にお届けできることを期待しています。」

JR-441 がオーファンドラッグに指定されたことで、今後、米国において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。

当社は、J-Brain Cargo<sup>®</sup> 技術を適用した酵素補充療法の強固な開発パイプラインを有しています。今後も、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 (2024 年 3 月期) 当社連結業績への影響は軽微であります。

#### 【語句の説明】

##### オーファンドラッグ指定（米国）

米国 FDA が、米国における患者数 20 万人未満の希少疾病の治療、予防、診断のために、新薬開発を促進するための制度。この制度により、スポンサーは米国で 7 年間の市場独占権が与えられるほか、政府からの補助金支給や臨床研究費用の税額控除、申請手数料の免除といった支援を受けられる。

##### ムコ多糖症 III 型（サンフィリップ症候群）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ことが多い。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

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。