



2020年2月3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
(東証第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 0797-32-1995)

16th Annual WORLDSymposium™ 2020 における発表のお知らせ

当社は、現地時間 2020 年 2 月 10 日から 13 日に米国フロリダ州オーランドで開催される 16th Annual WORLDSymposium™ 2020*¹において、当社が開発中の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）および、J-Brain Cargo®*²適用ポンペ病治療酵素製剤（開発番号：JR-162）について口頭およびポスター発表を行いますのでお知らせいたします。なお、発表の詳細につきましては本学会終了後に改めて公表予定です。

1. 口頭発表（1件）

当社の独自技術である 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）〕の国内臨床第3相試験における26週解析結果について、口頭発表を行います。

演題名	発表日時
Therapy for mucopolysaccharidosis II with an intravenous blood-brain barrier-crossing enzyme (JR-141): 26-week results from a phase 3 study in Japan suggesting significant efficacy against central nervous system and systemic symptoms	2020年2月12日 16:00-16:15 EST

2. ポスター発表（3件）

JR-141 のブラジルでの臨床第2相試験で得られた結果および、国内臨床第3相試験における26週解析結果並びに、J-Brain Cargo®を適用したポンペ病治療酵素製剤〔開発番号：JR-162（J-Brain Cargo®適用遺伝子組換え酸性α-グルコシダーゼ）〕の非臨床試験で得られた結果について、それぞれポスター発表を行います。

演題名	発表日時
Results from a phase 2 trial of a blood-brain barrier penetrating enzyme (JR-141) in patients with MPS II in Brazil	2020年2月10日 16:30-18:30 EST

Therapy for mucopolysaccharidosis II with an intravenous blood-brain barrier-crossing enzyme (JR-141): 26-week results from a phase 3 study in Japan suggesting significant efficacy against central nervous system and systemic symptoms	2020年2月11日 16:30-18:30 EST
A novel approach to CNS dysfunction of Pompe disease with a fusion protein consisting of anti-transferrin receptor antibody and GAA enzyme	2020年2月12日 16:30-18:30 EST

*¹ **WORLDSymposium™**

このシンポジウムは、ライソゾーム病の基礎研究から臨床応用をテーマとして毎年米国で行われる国際学会です。(<http://www.worldsymposia.org/>)

*² **J-Brain Cargo®**

抗トランスフェリンレセプター抗体を利用した画期的薬剤輸送システム。ハンター症候群治療薬として開発中の **JR-141** においては、血液脳関門 (BBB) の通過を可能とする **J-Brain Cargo®** により全身症状だけでなく中枢神経症状の改善が期待される。また、主に筋組織の障害が見られるポンペ病治療薬として開発中の **JR-162** においては、トランスフェリンレセプターを介した筋組織への薬剤輸送による直接的な治療効果のみならず、BBB 通過により筋肉を支配する神経細胞への効果を介した治療効果も期待される。

以 上