



2023年2月14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 上席執行役員管理本部長 本多 裕
(TEL 0797-32-1995)

19th Annual WORLD Symposium™ 2023 における発表のお知らせ

当社は、19th Annual WORLD Symposium™ 2023 (開催：フロリダ州オーランド、2023年2月22日～26日 (EST)) において、下記10演題の口頭発表・ポスター発表を行いますのでお知らせいたします。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ゾーム病治療にもたらす可能性について言及するものです。

10演題のうち4演題は口頭発表をしたのち、ポスター発表を行います。

本学会において当社は、ムコ多糖症 II 型 (ハンター症候群) を対象疾患とした JR-141 [国際一般名：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)] について、4演題を発表いたします。口頭発表では、日本の実臨床におけるデータ・経験について発表予定です。

それらの発表に加え、ムコ多糖症 I 型 (ハーラー、ハーラー・シャイエ、シャイエ症候群) を対象疾患とする JR-171 [国際一般名：lepunafusp alfa (血液脳関門通過型遺伝子組換え α-L-イズロニダーゼ)] の臨床第 I/II 相試験データ、ムコ多糖症 IIIA 型 (サンフィリップ症候群 A 型) を対象疾患とする JR-441、フコシドーシスを対象疾患とする JR-471 のほか、クラッペ病、CLN1 に対する治療薬候補品に関する発表を行います。

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	Real-world data of enzyme replacement therapy with pabinafusp alfa for neuronopathic MPS-II: Updated clinical data from Japan
発表日時	口 頭 発 表 : 2 月 24 日 (金) 2:00 PM - 3:00 PM ポスターNo.110 : 2 月 24 日 (金) 4:00 PM - 5:00 PM
発表者	Yoshikatsu Eto, M.D.

演題名	Changes in quality of life reflecting neurobehavioral improvements observed by caregivers/physicians of patients with neuronopathic mucopolysaccharidosis: An interview-based survey from Brazil following clinical trials with pabinafusp alfa
発表日時	ポスターNo.239 : 2月24日(金) 3:00 PM - 4:00 PM
発表者	Ana Maria Martins, M.D., Ph.D.

演題名	Long-term neurodevelopmental changes in subjects with MPS II following long-term treatment with pabinafusp alfa: An integrated analysis from pre- and post-approval clinical trials in Brazil and Japan
発表日時	ポスターNo.133 : 2月24日(金) 4:00 PM - 5:00 PM
発表者	Roberto Giugliani, M.D., Ph.D.

演題名	Intravenous treatment with pabinafusp alfa dose-dependently prevents neurological impairment and bone deformities in a mouse model of mucopolysaccharidosis type II
発表日時	ポスターNo.247 : 2月25日(土) 4:00 PM - 5:00 PM
発表者	Hideto Morimoto

開発番号 : JR-171 (lepunafusp alfa)

(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、ハーラー・シャイエ、シャイエ症候群)

演題名	Interim results of a phase 1/2 study of JR-171 (lepunafusp alfa), a novel brain-penetrant enzyme replacement therapy for MPS I
発表日時	口頭発表 : 2月24日(金) 9:00 AM - 10:00 AM ポスターNo.157 : 2月24日(金) 3:00 PM - 4:00 PM
発表者	Paul Harmatz, M.D.

開発番号：JR-441

(血液脳関門通過型遺伝子組換えヘパラン N-スルファターゼ)

対象疾患：ムコ多糖症 IIIA 型 (サンフィリップ症候群 A 型)

演題名	Nonclinical pharmacodynamics, pharmacokinetics and safety profiles of anti-human transferrin receptor antibody-fused N-sulfoglucosamine sulfohydrolase for mucopolysaccharidosis type IIIA
発表日時	口頭発表：2月25日(土) 8:00 AM - 9:00 AM ポスターNo.180：2月25日(土) 3:00 PM - 4:00 PM
発表者	Asuka Inoue, Ph.D.

開発番号：JR-471

(血液脳関門通過型遺伝子組換え α -L-フコシダーゼ)

対象疾患：フコシドーシス

演題名	A fusion protein of anti-human transferrin receptor antibody and alfa-L-fucosidase 1 is a prospective candidate for the treatment of the symptoms in CNS and visceral tissues of fucosidosis
発表日時	ポスターNo.381：2月25日(土) 4:00 PM - 5:00 PM
発表者	Eiji Yoden

演題名	International online survey of fucosidosis: Key symptoms and the family experience
発表日時	ポスターNo.154：2月25日(土) 3:00 PM - 4:00 PM
発表者	Kohtaro Hamauchi

その他疾患：

対象疾患：クラッベ病

演題名	Life-span extension in Krabbe disease mice by treatment with a transferrin receptor-targeted galactocerebrosidase
発表日時	ポスターNo.179：2月25日(土) 3:00 PM - 4:00 PM
発表者	Atsushi Imakiire

対象疾患：CLN1

演題名	Treatment of CLN1 disease with a blood-brain barrier penetrating lysosomal enzyme AGT-194
発表日時	口 頭 発 表：2月23日（木）2:00 PM - 3:00PM ポスターNo.153：2月23日（木）3:00 PM - 4:00 PM
発表者	Andreas Hahn, M.D., Ph.D.

WORLD*Symposium*TM 2023 参加者でさらに情報を希望される方は、JCR の展示ブースまでお越しください。

WORLD*Symposium*TM 2023

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です。(<https://worldsymposia.org/>)

JR-141 (pabinafusp alfa) について

JR-141 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参りました。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いたしました^{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おります。また、中枢神経症状への作用と考えられる結果も得ております^{3,4,5,6}。また現在、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す。

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月より販売しています。

また、2021年9月に、武田薬品工業株式会社と特定地域における独占的な共同開発およびライセンス契約を締結しました。両社は当社が実施するグローバル臨床第 III 相試験の終了後、本治療薬を一日でも早く患者の皆さんにお届けできるよう協力してまいります。

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。

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 Neuronopathic 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