

2025 年 10 月 7 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 上席執行役員経営戦略本部長 伊 藤 洋
E-mail : ir-info@jp.jcrpharm.com

第 32 回欧州遺伝子細胞治療学会 (ESGCT) における発表のご報告

肝臓への集積を低減しつつ CNS や筋肉へ効率的に治療遺伝子を送達する JUST-AAV の可能性について

J C R ファーマ株式会社 (代表取締役会長兼社長：芦田 信) は、第 32 回欧州遺伝子細胞治療学会(ESGCT、開催：スペイン王国セビリア、2025 年 10 月 7 日～10 日)において、当社独自のカプシド改変技術を適応したアデノ随伴ウイルス (JUST-AAV) について、肝臓回避型、筋指向型に加えて新たに開発した筋指向型ベクターの非臨床研究データについて、口頭発表を行いました。

当社は、標的組織への送達性を高め、肝臓への集積性を低減させ安全性を高めた AAV ベクターの作製に成功し、この技術を「JUST-AAV」と名付けています。JUST-AAV は、肝臓回避型、筋指向型、脳指向型など、複数の種類を含み、AAV による遺伝子治療をさらに発展させる可能性をもった当社独自のプラットフォーム技術です。J-Brain Cargo®を搭載した脳指向型 JUST-AAV は従来の AAV9 と比較して効率良く治療遺伝子を中枢神経系 (CNS) へ送達することが可能であることがマウスやサルで確認されています。

本発表では、筋指向型の JUST-AAV がマウスおよびサルにおいて、従来の AAV に比べて効率的に筋肉に送達されることを発表しました。加えて、筋への送達性を高め、肝臓回避能を有する改良型の筋指向型 JUST-AAV を構築し評価したところ、筋への送達効率をさらに高めつつ、肝臓への分布を著しく低減させることを報告しました。また、筋指向型と脳指向型を組み合わせた脳および筋二重指向型 JUST-AAV を可能にしたことも合わせて報告しました。本発表は、JUST-AAV の効率的な遺伝子送達技術と高い安全性が次世代の遺伝子治療になり得ることを示唆しています。

当社の取締役専務執行役員研究本部長の藺田 啓之は次のように述べています。

「当社の JUST-AAV は、これまで治療が困難とされてきた CNS 疾患に対し、より精密に標的を絞った新たな遺伝子治療法の開発への道筋を示すものです。今回発表したデータは、JUST-AAV が従来の AAV9 カプシドより効率的に遺伝子を脳や筋肉へ送達しつつ、肝臓への蓄積を抑制することを実証しています。この研究は、複雑な医療課題に対する革新的な解決策を開発するという当社の継続的な取り組みにおける重要な一歩です。」

発表内容

Generation of a novel capsid engineering platform enhances CNS and muscle tropism of AAV vectors while reducing tropism to the liver

Presenter: Shunsuke Iizuka, Ph.D., Associate Senior Scientist, JCR Pharmaceuticals

本発表では、当社独自の JUST-AAV 技術について、従来の脳指向型、肝臓回避型に加え、新たに筋指向型のカプシドの開発に成功したことを報告しました。まず、筋細胞の膜タンパクに対して親和性を持つペプチド配列を AAV のカプシド表面に融合することで、筋指向型 AAV を開発しました。この筋指向型 AAV はマウスにおいて大腿四頭筋および心臓において AAV9 と比べて約 15 倍導入効率が向上することを確認しています。さらに、サルにおいても同様に、大腿四頭筋、心臓および横隔膜において AAV9 と比べて高い導入効率が得られました。

また、より高い筋指向性を達成するため、新たなバインダー分子の取得にも取り組みました。抗体フラグメントライブラリーから取得した新たなバインダーは、ヒト、サルおよびマウスのいずれの受容体に対しても同様に高い親和性を示すことが確認されています。この新たなバインダーに加えて、当社独自の肝臓回避型変異を加えた筋指向型、肝臓回避型の JUST-AAV を開発し、マウス試験において大腿四頭筋、心臓における導入効率が AAV9 と比べてそれぞれ 28 倍、52 倍に向上することが確認されました。さらに肝臓中のベクターゲノム量は AAV9 と比べて 160 分の 1 に抑制され、安全性の向上も期待できる結果を得ています。

さらに、筋指向性ペプチドおよび J-Brain Cargo®を同時にカプシドに組み込むことにより、筋指向型および脳指向型の二つの性質を合わせ持つ、二重標的型 AAV の開発にも成功しました。

欧州遺伝子細胞治療学会（ESGCT）について

ESGCT（European Society of Gene and Cell Therapy）は遺伝子治療および細胞治療の分野で活躍する研究者や臨床医の支援、およびヨーロッパにおける当該分野に関連する研究の発展を目指し、1992 年に設立された国際学会。（<https://www.esgct.eu/>）

JUST-AAV について

目的とする特定の組織・臓器への指向性を持たせ、安全性を高めるために特定の組織・臓器への移行性を低減させるようなカプシド表面を改変した AAV（アデノ随伴ウイルス）。またその技術の総称。「JCR」「Ultimate destination of organ」「Safeguarding against off-target delivery」「Transformative technology」の頭文字を名称の由来とし、様々な疾患の治療に応用できる可能性をもつ当社独自の遺伝子治療プラットフォーム技術である。

J-Brain Cargo®技術について

当社が独自に開発した血液脳関門通過技術であり、中枢神経系にバイオ医薬品を送達することを可能とする。本技術を世界で初めて適用した医薬品として、ムコ多糖症 II 型治療剤「イズカーゴ®」（国際一般名：パピナフスプアルファ）が日本で実用化されている。

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。

以 上