

2018年8月9日

各 位



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）  
第III相臨床試験開始のお知らせ

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、この度日本での第III相臨床試験を開始しましたのでお知らせいたします。

第III相臨床試験では、20名のハンター症候群患者にJR-141を12ヵ月間投与し、脳脊髄液中のバイオマーカーを主要評価項目として、中枢神経系症状及び全身症状の変化について評価を行います。本試験の速報結果については、得られ次第お知らせいたします。

JR-141は、今年3月に厚生労働省より先駆け審査指定制度の対象品目に指定されました。2019年度中には、日本での製造販売承認申請を行う予定としております。さらに、グローバル展開の第一歩として、今年6月にブラジルでの第II相臨床試験を開始しており、米国などその他の地域につきましても、具体的に検討を進めております。

当社は、JR-141に続いて、J-Brain Cargo®を適用した他のライソゾーム病治療酵素製剤の開発を順次行っております。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