

各 位



2018年5月28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
ブラジルにおける治験計画届受理のお知らせ

当社は、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ブロン酸2スルファターゼ））について、ブラジル国家衛生監督庁（ANVISA）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。本年6月に、ブラジルでの第II相臨床試験開始を予定しております。

ブラジルでの第II相臨床試験は当社単独で実施し、ハンター症候群患者18名を対象として、用量設定に加え全身症状や中枢神経症状に対する有効性および安全性について評価を行います。

当社のグローバル展開の第一歩としてブラジルを選択した背景には、ブラジルでは多くのハンター症候群の患者が診断されており、特定の施設に集中して治療を受けていること、またブラジルの専門医師の協力が得られていることが挙げられます。こうした状況を踏まえ、今後、早期の承認取得に向けて開発を進めてまいります。

昨年日本で実施しました第I/II相臨床試験では、安全性に問題はなく、バイオマーカーのデータから、中枢神経系症状の改善ならびに遺伝子組換えイブロン酸2スルファターゼ酵素製剤に劣らない全身症状への効果が示唆されました。日本では2018年中に第III相臨床試験の開始を予定しております。

また、本年1月には株式会社メディパルホールディングスと米国に合弁会社JCR USA, Inc. を設立し、米国についても日本およびブラジルに続いて、早期に臨床試験を実施できるように準備を進めております。

今後、当社は、JR-141に引き続き、病態形成に中枢神経系障害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、より多くの患者の皆さん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への影響は軽微であります。

以 上