



2023年10月27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)

#### グローバル臨床第 I/II 相試験 投与開始のお知らせ

当社は、独自の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 (血液脳関門通過型ヘパランN-スルファターゼ)] のグローバル臨床第 I/II 相試験 (以下、本試験) において、この度、第 1 例目となる被験者の方に治験薬が投与されたことをご知らせいたします。

ムコ多糖症 IIIA 型は、ライソゾーム病の一種であり、幅広い全身症状と重度の中枢神経障害を呈する疾患で、現在、標準治療は確立されていません。多様な経過をたどるムコ多糖症 III 型の中でも早期に発症する特徴があります。日本における患者数は少ないものの、世界ではムコ多糖症 III 型のうち最も有病率の高い型であると考えられています。当社は、前臨床試験において JR-441 がムコ多糖症 IIIA 型に関連する中枢神経症状および全身症状に対して作用する可能性を確認しております。なお、JR-441 は、2022 年 1 月に欧州委員会 (EC) よりオーファンドラッグの指定を受けております。

ハンブルク・エッペンドルフ大学病院の国際ライソゾーム病センターで実施する本試験は、ムコ多糖症 IIIA 型患者を対象に JR-441 を 52 週間投与する非盲検の 2 用量探索試験です。安全性、薬物動態、及び有効性の初期徴候の評価を行います。本試験は 52 週間の投与後に、投与を継続する延長期間を設けています。

本試験の治験責任医師である Nicole Muschol 医師は次のように述べています。  
「ムコ多糖症 IIIA 型の全身症状および中枢神経症状の両方を改善するよう設計された革新的な治療法を患者の皆さんに提供することは、医師である私と患者さんご家族との会話を全く違うものにします。この疾患には確立された標準的な治療法がなく、本試験へ登録することで、患者の皆さんは介入試験へアクセスできるようになります。」

当社の代表取締役会長兼社長である芦田 信は次のように述べています。  
「JR-441 は、JR-141 と JR-171 に続いて臨床試験段階に入る、プラットフォーム技術 J-

Brain Cargo®を適用した3つ目のプログラムです。世界中の患者の皆さんに当社のイノベーションをお届けできるのは、われわれの努力の証です。ムコ多糖症 IIIA 型に罹患した患者の皆さんの未来を変えるためにご尽力されるご家族の皆さん、治験責任医師である Muschol 氏、すべての医師と臨床スタッフに深く敬意を表します。」

本試験はドイツの単一施設において行い、疾患の進行期を問わず1歳から18歳までの被験者計12例を登録する予定です。本試験の概要につきましては、[clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06095388) (Identifier: [NCT06095388](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06095388)) をご覧ください。

当社は独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を保有する製薬企業として、中枢神経症状を呈するライソゾーム病治療薬の研究開発に注力しております。2027年度末までにさらに4品目の臨床試験入りを目指しております。

なお、本件に関して今期（2024年3月期）当社連結業績への影響はありません。

### サンフィリップ症候群（ムコ多糖症 III 型）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。ヘパラン硫酸の蓄積により、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。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。