



2024年10月31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)

ムコ多糖症 IIIA 型に対する JR-441 の第 I 相試験の投与開始について

JCRファーマ株式会社（代表取締役会長兼社長：芦田 信）は、当社が創製したムコ多糖症 IIIA 型（サンフィリップ症候群 A 型）治療酵素製剤 [開発番号：JR-441（血液脳関門通過型遺伝子組換えヘパラン N-スルファターゼ）] に関する日本での臨床第 I 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たことをお知らせします。

ムコ多糖症 IIIA 型は、重度の中枢神経系症状を呈する疾患で、現時点で承認された治療薬は存在しません。当社は、非臨床試験において JR-441 がムコ多糖症 IIIA 型に関連する中枢神経系症状に対する効果を示すことを確認しております。

本試験は、1 歳以上 18 歳未満のムコ多糖症 IIIA 型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-441 の安全性、生物学的効果、および薬物動態プロファイルの評価を主な目的としております。

本試験の医学専門家である、国立大学法人 熊本大学大学院 生命科学研究部 小児科学講座 教授 中村 公俊 医師は、次のように述べています。

「ムコ多糖症 IIIA 型の中枢神経系症状の改善はこの疾患の治療における大きな課題でした。この新しい治療法の提案により、ムコ多糖症 IIIA 型の診療は新しい時代を迎えることとなります。新しい治療の提供は私たち医療者が待ち望んでいたものであり、その効果が臨床現場において確認され、患者のみなさんとご家族の日常をより良いものとするのを期待しています。」

JR-441 は、これまでに欧州委員会（EC）及び米国食品医薬品局（FDA）よりオーファンドラッグの指定を受けており、2023 年よりドイツで臨床第 I/II 相試験を実施中です。

今回日本で開始した臨床第 I 相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/jRCT2071240053>）

ムコ多糖症 IIIA 型（サンフィリッポ症候群 A 型）について

ムコ多糖症 IIIA 型（サンフィリッポ症候群 A 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 **SGSH** 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。全身の様々な細胞、特に脳内の中枢神経系へのヘパラン硫酸の蓄積により、重度の神経学的退行、認知機能障害、軽度の全身症状を呈する。

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。