

2024年12月25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)

血液脳関門通過型ムコ多糖症 IIIA 型治療酵素製剤（開発番号：JR-441） 希少疾病用医薬品指定のお知らせ

JCRファーマ株式会社（代表取締役会長兼社長：芦田 信）は、当社が独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo[®]」を適用して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）〕が、本日厚生労働省より希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）に指定されましたことをお知らせいたします。

JR-441 は、2022 年 1 月には欧州委員会（EC）より、2023 年 12 月には米国食品医薬品局（FDA）よりオーファンドラッグの指定を受けております。

JR-441 は、現在 2 つの臨床試験で研究されている治療薬です。ドイツにて臨床第 I/II 相試験（JR-441-101:[NCT06095388](#)）、日本において臨床第 I 相試験を実施しております（JR-441-JP11:[jRCT2071240053](#)）。

希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）指定について

医薬品医療機器等法に基づき、指定を受けた希少疾病用医薬品が試験研究促進を目的とし、特別支援措置を受けられる制度。指定基準として、当該医薬品の用途に係る対象者の数が日本において 5 万人未満であるか、その用途が指定難病であること、重篤な疾病等を対象とするとともに、既承認薬等がないこと、又は既承認薬等と比較して高い有効性又は安全性が期待されるなど、特に医療上の必要性が高いものであること、また、申請者は国内での開発を行うことのできる体制及び計画を有していることが必要とされる。

ムコ多糖症 IIIA 型（サンフィリップ症候群 A 型）について

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。

現時点で承認された治療薬は存在せず、日本では「ライソゾーム病」として難病指定されている。

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。