



2022年2月3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
 (東証第1部 コード番号 4552)
 問合せ先 執行役員 管理本部長 本多 裕
 (TEL 0797-32-1995)

18th Annual WORLD Symposium™ 2022 における発表のお知らせ

当社は、18th Annual WORLD Symposium™ 2022 (カリフォルニア州サンディエゴで開催、2022年2月7日-11日 (PST)) において、下記6演題の口頭発表およびポスター発表を行いますのでお知らせいたします。これらの発表は、当社の開発パイプラインおよび、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」がライソゾーム病治療にもたらす可能性について言及するものです。

6演題のうち2演題は、ムコ多糖症II型(ハンター症候群)を対象疾患としたJR-141 [国際一般名:pabinafusp alfa (血液脳関門通過型遺伝子組換えイズロン酸-2-スルファターゼ)] の発表です。JR-141は2021年3月に日本において製造販売承認を取得しています(販売名:イズカーゴ®点静注用10mg)。この2演題は、臨床研究者によって口頭発表とポスター発表のどちらも行います。

開発番号: JR-141 (pabinafusp alfa)

(血液脳関門通過型遺伝子組換えイズロン酸-2-スルファターゼ)

対象疾患: ムコ多糖症II型(ハンター症候群)

演題名	[ポスターNo].
	発表日時
Long term efficacy and safety of pabinafusp-alfa (JR-141) in Hunter syndrome (MPS-II): 104-week data from the clinical trials in Japan and Brazil (Giugliani et al.)	[99]
	2022年2月9日(水) PM 9:00 - 10:00 PST 現地発表
Behavioral improvement in a 9-year-old patient with MPS II undergoing enzyme replacement therapy with pabinafusp alfa: A case report. (Souza et al)	[289]
	2022年2月9日(水) PM 3:00 - 5:00 PST 現地発表

また、当社はムコ多糖症 I 型（ハーラー、ハーラー・シャイエ、シャイエ症候群）を対象疾患とする JR-171（血液脳関門通過型遺伝子組換え α -L-イズロニダーゼ）に関するポスター発表を 2 演題行います。

開発番号：JR-171

（血液脳関門通過型遺伝子組換え α -L-イズロニダーゼ）

対象疾患：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）

演題名	[ポスター No].
	発表日時
Enzyme replacement with a blood-brain barrier penetrating antibody-fused α -L-iduronidase prevents neurobehavioral performance of Mucopolysaccharidosis type I mice (Morimoto et al.)	[205]
	2022 年 2 月 10 日 (木) PM 3:00 – 5:00 PST バーチャル発表
A phase I/II clinical study of intravenous administration of JR-171, a blood-brain barrier-crossing enzyme, in mucopolysaccharidosis type I: an update (Hamazaki et al.)	[113]
	2022 年 2 月 9 日 (水) PM 3:00 – 5:00 PST バーチャル発表

また、JR-141、JR-171 に加え、下記の研究開発パイプラインについてのポスター発表を行います。

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）

対象疾患：ムコ多糖症 IIIA 型（サンフィリップ症候群 A 型）

演題名	[ポスター No].
	発表日時
Efficacy of an anti-human transferrin receptor antibody-fused N-sulfoglucosamine sulfohydrolase in Mucopolysaccharidosis type IIIA mice (Inoue et al.)	[135]
	2022 年 2 月 9 日 (水) PM 3:00 – 5:00 PST バーチャル発表

非臨床研究

対象疾患：ファブリー病

演題名	[ポスター No].
	発表日時
Suppression of anti- α -GalA antibody production by blockade of T-cell costimulation in mice (Fukatsu et al.)	[89]
	2022 年 2 月 10 日 (木) PM 3:00 – 5:00 PST バーチャル発表

WORLD Symposium™ 2022 参加者でさらに情報を希望される方は、JCR の展示ブース (No.207) もしくはバーチャルブースにお越しください。

WORLD *Symposium*TM 2022

このシンポジウムは、ライソゾーム病をテーマに、研究者から医師、患者団体など、ライソゾーム病に携わる方々に、最新の治験や臨床研究の進捗などを報告するために毎年米国で行われる国際学会です。(<https://worldsymposia.org/>)

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）に関する情報は宣言広告、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