

2024年7月1日

各 位

株式会社メディopal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 相試験の治験計画届受理  
および治験計画に関する当局調査終了について**

株式会社メディopal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opal」）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  $\alpha$ -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）に関する臨床第 I/II 相試験の治験計画届が独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に受理され、所定の調査が終了しましたことをお知らせします。

ムコ多糖症 IIIB 型は、ライソゾーム病の一種であり、重度の中樞神経障害を呈する疾患です。世界における患者数<sup>\*1</sup>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 は前臨床試験において、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo<sup>®</sup>」を使用した JR-446 がムコ多糖症 IIIB 型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。

メディopalと JCR は、2023年9月に、JR-446 のムコ多糖症 IIIB 型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<sup>\*2</sup>しています。今回の治験計画届に関する当局調査が終了したことを踏まえ、両社は2024年度上半期（4-9月）中にまずは日本での当該試験の開始を予定しています。

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opal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劣性遺伝疾患である。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opal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opal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3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： 934名  
資 本 金： 90億61百万円  
事 業 内 容： 医薬品、再生医療等製品およびその原料の製造、売買ならびに輸出入医療用機器および実験用機器の売買ならびに輸出入

**【本件に関するお問い合わせ先】**

株式会社メディopal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。