



2021年2月4日

各 位



会社名 JCR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
 (東証第1部 コード番号4552)
 問合せ先 上席執行役員経営企画本部担当 本多 裕
 (TEL 0797-32-1995)

17th Annual WORLDSymposium™ 2021 における発表のお知らせ

当社は、17th Annual WORLDSymposium™ 2021 (2021年2月8-12日 (EST)) において、血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®を適用した当社が開発中のライソゾーム病治療薬について、下記9件のポスター発表を行いますのでお知らせいたします。

開発番号：JR-141 (パビナフスプ アルファ)

(血液脳関門通過型遺伝子組換えエイズロン酸-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	[ポスターNo]
	発表日時
Reduction of heparan sulfate in the brain by pabinafusp alfa results in prevention of neurodegeneration and neurocognitive impairment in a mouse model of mucopolysaccharidosis II	[163]
	2021年2月8日 14:30-15:30 EST
Exploration of the efficacy of pabinafusp alfa (JR-141) on neurocognitive development in Hunter syndrome (MPS-II): 52-week data from clinical trials in Japan and Brazil	[84]
	2021年2月10日 14:30-15:30 EST
Drug delivery across the blood-brain barrier and resultant heparan sulfate in the cerebrospinal fluid in patients with Hunter syndrome (MPS-II): an integrated analysis of 25-week Japanese and Brazilian data on pabinafusp alfa (JR-141)	[176]
	2021年2月10日 14:30-15:30 EST
Therapy for mucopolysaccharidosis type II with an intravenous blood-brain barrier-crossing enzyme (JR-141): Phase III global clinical trial design	[242]
	2021年2月11日 14:30-15:30 EST
A comparison of developmental trajectories in sibling cases with neuropathic MPS-II receiving conventional and novel enzyme replacement therapies	[LB-50]
	2021年2月12日 14:30-15:30 EST

開発番号：JR-171 (血液脳関門通過型遺伝子組換え α -L-イズロニダーゼ)

対象疾患：ムコ多糖症 I 型 (ハーラー症候群、ハーラーシャイエ症候群、シャイエ症候群)

演題名	[ポスターNo]
	発表日時
Phase I/II clinical trial design for a novel therapy for mucopolysaccharidosis type I with an intravenously administered blood-brain barrier-crossing enzyme	[99]
	2021年2月11日 14:30-15:30 EST

開発番号：JR-162 (J-Brain Cargo®適用遺伝子組換え酸性 α -グルコシダーゼ)

対象疾患：ポンペ病

演題名	[ポスターNo]
	発表日時
Usefulness of hexose tetrasaccharide as a biomarker for monitoring glycogen accumulation in peripheral tissues and brain in Pompe disease	[94]
	2021年2月11日 14:30-15:30 EST

開発番号：JR-441 (血液脳関門通過型遺伝子組換えへパラン N-スルファターゼ)

対象疾患：ムコ多糖症 III A 型 (サンフィリップ症候群 A 型)

演題名	[ポスターNo]
	発表日時
Non-clinical evaluation of a blood-brain barrier-penetrable N-sulfoglucosamine sulfohydrolase in a mouse model of Mucopolysaccharidosis IIIA	[252]
	2021年2月11日 14:30-15:30 EST

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 III B 型 (サンフィリップ症候群 B 型)

演題名	[ポスターNo]
	発表日時
Non-clinical evaluation of a blood-brain barrier-penetrable α -N-acetylglucosaminidase in a mouse model of mucopolysaccharidosis IIIB	[103]
	2021年2月8日 14:30-15:30 EST

WORLDSymposium™ に関してさらに情報を希望される方は、下記にアクセスください。

<https://congress.jcrpharm.co.jp/>.



WORLDSymposium™

このシンポジウムは、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に、最新の知見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です。

(<http://www.worldsymposia.org/>)

以 上