



2021年4月20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)

血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤〔pabinafusp alfa,  
開発番号：JR-141〕非臨床試験結果の  
論文掲載 (Molecular Genetics and Metabolism Reports) に関するお知らせ

当社は、血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用したムコ多糖症II型（ハンター症候群）治療酵素製剤〔国際一般名：pabinafusp alfa、開発番号：JR-141（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）〕について、この度、非臨床毒性試験を報告する学術論文が、遺伝性代謝疾患学会 [Society for Inherited Metabolic Disorders](#) の機関誌 [Molecular Genetics and Metabolism Reports](#) 電子版に掲載されましたのでお知らせいたします。

本剤は2021年3月に日本において製造販売承認を取得しました。また、ブラジルでは2020年12月に製造販売承認申請を行いました。さらに、米国・ブラジル・欧州においてグローバル臨床第3相試験に向けた準備を進めており、米国食品医薬品局（FDA）より試験開始が許可されています。（ClinicalTrials.gov Identifier: [NCT04573023](#)）。

本論文の概要は以下の通りです。

◆ 論文タイトル：

Nonclinical safety evaluation of pabinafusp alfa, an anti-human transferrin receptor antibody and iduronate-2-sulfatase fusion protein, for the treatment of neuronopathic mucopolysaccharidosis type II.

◆ DOI (Digital Object Identifier : デジタルオブジェクト識別子) :

<https://doi.org/10.1016/j.ymgmr.2021.100758>

◆ 論文概要：

パピナフスプアルファの非臨床安全性について、in vitro, in vivo 両面から網羅的に評価した。

・結果

- パビナフスプアルファ抗体部分の Fc 領域に起因するエフェクター機能（抗体依存性細胞傷害活性：ADCC、補体依存性細胞障害活性：CDC）は認められなかった。
- トランスフェリンとトランスフェリン受容体の結合は、パビナフスプアルファによって影響されなかった。
- カニクイザルを用いた反復投与毒性試験において、パビナフスプアルファは、週 1 回 26 週間、30 mg/kg の投与用量まで有意な毒性学的変化を引き起こさなかった。

以上から、パビナフスプアルファのムコ多糖症 II 型患者に対する臨床使用において、投与に関連した重大な副作用が発現する可能性は低いと考えられた

以 上