

2025 年 8 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
E-mail : ir-info@jp.jcrpharm.com

第 15 回国際先天代謝異常学会 (ICIE) 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、第 15 回国際先天代謝異常学会 (ICIE) 2025 (開催 : 京都、2025 年 9 月 2 日～6 日) において、以下 5 演題の発表 (口頭発表 1 演題およびポスター発表 4 演題) 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®を適用した開発品である JR-141 (pabinafusp alfa) および JR-446 に関するものであり、当社の取り組みがライソゾ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-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	Therapeutic effect of JR-141 (pabinafusp alfa) on cardiovascular system in a mouse model of mucopolysaccharidosis type II (ポスターNo. P-311/抄録番号 No. 11189)
発表日時	9 月 3 日 (水) 18:00-19:00
発表者	有隅 健太 (J C R ファーマ株式会社)

開発番号 : JR-446

(血液脳関門通過型遺伝子組換え α -N-アセチルグルコサミニダーゼ)

対象疾患 : ムコ多糖症 IIIB 型 (サンフィリップ症候群 B 型)

演題名	Nonclinical pharmacology of JR-446, a novel blood-brain barrier penetrant α -N-acetylglucosaminidase (ポスターNo. BP-15/抄録番号 No. 11217)
発表日時	9 月 3 日 (水) 18:00-19:00
発表者	伊藤 洵 (J C R ファーマ株式会社)

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 safety of pabinafusp alfa in patients with mucopolysaccharidosis type II: interim 5-year data from a clinical trial in Japan (ポスターNo. P-306／抄録番号 No. 11355)
発表日時	9 月 4 日（木）17:30-18:30
発表者	酒井 規夫（医療法人医誠会 医誠会国際総合病院 難病医療推進センター）

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 (口頭発表)	Long-term (up to 5 years) efficacy of pabinafusp alfa on neurocognition in patients with mucopolysaccharidosis type II – a pooled, post hoc analysis of clinical trials (Oral presentation 24／抄録番号 No. 11339)
発表日時	9 月 5 日（金）13:30-15:00
発表者	Roberto Giugliani (Federal University of Rio Grande do Sul, Brazil)

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	Post-marketing surveillance of pabinafusp alfa for the treatment of mucopolysaccharidosis type II: an interim report up to 4 years (e ポスター発表／抄録番号 No. 11285)
発表者	岡本 駿吾（大阪公立大学大学院医学研究科 発達小児医学）

国際先天代謝異常学会（ICIEM）について

ICIEM（International Congress of Inborn Errors of Metabolism）は、遺伝性代謝異常の研究と治療に焦点を当てた、4 年に一度開催される主要な国際会議である。ICIEM では、研究者、臨床医、その他の専門家が一堂に会し、先天代謝異常の分野における最新の進歩について議論されている。

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。

JR-141 (pabinafusp alfa) について

現在、グローバル臨床第 III 相試験が進行中。日本国内では、当社が 2021 年 3 月に製造販売承認を取得し、ムコ多糖症 II 型治療剤「イズカーゴ®」として販売中。

JR-446 について

ムコ多糖症 IIIB 型を対象として、2024 年 12 月に日本国内において臨床第 I/II 相試験での投与が開始された。なお、2023 年に、株式会社メディパルホールディングスと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・商業化契約を締結して

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