

各 位



2017年1月19日

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  
(東証1部 コード番号4552)  
問合せ先 執行役員経営企画本部長 本多 裕  
(TEL 0797-32-8591)

血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤（開発番号：JR-141）の  
治験計画に関する当局による調査終了のお知らせ  
－ 本年3月に第I/II相臨床試験を開始予定 －

当社は、かねてより研究を進めてまいりました血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用した血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤（開発番号：JR-141（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））について、昨年12月に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に治験計画届を提出し、所定の調査が終了しましたのでお知らせいたします。第I/II相臨床試験は、本年3月に開始を予定しております。

ハンター症候群に対する既存の治療酵素製剤は、血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経症状に効果が期待できないという課題があります。そのため中枢神経症状に対して、髄腔内投与などの特殊な投与方法も試みられておりますが、患者様にとって負担が大きく、また、脳実質全体に薬剤が到達できないなどの問題が懸念されております。

JR-141は、マウスやサルを用いた動物試験で、静脈内投与による脳への薬剤移行や中枢神経系障害の改善効果において非常に良好な結果を示しており、ハンター症候群の患者様を対象として、第I/II相臨床試験を実施いたします。

今後、当社は、JR-141に引き続き、病態発症に中枢神経系が関与している他のライソゾーム病に対して、J-Brain Cargo®を適用した治療酵素の開発を順次行い、希少疾病治療薬のスペシャリティファーマとして、より多くの患者様の治療に貢献できるように取り組んでまいります。

なお、本件に関する今期当社連結業績に与える影響は軽微です。

以 上