

2025年8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

メディパルホールディングスとJCRファーマ
GM2 ガングリオシドーシスに対する治療薬候補（JR-479）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

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、JCRが開発中のライソゾーム病の一種であるGM2 ガングリオシドーシス（以下、「本疾患」）を対象疾患とする治療薬候補である JR-479 の海外における事業化についての実施許諾契約（以下、「本実施許諾契約」）および日本における共同開発・商業化契約（以下、「本共同開発契約」）を締結しましたので、お知らせします。

本疾患は、ライソゾーム病の一種であり、遺伝子変異により、GM2 ガングリオシドのライソゾームにおける加水分解が障害され、主として神経細胞のライソゾームに GM2 ガングリオシドが蓄積する疾患であり、変異遺伝子によって、テイ・サックス病、サンドホフ病などに分類されます。GM2 ガングリオシドーシスは、世界での罹患率が30万人に1人と推察されている超希少疾患であり、現在までに承認されている治療法は世界においてありません。

JR-479 は、2021年に日本でムコ多糖症 II 型（ハンター症候群）の治療薬として承認されたイズカーゴ®点滴静注用 10mg により、臨床的に実証された J-Brain Cargo®技術を適用した新薬候補物質です。JCR が実施した非臨床試験*1においては、JR-479 が静脈内投与で中枢神経系を含む全身に送達され、本疾患の原因基質を減少させることが確認され、延命効果がみられました。

本実施許諾契約により、メディパルは、JR-479 の日本を除く全世界において、臨床開発、製造および販売などの事業化に関する再実施許諾権付独占的实施権を取得します。また、本共同開発契約により、メディパルは、日本における JR-479 の臨床開発以降の治験薬の配送や疾患啓発、ならびに臨床試験実施等の協力などを行い、売上高に応じた一定の収益を受け取る可能性があります。両契約により JCR は、契約一時金ならびに日本を除く全世界において売上高に応じたロイヤリティを受け取る可能性があります。また、日本においては販売を担当し売上を計上します。

今回の契約は、2022年10月より両社で開始した超希少疾病用医薬品開発への取り組み*2に、新たに JR-479 を追加するものであり、両社の提携は、フコシドーシスを対象疾患とする JR-471、ムコ多糖症 IIIB 型を対象疾患とする JR-446*3に次ぐ3品目目となります。

なお、本件に関する今期（2026年3月期）の連結業績への影響は、両社ともに連結業績予想に織り込み済みです。

*1：2025年2月5日開示リリース「21st Annual WORLD Symposium™ 2025 における発表内容のご報告」

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4552/tdnet/2557754/00.pdf>

*2：2022年10月31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、超希少疾病4疾患に対するグローバル事業化の独占的交渉権付与についての覚書およびフコシドーシスに対する治療薬の事業化についての実施許諾契約を締結」

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4552/tdnet/2195074/00.pdf>

*3：2023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】

血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo® について

JCR が独自に開発した血液脳関門通過技術であり、脳毛細血管の内皮細胞表面に発現しているトランスフェリン受容体を介して、目的とする物質の血液脳関門の通過を実現する。日本においては JCR が開発したライソゾーム病の一種であるムコ多糖症 II 型（ハンター症候群）治療薬「イズカーゴ®点滴静注用 10mg」で実用化されている。

ライソゾーム病について

細胞内のライソゾームと呼ばれる小器官において、不要物質を処理する役割を持つ酵素や、生体膜を通してそれら不要物質を輸送するタンパク質等が、遺伝子異常により欠損や発現低下していることにより、本来代謝されるべき物質が過剰に蓄積し、細胞や組織に障害が生じる疾患群。症状は蓄積する物質によって様々であり、その多くの疾患で中枢神経症状を伴う。

GM2 ガングリオシドーシス（テイ・サックス病、サンドホフ病）について

ライソゾーム病の一種であり、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。重症の場合、半数近くが3歳までに死亡するという報告もある*4。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。

*4：Bley AE, et al. Natural history of infantile G(M2) gangliosidosis. Pediatrics. 2011;128(5): e1233-1241.

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。