

2024年12月3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**ムコ多糖症 IIIB 型に対する JR-446 の第 I/II 相試験における投与開始について**

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 が創製した血液脳関門通過型 α -N-アセチルグルコサミニダーゼ製剤 [開発番号：JR-446] について、ムコ多糖症 IIIB 型（サンフィリップ症候群 B 型、以下、「MPS IIIB」）を対象とした日本国内での臨床第 I/II 相試験において、第 1 例目となる被験者への初回投与が行われましたので、お知らせします。

MPS IIIB は、ライソゾーム病の一種であり、重度の中枢神経障害を呈する疾患です。世界における患者数*¹は 500 人から 1,000 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。

JCR は非臨床試験において、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo[®]」を使用した JR-446 が MPS IIIB に関連する症状に対する効果を示すことを確認しています。

本臨床試験は、18 歳未満の MPS IIIB の患者さんを対象とした多施設共同の単群非盲検試験です。JR-446 の安全性、忍容性、並びに潜在的有効性の評価を主な目的としており、複数用量の JR-446 を投与することで、至適用量についても評価いたします。本試験の概要については、臨床研究等提出・公開システム（jRCT）で提供される公開情報をご覧ください。
(<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2071240043>)

本試験の医学専門家である、国立研究開発法人 国立成育医療研究センター 小児内科系専門診療部 遺伝診療科 診療部長の小須賀 基通 医師は、次のように述べています。

「これまで治療法がなかった MPS IIIB に対する新たな治療法が提供できることを喜ばしく思います。我が国では、MPS III の中でも MPS IIIB の頻度は高く、中枢神経系症状が主であることから、中枢神経をターゲットにした新たな治療法が長く待たれていました。本臨床試験が MPS IIIB の患者さんの病状や日常生活を変える大きな転換点になることを願ってやみません。」

メディパルと JCR は、2023 年 9 月に、JR-446 の MPS IIIB を対象疾患とした海外事業化に関する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*²しています。

今後も、両社は、協業による超希少疾病用医薬品の開発を行うことで、治療薬を待ち望んでいる患者さんに貢献できる取り組みを推進し、だれもが心身ともに健やかに暮らせる社会の実現と企業価値の向上を目指していきます。

* 1 厚生労働省班研究等の公開情報および JCR の独自調査を元に算出

* 2 ご参考：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】

ムコ多糖症 IIIB 型 (サンフィリップ症候群 B 型) について

ムコ多糖症 IIIB 型 (サンフィリップ症候群 B 型) は、ヘパラン硫酸の分解に関わるライソゾーム酵素をコードする *NAGLU* 遺伝子の異常によって生じる常染色体潜性遺伝疾患である。脳内の中枢神経系へのヘパラン硫酸の蓄積により、睡眠障害、言語消失、行動の変化などの神経症状が急速に進行し、患者や家族の生活の質に大きな影響を与える。

以 上

【株式会社メディパルホールディングスについて】 (2024年3月末現在)

代 表 者：	代表取締役社長 渡辺 秀一
本 社 所 在 地：	東京都中央区京橋三丁目1番1号
設 立：	1923年5月6日
連 結 従 業 員 数：	13,075名
資 本 金：	223億98百万円
事 業 内 容：	持株会社として「医療用医薬品等卸売事業」、「化粧品・日用品、一般用医薬品卸売事業」ならびに「動物用医薬品・食品加工原材料卸売等関連事業」などを行う関係会社の株式を所有する事による当該関係会社の経営活動の管理・支援およびメディパルグループにおける事業開発等

【JCRファーマ株式会社について】 (2024年9月末現在)

代 表 者：	代表取締役会長兼社長 芦田 信
本 社 所 在 地：	兵庫県芦屋市春日町3番19号
設 立：	1975年9月13日
連 結 従 業 員 数：	997名
資 本 金：	90億61百万円
事 業 内 容：	医療用医薬品、再生医療等製品および医薬品原料の製造、仕入および販売ならびに医療機器の販売

【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
TEL：0797-32-1995

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。