



2023年12月20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)

アレクシオン社と J-Brain Cargo®技術を用いた核酸医薬品の創製に関する 共同研究、選択権およびライセンス契約締結のお知らせ

～希少疾病領域にて、ターゲット組織への効率的送達を可能とする
革新的な核酸医薬品の創製を目指す～

当社は本日、アレクシオン・アストラゼネカ・レアディーズ（以下、アレクシオン社）と、当社独自の血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®を適用し、ターゲット組織への送達を可能とする新規の核酸医薬品創製を目的とした共同研究、選択権および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。

今回の契約にもとづき、アレクシオン社は前臨床開発のために、J-Brain Cargo®を適用する、希少疾病に対する標的を3つまで選択することができます。前臨床開発後、アレクシオン社は医薬品候補物質を開発し商業化するオプション権を有します。

本件は、2023年3月に公表しました J-Brain Cargo®適用の神経変性疾患治療薬に関する共同研究、選択権およびライセンス契約に次ぐ、当社とアレクシオン社の2つ目のパートナーシップです。（関連リリースは[こちら](#)）

本契約により、当社は、アレクシオン社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ロイヤルティを受領する権利を有します。

当社の代表取締役会長兼社長 芦田 信は次のように述べています。
「当社とアレクシオン社の提携が核酸医薬の領域に拡大することを大変嬉しく思います。今回の契約は、J-Brain Cargo®技術が様々なモダリティに適用可能であり、また、ターゲット組織・臓器への選択的な送達が必要とされる生物学的治療薬に適した技術であることを示すものです。」

J-Brain Cargo®技術は受容体を介するトランスサイトosisにより、中枢神経領域をは

じめとしたターゲット組織に対して効率的に薬物を輸送する、当社独自のドラッグデリバリーシステムです。酵素だけでなく、核酸医薬、ナノ粒子、遺伝子治療やセルセラピー、抗体医薬領域など、様々なモダリティに応用が可能です。

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

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型治療薬イブカーゴ®（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-141（国際一般名：pabinafusp alfa）、JR-171（国際一般名：lepunafusp alfa）、JR-441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4品目の臨床試験入りを目指している。

以 上