



2024年7月18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)

第7回国際ライソゾーム病フォーラムにおける研究発表のお知らせ

JCRファーマ株式会社（本社：兵庫県芦屋市、代表取締役会長兼社長：芦田 信）は、2024年7月12日～13日に東京で開催された第7回国際ライソゾーム病フォーラムにおいて、当社で研究開発を進めている遺伝子治療に関して発表を行ったことをご知らせいたします。

今回発表した遺伝子治療技術は、当社独自の中枢神経系への薬物送達技術であり臨床応用されている J-Brain Cargo[®] をアデノ随伴ウイルス（AAV）の表面に修飾したものです。

この AAV ベクターは、マウスおよびサルを用いた非臨床試験において、効率的に脳へと送達されることが示されました。また、一般的に、投与された AAV ベクターの大部分は肝臓に集積しますが、J-Brain Cargo[®] を適用した新たな AAV ベクターを用いた場合には、肝臓への集積を著しく低減した上でベクターが脳へと送達されており、AAV による肝障害のリスクを下げられる治療法の開発へとつながる可能性が示されました。

当社の代表取締役会長兼社長 芦田 信は次のように述べています。

「今回発表した非臨床データは、当社の独自技術 J-Brain Cargo[®] が遺伝子治療にもたらす新たな可能性を示唆しています。AAV を用いた遺伝子治療においては、脳へのベクターの効率的な送達および肝臓に対する副作用の軽減が大きな課題であり、当社の技術が新たなプラットフォームのひとつとなり治療法の開発につながることを期待しています。」

国際ライソゾーム病フォーラム

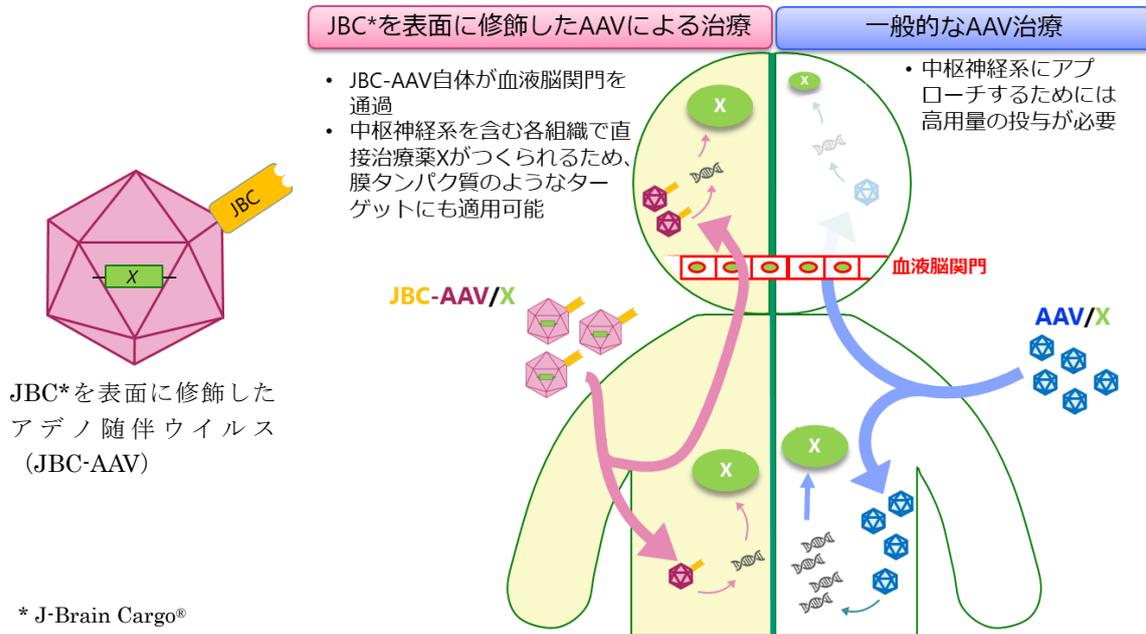
このフォーラムは、遺伝病研究で国際的に活躍されている欧米の著名な学者による講演並びに討論ができる場を提供し、本邦での国際的人材養成のために貢献することを目的としています。2007年に第1回が開催され、以降17年の歴史をもつ国際的なライソゾーム病研究のフォーラムです。(<https://ifld2024.jp/>)

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します。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：pabinafusp alfa）が日本で実用化されています。

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。

参考資料：



以上