

2023年5月23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)

**ムコ多糖症 II 型治療剤「イズカーゴ®点滴静注用 10mg」
保険医が投与できる注射薬の対象薬剤への追加についてのお知らせ**

当社は、当社が製造販売し、住友ファーマ株式会社（本社：大阪市、代表取締役社長：野村 博）と共同プロモーション提携中のムコ多糖症 II 型治療剤「イズカーゴ®点滴静注用 10mg」（一般名：パピナフスプ アルファ（遺伝子組換え）、以下、本剤）について、「保険医が投与することができる注射薬」の対象薬剤（以下、対象薬剤）に追加されましたことを、お知らせいたします。

この度、令和 5 年厚生労働省告示第 194 号（令和 5 年 5 月 23 日告示）が公布され、掲示事項等告示第 10 第 1 号の「療担規則第 20 条第 2 号ト及び療担基準第 20 条第 3 号トの厚生労働大臣が定める保険医が投与することができる注射薬」に本剤が定められました。適用開始日は令和 5 年 5 月 24 日となります。

これに伴い、在宅医療において本剤の使用が可能になります。なお、対象薬剤への本剤の追加に関しては、日本ムコ多糖症患者家族の会及び日本先天代謝異常学会から厚生労働省へ要望書が提出されておりました。

ムコ多糖症 II 型を含むライソゾーム病の治療は、通常、1～2 週間に 1 回、1～4 時間程度の時間を要する点滴静注を一生継続する必要があります。定期的な通院に対する患者さんの負担は大きく、市中感染が流行する時期の通院に伴う感染リスクの懸念などが考えられます^{※1}。

対象薬剤に追加され在宅投与が可能になることで、患者さんの通院頻度を減らすことができるほか、通院による負担の軽減などから患者さんの QOL とアドヒアランスの向上が期待されます。

令和3年3月6日には当時承認されていたライソゾーム病8疾患11製剤が対象薬剤として定められており、本剤は、当社が製造販売するライソゾーム病治療薬のうち2製品目の対象薬剤となります。

疾患名	販売名【一般名 JAN】	適用開始日
ファブリー病	アガルシダーゼベータ BS 点滴静注 5mg 「JCR」 アガルシダーゼベータ BS 点滴静注 35mg 「JCR」 【アガルシダーゼ ベータ（遺伝子組換え）[アガルシダーゼ ベータ後続 1]】	令和3年3月6日
ムコ多糖症 II 型	イズカーゴ®点滴静注用 10mg 【パピナフスプ アルファ（遺伝子組換え）】	令和5年5月24日

当社は希少疾病領域のスペシャリティファーマとして、より多くの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。

※1 中央社会保険医療協議会 総会（第545回）○在宅自己注射について 総-4 参考 1-6
<https://www.mhlw.go.jp/content/12404000/001097454.pdf>

ムコ多糖症 II 型（ハンター症候群）について

ライソゾーム病の一種であり、遺伝子異常により全身の細胞においてライソゾーム内の特定の加水分解酵素（イズロン酸-2-スルファターゼ）が欠損又は働きが低下することでムコ多糖（グリコサミノグリカン）が過剰蓄積する X 染色体連鎖劣性遺伝性疾患です。発症頻度は男児約5万人に1人とされており、現在世界で7,800症例と推測されています（当社調べ）。主な症状として、関節拘縮や骨変形、肝臓・脾臓の肥大、呼吸障害、弁膜疾患等、幅広い症状が挙げられますが、特に中枢神経症状の進行抑制が課題となっています。

イズカーゴ®点滴静注用 10mg について

ライソゾーム病の一種であるムコ多糖症 II 型（ハンター症候群）に対して、マンノース-6-リン酸受容体を介した作用に加え、当社独自の J-Brain Cargo®技術によりトランスフェリン受容体を介して血液脳関門を通過させることにより、脳実質細胞への直接の作用を発揮する世界で初めての点滴静注による医薬品です。全身症状だけでなく、脳実質細胞への直接の作用により、中枢神経症状の改善または進行の抑制が期待できます。2023年4月より、住友ファーマ株式会社と共同プロモーションを行っています。

製品名	イズカーゴ®点滴静注用 10mg
一般名	パピナフスプ アルファ（遺伝子組換え）
効能・効果	ムコ多糖症 II 型
用法・用量	通常、パピナフスプ アルファ（遺伝子組換え）として、1回体重 1kg あたり 2.0mg を週 1 回、点滴静注する。

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。