

2025年7月2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
E-mail : ir-info@jp.jcrpharm.com

JR-141 グローバル臨床第 III 相試験における目標症例数の組入れ達成のお知らせ

JCRファーマ株式会社（代表取締役会長兼社長：芦田 信）は、JR-141（一般名：パピナフスプ アルファ）のグローバル臨床第 III 相試験において、目標症例数の組入れを達成したことをお知らせします。

JR-141 は、J-Brain Cargo®を適用したムコ多糖症 II 型（ハンター症候群）治療酵素製剤であり、血液脳関門を通過して作用を発揮する世界で初めての点滴静注による医薬品です。日本においては 2021 年 5 月より「イズカーゴ®点滴静注用 10mg」として販売しており、海外では米国、中南米、欧州にてグローバル臨床第 III 相試験（JR-141-GS31）を実施しています。

当社の代表取締役会長兼社長である芦田 信は、次のように述べています。

「今回の成果は、JR-141 の臨床開発プログラムにおける大きな節目です。ハンター症候群は生命を脅かす重篤な疾患であり、既存の治療選択肢は十分ではないため、患者さんやそのご家族は中枢神経系症状に有効な治療法を必要としています。グローバル臨床第 III 相試験は順調に進展しており、今後臨床試験データが得られることを楽しみにしています。この臨床試験にご参加いただいているすべての方々に、心より感謝を申し上げます。」

JR-141（パピナフスプ アルファ）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系症状に対する作用を期待し、分子設計の段階から非臨床、臨床に至るまで必要なエビデンスを構築しながら開発を進めてきた。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している^{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いる³。また、中枢神経系症状への作用と考えられる結果も得られている^{4,5,6}。なお、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ある。

ムコ多糖症Ⅱ型（ハンター症候群）について

ライソゾーム病の一種であり、遺伝子異常により全身の細胞においてライソゾーム内の特定の加水分解酵素（イズロン酸-2-スルファターゼ）が欠損または働きが低下することでムコ多糖（グリコサミノグリカン）が過剰蓄積する X 染色体連鎖潜性遺伝性疾患。発症頻度は男児約 5 万人に 1 人とされており、世界における患者数は 2,000～3,000 人と推測されている（当社調べ）。関節拘縮や骨変形、肝臓・脾臓の肥大、呼吸障害、弁膜疾患等、幅広い症状が挙げられるが、特に中枢神経系症状の進行抑制が課題となっている。

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 Neuropathic 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

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。