

2025 年 7 月 8 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

アレクシオン社との JUST-AAV 技術に関するライセンス契約締結のお知らせ

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、アレクシオン・アストラゼネカ・レアディジーズ（以下、アレクシオン社）と新規遺伝子治療用製品の開発を目的とした JUST-AAV カプシドに関するライセンス契約を本日締結しましたので、お知らせします。

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、アデノ随伴ウイルス（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新規プラットフォーム技術です。

今回の契約に基づき、アレクシオン社は、最大 5 つまでの同社の遺伝子治療プログラムに対して、当社の JUST-AAV プラットフォームのうちライセンスを受けたカプシドを適用することができます。

本契約により、当社はアレクシオン社から契約一時金を受領するほか、研究開発に関するマイルストーンフィーとして最大 225 百万米ドル、販売に関するマイルストーンフィーとして最大 600 百万米ドル、合計で最大 825 百万米ドル（約 1,200 億円、1 ドル 145 円換算）、加えて、販売後は正味売上高に応じた段階的ロイヤルティを受領する権利を有します。

本契約は、[2023 年 3 月に公表](#)しました J-Brain Cargo®適用の神経変性疾患治療薬に関する共同研究契約、また[同年 12 月に公表](#)しました J-Brain Cargo®を用いた核酸医薬品の創製に関する共同研究契約に続く、当社とアレクシオン社の 3 つ目のパートナーシップです。

当社の代表取締役会長兼社長の芦田 信は、次のように述べています。

「この度、当社独自の遺伝子治療技術である JUST-AAV カプシドについてのライセンス契約締結を報告することができ、大変嬉しく思います。今回の契約は、希少疾病領域での治療薬開発に対して JUST-AAV を適用した遺伝子治療が大きく貢献できる可能性を示すものであり、今後この技術が様々な疾患の治療へと応用されることが期待されます。また、これまでも活発に共同研究を進めてきたアレクシオン社との間で 3 つ目のライセンス契約

を締結できたことは、当社にとって非常に価値のあることであり、大変喜ばしく思っています。」

なお、本件に関する今期（2026 年 3 月期）の当社連結業績への影響は、連結業績予想に織り込み済みです。

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の改変を可能とした AAV。またその技術の総称。「**J**CR」「**U**ltimate destination of organ」「**S**afeguarding against off-target delivery」「**T**ransformative 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：pabinafusp alfa）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