



2024年9月5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  
(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  
(TEL 0797-32-1995)

### SSIEM Annual Symposium 2024 における発表内容のご報告

JCRファーマ株式会社（本社：兵庫県芦屋市、代表取締役会長兼社長：芦田信）は、Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism (SSIEM) Annual Symposium 2024（開催：ポルトガル共和国ポルト、2024年9月3日～6日）において、当社が独自に開発した血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo<sup>®</sup>」を適用したライソゾーム病治療薬の研究開発に関し2演題の発表を行いました。

当社の代表取締役会長兼社長 芦田信は次のように述べています。

「ライソゾーム病の治療においては、疾患に伴う神経学的な兆候や症状を治療することが求められており、当社はこのアンメットメディカルニーズを見据えて治療薬の開発に取り組んでいます。JR-171の臨床データは、JR-171がムコ多糖症I型に伴う全身症状および神経症状への有効な治療としての可能性を示しています。また、GM1ガングリオシドーシスに対する動物試験のデータは、J-Brain Cargo<sup>®</sup>技術と遺伝子治療の組み合わせによる治療の可能性を示しています。これらのプログラムの進捗については、今後もご報告を致します。」

今回発表した、ムコ多糖症I型（MPS I）を対象に開発中の治療薬JR-171についての症例報告、およびGM1ガングリオシドーシスモデルマウスに対する遺伝子治療についての研究報告の概要は以下の通りです。なお、GM1ガングリオシドーシスの発表については、最も高く評価されたポスター発表（highest ranked posters）のひとつに選ばれました。

#### **Neurobehavioural and somatic improvements observed in MPS I patients treated with lepunafusp alfa (JR-171): report of four cases (PO-238)**

Presenter: Ana Maria Martins, M.D., Ph.D. (Federal University of São Paulo, São Paulo, Brazil)

本研究では、ブラジルのMPS I患者4名にJR-171（2mg/kg/週:2名、4mg/kg/週:2名）を静脈内投与した臨床データを、神経行動学的評価に着目して報告する。当該MPS I患者

において、顕著な神経行動学的及び全身症状の改善が認められた。この改善は、患者の QoL に具体的で良好な変化をもたらした。これらの症例は、JR-171 の第 I/II 相試験で観察された良好な精神神経学的及び行動学的変化、並びに JR-171 の全身症状に対する有効性を示しており、MPS I 患者にみられる全身症状及び神経障害に対する有効な治療薬としての可能性を示している。神経障害症状に対する JR-171 の有効性を確立するためには、さらなる神経認知機能評価及び発達評価が必要である。

### **Gene therapy for GM1 gangliosidosis mediated by AAV vector carrying BBB-penetrable enzyme (PO-211)**

Presenter: Saki Matsushima, Ph.D. (Division of Gene Therapy, Research Center for Medical Sciences, The Jikei University School of Medicine, Tokyo, Japan)

肝臓のみで抗 TfR 抗体融合  $\beta$  ガラクトシダーゼ (T $\beta$ Gal) を発現する AAV ベクターを GM1 ガングリオシドーシスモデルマウスに静脈内投与し、薬効を評価した報告。T $\beta$ Gal 発現 AAV 投与群は投与後 6 ヶ月で中枢神経系組織において末梢臓器と同様に酵素活性の上昇がみられ、蓄積基質は投与量依存的に減少した。さらには、生存率、病理組織学的評価、及び行動評価で改善を認めた。更なる検討は必要であるものの、抗 TfR 抗体融合酵素を AAV に搭載する本治療法は、他の遺伝性中枢神経疾患に対して適用できると期待される。

### **Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism (SSIEM)**

遺伝性代謝疾患や関連するトピックの研究を促進することを目的として 1963 年に設立された。遺伝性代謝疾患にかかわる様々な分野の専門家により活発な議論を行うため、年に一度国際的な学術集会が開催される。(<https://www.ssiem.org/>)

### **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 型治療薬 イズカーゴ® (国際一般名 : pabinafusp alfa) が日本で実用化されている。

### **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) について**

ライソゾーム病の一種で、ムコ多糖を体内で分解する酵素 ( $\alpha$ -L-イズロニダーゼ) の欠損により発症する常染色体潜性遺伝性疾患。世界における患者数は 3,000~4,000 人と推定され (当社調べ)、中枢神経症状、関節病変、低身長、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫など幅広い症状がある。既存治療法の酵素製剤は血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経症状に対し効果が期待できないことが重大な課題となっている。ライソゾーム病において唯一、重症患者に対し造血幹細胞移植が標準治療として認められているが、ムコ多糖症 I 型全体においてアンメット・メディカルニーズが存在する。

### **GM1 ガングリオシドーシスについて**

GM1 ガングリオシドーシスは、GLB1 遺伝子の異常により、GM1 ガングリオシドやその他糖脂質の分解に関わる  $\beta$ -ガラクトシダーゼというライソゾーム酵素の機能障害または欠損により引き起こされる常染色体潜性遺伝疾患である。脳を含む様々な組織に GM1 ガングリオシドが蓄積することで、重篤な神経変性や全身性の症状が引き起こされる。GM1 ガングリオシドーシスは臨床症状が現れる年齢の違いに基づき I~III 型の 3 つの病型に分類される。

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