

2025 年 5 月 15 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 経 営 戦 略 本 部 長 伊 藤 洋
(TEL 0797-32-1995)

ASGCT 28th Annual Meeting における発表内容のご報告

JCR 独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を用いた AAV 遺伝子治療が
中枢神経系疾患の治療に有効である可能性を非臨床研究で示した

J C R ファーマ株式会社（代表取締役会長兼社長：芦田 信）は、American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT) 28th Annual Meeting（開催：米国ルイジアナ州ニューオーリンズ、2025 年 5 月 13 日～17 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®」（以下、JBC）を適用したアデノ随伴ウイルス（以下、AAV）ベクターを用いた遺伝子治療の非臨床研究データについて、口頭発表を行いました。

当社は、標的組織への送達性を高め、肝臓への集積性を低減させ安全性を高めた AAV ベクターの作製に成功し、この技術を「JUST-AAV」と名付けました。JUST-AAV は、肝臓回避型、筋指向型、脳指向型など、複数の種類を含み、AAV による遺伝子治療をさらに発展させる可能性をもった当社独自の新規プラットフォーム技術です。

当社の取締役専務執行役員研究本部長の藺田 啓之は次のように述べています。
「今回の研究成果は、これまで治療が困難であった疾患に対する新たな治療法の可能性を開くものです。非臨床試験において、当社の新技術である脳指向型 JUST-AAV は従来の AAV9 と比較して効率良く薬剤を中枢神経系へ送達できることを示しました。また、肝臓への指向性を著しく減少させることで、ヒトでの使用における AAV の安全性向上が期待できます。当社は、アンメット・メディカルニーズに対応する革新的なソリューションの開発に尽力しており、今回の研究はその重要な一歩となります。」

発表内容

Incorporation of transferrin receptor binder and surface mutations into AAV enables efficient brain delivery and reduced liver tropism

Presenter: Yuhei Ashida (JCR Pharmaceuticals)

トランスフェリン受容体に結合する JBC を AAV カプシド内に組み込むことで脳への指向性を高めた AAV ベクター（脳指向型 JUST-AAV）の作製に成功した。さらに、AAV の

配列に独自の改変を加えることで、副作用として懸念されていた肝臓への AAV ベクターの集積を顕著に低減した。JUST-AAV はマウスにおける試験で AAV9 と比較して 77 倍高い脳での緑色蛍光タンパク質 (GFP) の発現を達成し、肝臓における AAV ゲノム量は 99% 低減された。さらに血液脳関門通過性を高めるため、トランスフェリン受容体以外の受容体に結合する分子を AAV カプシド内に追加で組み込む改良を行った。このベクターはサルにおける試験で AAV9 と比較して数十～数百倍の脳への遺伝子導入効率を示した。一方で肝臓や後根神経節といった副作用が懸念される組織への感染は 90% 以上減少していた。JUST-AAV を神経セロイドリポフスチン症のモデルマウスに投与したところ、けいれんなどの症状が消失し、長期間の生存を実現した。これらの結果から、今回開発された JUST-AAV 技術は従来よりも高効率で安全な遺伝子治療を可能にすることが期待される。

American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT)

遺伝子治療と細胞治療における主要な専門家団体で、遺伝子治療と細胞治療の発見と臨床応用を通じて、疾患の緩和につながる知識、認識、教育を促進することを使命としている。
(<https://www.asgct.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 型治療剤「イズカーゴ®」(国際一般名: pabinafusp alfa) が日本で実用化されている。

JUST-AAV について

目的とする特定の組織・臓器への指向性を持たせ、安全性を高めるために特定の組織・臓器への移行性を低減させるようなカプシド表面の改変を可能とした AAV。またその技術の総称。「JCR」「Ultimate destination of organ」「Safeguarding against off-target delivery」「Transformative technology」の頭文字を名称の由来とし、様々な疾患の治療に応用できる可能性をもつ当社独自の遺伝子治療プラットフォーム技術である。

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