

2025年9月29日

各位

株式会社メディパルホールディングス
JCRファーマ株式会社**ムコ多糖症 IIIB 型に対する JR-446 の
厚生労働省による希少疾病用医薬品指定のお知らせ**

株式会社メディパルホールディングス（東京都中央区、代表取締役社長：渡辺 秀一、以下、「メディパル」）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」）は、日本における共同開発・商業化を進めている血液脳関門通過型 α -N-アセチルグルコサミニダーゼ製剤〔開発番号：JR-446〕について、このたび、厚生労働省より希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）に指定されましたことをお知らせします。

JR-446 は、本年4月に米国食品医薬品局（FDA）^{*1}より、本年6月に欧州委員会（EC）^{*2}より、ムコ多糖症 IIIB 型（サンフィリップ症候群 B 型、以下、「MPS IIIB」）を対象としたオーファンドラッグの指定を受けています。

MPS IIIB は、ライソゾーム病の一種であり、重度の中枢神経系障害を呈する疾患です。世界における患者数^{*3}は500人から1,000人と推定されている超希少疾患であり、現在、世界的に承認された治療薬はありません。

独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo[®]」を使用した JR-446 は、非臨床試験において MPS IIIB に関連する症状に対する効果を示すことが確認されており、現在、日本においては、両社の共同開発契約のもと臨床第 I/II 相試験（[JR-446-101](#)）を実施中です。

メディパルと JCR は、2023年9月に、JR-446 の MPS IIIB を対象疾患とした海外事業化に関する実施許諾契約および日本における共同開発・商業化契約を締結^{*4}しています。

両社は、MPS IIIB 患者さんに一日でも早く本剤を届けられるよう、引き続き取り組んでまいります。

*1 ご参考：2025年5月7日開示リリース「ムコ多糖症 IIIB 型に対する JR-446 の米国食品医薬品局（FDA）によるオーファンドラッグ指定のお知らせ」

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4552/tdnet/2603034/00.pdf>

*2 ご参考：2025年6月24日開示リリース「ムコ多糖症 IIIB 型に対する JR-446 の欧州委員会（EC）によるオーファンドラッグ指定のお知らせ」

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4552/tdnet/2642964/00.pdf>

*3 厚生労働省班研究等の公開情報を参照のうえ JCR の独自調査に基づき算出

*4 ご参考：2023年9月28日開示リリース「メディパルホールディングスと JCRファーマ、ムコ多糖症 IIIB 型に対する治療薬（JR-446）の海外における事業化についての実施許諾契約および日本における共同開発・商業化契約を締結」

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/7459/announcement1/92471/00.pdf>

【補足説明】

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）指定について

医薬品医療機器等法に基づき、指定を受けた希少疾病用医薬品が試験研究促進を目的とし、特別支援措置を受けられる制度。指定基準として、当該医薬品の用途に係る対象者の数が日本において5万人未満であるか、その用途が指定難病であること、重篤な疾病等を対象とするとともに、既承認薬等がないこと、又は既承認薬等と比較して高い有効性又は安全性が期待されるなど、特に医療上の必要性が高いものであること、また、申請者は国内での開発を行うことのできる体制及び計画を有していることが必要とされる。

ムコ多糖症 IIIB 型（サンフィリップ症候群 B 型）について

ムコ多糖症 IIIB 型（サンフィリップ症候群 B 型）は、ヘパラン硫酸の分解に関わるライソゾーム酵素をコードする *NAGLU* 遺伝子の異常によって生じる常染色体潜性遺伝疾患である。脳内の中枢神経系へのヘパラン硫酸の蓄積により、睡眠障害、言語消失、行動の変化などの神経症状が急速に進行し、患者や家族の生活の質に大きな影響を与える。

以 上

【本件に関するお問い合わせ先】

株式会社メディパ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 経営戦略本部 広報・IR 室

E-mail：ir-info@jp.jcrpharm.com

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、両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。