

各 位



2017年10月26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)

J-Brain Cargo®を利用した新薬（ハーラー症候群治療酵素製剤）開発のお知らせ

当社は、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用した、JR-141（血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤）、JR-162（J-Brain Cargo®適用ポンペ病治療酵素製剤）に続く新薬の第3弾として、ハーラー症候群治療酵素製剤（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））の開発に着手することを本日決定しましたのでお知らせいたします。

今回、当社が新たに開発に着手するハーラー症候群（ムコ多糖症I型）は、ハンター症候群と同じムコ多糖症の一種であり、グリコサミノグリカン（GAG）を分解する酵素（ α -L-イズロニダーゼ）が欠損することで全身の組織にGAGが過剰に蓄積し、中枢神経症状、骨関節病変、低身長、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫などが起きる疾患です。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、中枢神経症状に対し効果が期待できないことが重大な課題となっています。

JR-171は、動物試験において、心臓などの末梢臓器のみならず、脳への薬剤移行や脳内に蓄積したGAGの減少効果においても非常に良好な結果を示しました。今後、具体的な開発計画の策定を行い、早期の臨床試験開始を目指します。

当社は、JR-141、JR-162、そしてJR-171に留まらず、病態発症に中枢神経系の障害が関与している他のライソゾーム病に対しても、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あります。当社では将来、売上に寄与するものと期待しております。

以 上

【語句の説明】

ハーラー症候群（ムコ多糖症I型）

ムコ多糖症は7つの病型を含む疾患群の総称である。体内のムコ多糖を分解するライソゾーム酵素が欠損することにより、全身にムコ多糖が蓄積し、骨関節病変、皮膚・結合組織病変、中枢神経障害、呼吸器・循環器・消化器など全身性の多様な臨床所見を呈する。I型（ハーラー症候群）では、関節拘縮、骨格変形、低身長、特徴的顔貌、巨舌、厚い皮膚、多毛、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫、ヘルニア、そして中枢神経障害などが認められる。