



2022年10月31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
(コード番号 4552 東証プライム市場)
問合せ先 上席執行役員管理本部長 本多 裕
(TEL 0797-32-1995)

メディopalホールディングスとJCRファーマ、超希少疾病4疾患に対する
グローバル事業化の独占的交渉権付与についての覚書および
フコシドーシスに対する治療薬の事業化についての実施許諾契約を締結

当社と株式会社メディopalホールディングス（東京都中央区、代表取締役社長：渡辺秀一、以下 メディopalという）は、それぞれの取締役会において、当社が開発中のライソゾーム病の中でも超希少疾病を対象疾患とする4つの新薬候補物質（以下、対象物質という）の、日本を除く全世界における事業化に関する独占的交渉権付与に関する覚書（以下、本覚書という）の締結について承認決議をいたしました。

また、本覚書に基づき、両社は対象物質のうちフコシドーシスを対象疾患とする物質に関する実施許諾契約を併せて締結いたしましたので、お知らせいたします。

詳細につきましては、別紙をご覧ください。

なお、本件は今期（2023年3月期）当社連結業績への織込み済みであり、その影響は軽微であります。

以 上

2022年10月31日

各位

株式会社メディopalホールディングス
JCRファーマ株式会社**メディopalホールディングスとJCRファーマ、超希少疾病4疾患に対する
グローバル事業化の独占的交渉権付与についての覚書および
フコシドーシスに対する治療薬の事業化についての実施許諾契約を締結**

株式会社メディopalホールディングス（東京都中央区、代表取締役社長：渡辺 秀一、以下メディopalという）と、JCRファーマ株式会社（兵庫県芦屋市、代表取締役会長兼社長：芦田 信、以下JCRという）は、それぞれの取締役会において、JCRが開発中のライソゾーム病の中でも超希少疾病を対象疾患とする4つの新薬候補物質（以下、対象物質という）の、日本を除く全世界における事業化に関する独占的交渉権付与に関する覚書（以下、本覚書という）の締結について承認決議をいたしました。

また、本覚書に基づき、両社は対象物質のうちフコシドーシス※1を対象疾患とする物質に関する実施許諾契約（以下、本契約という）を併せて締結いたしましたので、下記のとおりお知らせいたします。

記

本覚書における対象物質の対象疾患は、フコシドーシス、神経セロイドリポフスチン症 I 型（CLN1）※2、神経セロイドリポフスチン症 II 型（CLN2）※2、ガラクトシアリドーシス※3を予定しており、いずれもライソゾーム病の中でも患者数が特に少ない疾患です。本覚書により、メディopalは、対象物質の日本を除く全世界における研究・開発、製造および販売などの事業化に関する再実施許諾権付独占的実施権を取得するための独占的交渉権を取得いたします。JCRは当該交渉権の対価として所定の金銭を受領いたします。

また、本契約により、メディopalはフコシドーシスを対象疾患とする対象物質（血液脳関門通過型ヒト α -L-fucosidase）に関し、日本を除く全世界における研究・開発、製造及び販売などの事業化に関する再実施許諾権付の独占的実施権を取得いたします。JCRは本契約締結時に契約一時金を受領するほか、製品化後の売上に応じたロイヤリティを受け取る予定です。

JCRは、希少疾病であるライソゾーム病に対し、独自の血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®を適用する複数の開発品の研究開発に注力しております。中でも超希少疾病と呼ばれる領域は、患者数が極めて少ないことから、一般には新薬開発が困難とされている領域です。しかしながら、新薬開発を待ち望む患者の皆さんのため、長年にわたり良好な関係を維持し、協業による成果を創出し続けた両社は、医療に携わる企業として社会的責任を果たすため、これらの超希少疾病領域のグローバルな新薬開発に取り組んでいくことを決定いたしました。

この取組みを通じて、両社は今後、一日でも早く世界中の患者の皆さんとご家族に新たな治療薬をお届けできるよう努めてまいります。

【語句の説明】

※1 フコシドーシスについて

ライソゾーム病の一種で、遺伝子変異により糖たんぱく質の代謝酵素（ α -フコシダーゼ）の活性が低下し糖鎖や糖たんぱく質が全身に蓄積する常染色体劣性遺伝性疾患。精神運動発達遅滞や筋緊張低下、内臓肥大、骨格異常など様々な症状を呈する。発症年齢によりI型とII型に分類される。有病率は200万人に1人未満と極めてまれである。標準治療薬はない。

※2 神経セロイドリポフスチン症 (NCL) について

ライソゾーム病の一種でバッテン病とも呼ばれる。遺伝性の神経変性疾患であり、常染色体劣性遺伝形式をとる。進行性の運動発達退行、けいれん、視力障害を主徴とし、一般に小児期の発症では予後はきわめて不良である。原因遺伝子によりCLN1からCLN14まで存在する。

CLN1は、パルミチン酸を除去する酵素（パルミトイルプロテインチオエステラーゼ1：PPT1）の活性低下により発症する。発症時期により、乳児型、遅発乳児型、若年型、成人型に分類される。標準治療薬はない。

CLN2は、タンパク分解酵素（トリペプチジルペプチターゼ1：TPP1）の活性低下により発症する。乳児後期型と若年型に分類される。標準治療として、脳室内へのTPP1酵素補充療法が、2017年に欧米、2019年に日本でそれぞれ承認されている。

※3 ガラクトシアドーシスについて

ライソゾーム病の一種で、保護たんぱく質であるカテプシンA（PPCA）の遺伝子異常により発症する。PPCAの活性低下により、糖脂質や糖たんぱく質であるGM1ガングリオシドが蓄積する。骨への症状や、粗顔貌、中枢神経症状など様々な症状を呈する。標準治療薬はない。

以上

【株式会社メディopalホールディングス】（2022年3月末現在）

代表者： 代表取締役社長 渡辺 秀一
本社所在地： 東京都中央区八重洲二丁目7番15号
設立： 1923年5月6日
連結従業員数： 12,801名
資本金： 223億98百万円
事業内容： 持株会社として「医療用医薬品等卸売事業」、「化粧品・日用品、一般用医薬品卸売事業」ならびに「動物用医薬品・食品加工原材料等卸売事業」などを行う関係会社の株式を所有する事による当該関係会社の経営活動の管理・支援および当社グループにおける事業開発等

【JCRファーマ株式会社】（2022年3月末現在）

代表者： 代表取締役会長兼社長 芦田 信
本社所在地： 兵庫県芦屋市春日町3番19号
設立： 1975年9月13日
連結従業員数： 810名
資本金： 90億61百万円
事業内容： 医薬品、再生医療等製品およびその原料の製造、売買ならびに輸出入医療用機器および実験用機器の売買ならびに輸出入

【本件に関するお問い合わせ先】

株式会社メディカルホールディングス 広報部
TEL：03-3517-5171

JCRファーマ株式会社 管理本部 広報・IR室
TEL：0797-32-1995

ニュースリリースは株主・投資家の皆さまや報道関係者へ、当社の事業に関する最新情報の提供を目的としたものです。本資料に含まれている医薬品（開発中の物を含む）に関する情報は宣伝広告、医学的アドバイス等を目的とするものではありません。