

2026年9月11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
グローバル臨床第 I/II 相試験における投与開始のお知らせ**

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、代表取締役社長：菌田 啓之、以下、「JCR」）は、JCRが創製し、メディパルが海外における事業化についての実施許諾権を取得している血液脳関門通過型 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、このたび、ムコ多糖症 IIIB 型（サンフィリップ症候群 B 型、以下、「MPS IIIB」）を対象としたグローバル臨床第 I/II 相試験（以下、「本試験」）において、第 1 例目となる被験者への初回投与が行われたことをお知らせします。

MPS IIIB は、ライソゾーム病の一種であり、重度の中枢神経系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 人と推定されている超希少疾患であり、これまでに承認された治療薬はありません。

治験責任医師を務めるカリフォルニア大学サンフランシスコ校の医学遺伝学部門 生化学遺伝学セクション 小児科准教授である Irene Chang 医師は、次のように述べています。

「本試験における最初の患者さんへの投与は、MPS IIIB のコミュニティにとって重要なマイルストーンとなります。MPS IIIB は、患者さんの神経認知機能の発達、自立、そして QOL に影響を及ぼす、極めて重篤かつ生命を脅かすライソゾーム病ですが、現在、承認された治療法は存在しません。本疾患の患者さんとそのご家族は、依然として重大なアンメット・メディカル・ニーズに直面しています。私たちは、JR-446 の可能性を評価する上で次の段階へと進めることを大変心強く感じています。この重要なマイルストーンを実現に導いた患者さん、介護者、そして治験チームの皆様の尽力に深く感謝申し上げるとともに、本試験が MPS IIIB と共に生きる方々とそのご家族の QOL を大きく向上させるものとなることを願っています。」

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}しており、当該契約に基づき、メディパルは日本を除く全世界における事業化に関する再実施許諾権付独占の実施権を保有しています。メディパルからの委託を受け、JCR は治験依頼者として本試験の実施および開発活動を主導しています。

本試験は、6 歳未満の MPS IIIB の患者さんを対象とした、JR-446 の安全性、忍容性および予備的な有効性を評価することを目的とするグローバルの多施設共同の非盲検試験です。概要につきましては、[clinicaltrials.gov \(NCT07640984\)](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT07640984) をご覧ください。

JCR 独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を使用した JR-446 は、非臨床試験において MPS IIIB に関連する症状に対する効果を示すことが確認されており、現在、日本においては、両社の共同開発契約のもと臨床第 I/II 相試験（[JR-446-101](#)）を実施中です。なお、JR-446 は、昨年、米国、欧州（EU）および日本において、オーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）の指定を受けています。

両社は、MPS IIIB の患者さんに一日でも早く本剤を届けられるよう、引き続き取り組んでまいります。

* 1 厚生労働省班研究等の公開情報を参照のうえ JCR の独自調査に基づき算出

* 2 ご参考：2023年9月28日開示リリース「メディカ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。

血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo® 技術について

J-Brain Cargo® は、JCR 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：パピナフスプ アルファ）が日本およびアラブ首長国連邦で承認されている。JCR およびメディカルは、J-Brain Cargo® により、酵素を体と脳の両方に送達することで、ライソゾーム病におけるアンメット・メディカル・ニーズの解決を目指している。

以 上

【本件に関するお問い合わせ先】

株式会社メディカ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

E-mail：ir-info@jp.jcrpharm.com

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。