

2025 年 1 月 28 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
(TEL 0797-32-1995)

21st Annual WORLDSymposium™ 2025 における発表のお知らせ

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、21st Annual WORLDSymposium™ 2025 (開 催 : カ リ フ ォ ル ニ ア 州 サ ン デ ィ エ ゴ、2025 年 2 月 3 日 ~ 7 日 (現 地 時 間 : PST)) に お い て、下 記 2 演 題 の 発 表 を 行 う こ と を お 知 ら せ し ま す。こ れ ら の 発 表 は、当 社 独 自 の 血 液 脳 関 門 通 過 技 術 J-Brain Cargo® を 適 用 し た 開 発 品、ま た 当 社 の 取 り 組 み が ラ イ ソ ズ ー ム 病 治 療 な ら び に 神 経 変 性 疾 患 に も た ら す 可 能 性 に つ い て 言 及 す る も の で す。

開発番号 : JR-479

(血液脳関門通過型遺伝子組換えβ-ヘキソサミニダーゼ A)

対象疾患 : GM2 ガングリオシドーシス (テイ・サックス病、サンドホフ病)

演題名	Treatment with a transferrin receptor-targeted β-hexosaminidase A prolongs life span of GM2 gangliosidosis mice (ポスターNo. LB-33)
発表日時	2 月 4 日 (火) 15:30-17:30 (PST)
発表者	Kazuki Miyauchi (JCR Pharmaceuticals)

開発番号 : JR-141 (pabinafusp alfa)

(血液脳関門通過型遺伝子組換えイズロン酸-2-スルファターゼ)

対象疾患 : ムコ多糖症 II 型 (ハンター症候群)

演題名	Long-term impact of pabinafusp alfa on disease burden in hunter syndrome: a 4-year follow-up of patient-reported outcomes (ポスターNo. 222)
発表日時	2 月 6 日 (木) 15:30-17:30 (PST)
発表者	Ana Maria Martins, M.D., Ph.D. (Federal University of São Paulo)

JR-479 に関しては、GM2 ガングリオシドーシスの病態モデルマウスを治療した場合の延命効果について、JR-141 に関しては、4 年間治療を継続した症例における患者報告アウトカムについて発表します。

WORLD *Symposium*TM 2025 参加者でさらに情報を希望される方は、JCR の展示ブース (#307) までお越しください。

WORLD *Symposium*TM について

ライソゾーム病をテーマに、研究者から医師、患者団体など、ライソゾーム病に携わる方々へ最新の治験や臨床研究の進捗などを報告するために毎年米国で行われる国際学会。

(<https://worldsymposia.org/>)

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 型治療薬 イズカーゴ[®] (国際一般名：pabinafusp alfa) が日本で実用化されている。

JR-141 (pabinafusp alfa) について

マンノース-6-リン酸受容体を介した全身作用に加え、当社独自の血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo[®]によりトランスフェリン受容体を介して血液脳関門 (以下、BBB) を通過させることによる中枢神経系症状に対する作用を期待し、分子設計の段階から非臨床、臨床にいたるまで必要なエビデンスを構築しながら開発を進めてきた。非臨床試験においては、トランスフェリン受容体への親和性だけでなく、JR-141 が BBB を通過し神経細胞へ到達することを確認し、また、脳の各組織中への酵素取り込み、蓄積基質の減少を確認している^{1,2}。これらの結果に基づき実施した臨床試験においては、脳脊髄液中のヘパラン硫酸濃度において、非臨床試験にて得られた結果と矛盾しない結果を得ている³。また、中枢神経系症状への作用と考えられる結果も得られている^{4,5,6}。なお、現在 JR-141 の長期投与を検討するために複数の試験を進行中である。

日本においては、「イズカーゴ[®]点滴静注用 10mg」の販売名で厚生労働省より承認を取得し、2021 年 5 月より販売中である。

JR-479 について

J-Brain Cargo[®]技術を適用した、血液脳関門通過型遺伝子組換え β -ヘキソサミニダーゼ A 酵素製剤。GM2 ガングリオシドーシス (テイ・サックス病、サンドホフ病) を対象疾患として開発中であり、現在は前臨床研究の段階にある。

ムコ多糖症 II 型 (ハンター症候群) について

ライソゾーム病の一種であり、遺伝子異常により全身の細胞においてライソゾーム内の特定の加水分解酵素 (イズロン酸-2-スルファターゼ) が欠損または働きが低下することでムコ多糖 (グリコサミノグリカン) が過剰蓄積する X 染色体連鎖潜性遺伝性疾患。発症頻度は男児約 5 万人に 1 人とされており、世界における患者数は 2,000~3,000 人と推測されている (当社調べ)。関節拘縮や骨変形、肝臓・脾臓の肥大、呼吸障害、弁膜疾患等、幅広い症状が挙げられるが、特に中枢神経系症状の進行抑制が課題となっている。

GM2 ガングリオシドーシスについて

GM2 ガングリオシドーシスはライソゾーム病の一種で、 β -ヘキソサミニダーゼ A (Hex A) という酵素の欠損によって引き起こされる常染色体潜性遺伝性疾患である。Hex A は、 α および β サブユニットから構成される酵素であり、 α サブユニットが欠損する場合には

テイ・サックス病、 β サブユニットが欠損する場合にはサンドホフ病と分類される。Hex A の欠損は、GM2 ガングリオシドやその他の糖脂質の蓄積を進行させ、重篤な神経変性を引き起こす。現在までに承認されている治療法はなく、治療薬の開発が望まれる。

参考文献

- 1: Sonoda, et al. A blood-brain-barrier-penetrating anti-human transferrin receptor antibody fusion protein for neuronopathic mucopolysaccharidosis II. Molecular Therapy. 2018;26(5):1366-1374.
- 2: Morimoto, et al. Clearance of heparin sulfate in the brain prevents neurodegeneration and neurocognitive impairment in MPS II mice. Mol. Ther. 2021.
- 3: Okuyama, et al. Iduronate-2-sulfatase with Anti-human Transferrin Receptor Antibody for Neuropathic Mucopolysaccharidosis II: A Phase 1/2 Trial. Mol Ther. 2020; 27(2): 456-464.
- 4: Okuyama, et al. A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa, IDS Fused with Anti-Human Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in MPS-II. Mol Ther. 2021; 29(2): 671-679.
- 5: Giugliani, et al. Iduronate-2-sulfatase fused with anti-human transferrin receptor antibody, pabinafusp alfa, for treatment of neuronopathic and non-neuronopathic mucopolysaccharidosis II: Report of a phase 2 trial in Brazil. Mol Ther. 2021.
- 6: Giugliani, et al. Enzyme Replacement Therapy with Pabinafusp Alfa for Neuronopathic Mucopolysaccharidosis II; an Integrated Analysis of Preclinical and Clinical Data. Int. J. Mol. Sci. 2021, Volume 22, Issue 20, 10938.

以 上

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。