



2020年7月31日

各 位



会社名 JCR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 上席執行役員経営企画本部担当 本多 裕  
(TEL 0797-32-1995)

血液脳関門通過型ムコ多糖症I型治療酵素製剤（開発番号：JR-171）  
日本における臨床第1/2相試験治験届受理のお知らせ

当社は、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用した、ムコ多糖症I型（ハーラー、ハーラー・シャイエ、シャイエ症候群）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 $\alpha$ -L-イズロニダーゼ）〕について、この度、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に臨床第1/2相試験の治験計画届を提出し、所定の調査が終了しましたことをお知らせいたします。

当該試験は、当社にとって初となるグローバル臨床試験です。ブラジル、米国に先行し、本年9月より日本での開始を目標としております。

ムコ多糖症I型は、ハンター症候群（ムコ多糖症II型）同様、ライソゾーム病の一種であり、ムコ多糖を体内で分解する酵素（ $\alpha$ -L-iduronidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患です。中枢神経症状、関節病変、低身長、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫など幅広い症状がある中、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。

当該試験では、ムコ多糖症I型患者を対象にJR-171を12週間投与し、主要評価項目である安全性に加え、副次評価項目として探索的有効性および体内薬物動態の評価を行います。当該試験の概要につきましては、[clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov)をご覧ください。

当社は、JR-171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。希少疾病領域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