2026 年 10 月 2 日

各　　位

Italfarmaco S.p.A.
ＪＣＲファーマ株式会社

**ハンター症候群の新規治療剤 JR-141**
**欧米等における商業化に関するライセンス契約締結のお知らせ**

Italfarmaco S.p.A.（本社：イタリア共和国ミラノ、CEO：Francesco Di Marco、以下「Italfarmaco」）と、ＪＣＲファーマ株式会社 （本社：兵庫県芦屋市、代表取締役社長：薗田 啓之、以下「ＪＣＲファーマ」）は、ＪＣＲファーマが日本で製造販売承認取得済の J-Brain Cargo®を適用した血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤 JR-141（一般名：パビナフスプ アルファ、日本での販売名：「イズカーゴ®」、以下「本剤」）について、本日（10 月 2 日）、米国・欧州・中南米（以下「契約地域」）における開発および商業化に関する独占的ライセンス契約（以下「本契約」）を締結したことをお知らせします。

本剤は、静脈内投与により酵素をハンター症候群の患者さんの脳を含む全身に送達する医薬品であり、2021 年に日本で承認・発売されています。現在、本剤のグローバル臨床第 3 相試験を実施中であり、両社は、米国食品医薬品局（FDA）、欧州医薬品庁（EMA）、英国医薬品医療製品規制庁（MHRA）およびブラジル国家衛生監督庁（ANVISA）からの承認取得を目指しています。
規制当局からの承認取得後には、Italfarmaco が契約地域における販売および流通を担当し、ＪＣＲファーマは JR-141 の製造を引き続き担当することになります。

本契約締結に伴い、ＪＣＲファーマは Italfarmaco から契約一時金を受領します。また、マイルストーンおよびロイヤルティ、ならびに製品供給の対価を受領する権利を有します。
本契約は、両社の戦略的提携関係をさらに発展させるものです。両社は、2025 年 12 月にデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬である givinostat の日本における商業化に関する独占ライセンス契約を締結するとともに、希少疾病治療薬に関する戦略的パートナーシップ契約を締結しました。

ＪＣＲファーマの代表取締役社長の薗田 啓之は、次のように述べています。
「世界中のハンター症候群の患者さんに本剤を提供するという目標に向けて、Italfarmaco という理想的なグローバル販売パートナーとのライセンス契約を締結し、協業できることを大変喜ばしく思います。Italfarmaco は、治療薬の開発およびグローバルでの販売の強みを有しており、同社と協力して一日も早く本剤をお届けできるよう、尽力してまいります。本契約は、希少疾病および遺伝性疾患の治療薬開発に対する Italfarmaco とのパートナーシップへの当社の取り組みをさらに広げるものです。」

Italfarmaco グループの CEO である Francesco Di Marco は、次のように述べています。
「本契約は、Italfarmaco とＪＣＲファーマとの関係における重要なマイルストーンであり、希少疾病および遺伝性疾患とともに生きる患者さんのために革新的な治療法の実現を目指す両社共通のコミットメントを示すものです。ＪＣＲファーマの先進的な血液脳関門通過技術に関する専

門性と、Italfarmaco の希少疾病領域におけるグローバルな開発・商業化能力を結集することで、十分な治療選択肢が存在しない患者コミュニティに対するイノベーションを加速させるための強固な基盤を築いています。」

Italfarmaco の Vice President and Head of Business & Portfolio Development である Antonio Nardi は、次のように述べています。
「デュシェンヌ型筋ジストロフィーにおける既存の協業の成功を基盤として、本契約は、両社のパートナーシップをさらに強化し、希少疾病および遺伝性疾患領域におけるリーディングカンパニーを目指す共通の志をあらためて示すものです。信頼できるパートナーとともに、私たちは、患者さんとそのご家族に変革をもたらす治療法を届けるという使命をさらに前進させていくことを楽しみにしています。」

本件に関する契約一時金は、今期（2027 年 3 月期）のＪＣＲファーマ連結業績予想に織り込み済みです。

**J-Brain Cargo®技術について**
ＪＣＲファーマ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：パビナフスプ アルファ）が日本で実用化されている。ＪＣＲファーマは、J-Brain Cargo®により、脳を含む全身に、酵素を送達することで、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。

**ハンター症候群（ムコ多糖症 II 型）について**
ライソゾーム病の一種であり、遺伝子異常により全身の細胞においてライソゾーム内の特定の加水分解酵素（イズロン酸-2-スルファターゼ）が欠損または働きが低下することでムコ多糖（グリコサミノグリカン）が過剰蓄積する X 染色体連鎖潜性遺伝性疾患。発症頻度は男児約 5 万人に 1 人とされており、世界における患者数は 2,000～3,000 人と推測されている（ＪＣＲファーマ調べ）。関節拘縮や骨変形、肝臓・脾臓の肥大、呼吸障害、弁膜疾患等、幅広い症状が挙げられるが、特に中枢神経系症状の進行抑制が課題となっている。

**イズカーゴ®（パビナフスプ アルファ、JR-141）について**
マンノース-6-リン酸受容体を介した全身作用に加え、ＪＣＲファーマ独自の血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®によりトランスフェリン受容体を介して血液脳関門（以下、BBB）を通過させることによる中枢神経系症状に対する作用を期待し、分子設計の段階から非臨床、臨床に至るまで必要なエビデンスを構築しながら開発を進めてきた。非臨床試験においては、トランスフェリン受容体への親和性だけでなく、JR-141 が BBB を通過し神経細胞へ到達することを確認し、また、脳の各組織中への酵素取り込み、蓄積基質の減少を確認している [1,2]。これらの結果に基づき実施した臨床試験においては、脳脊髄液中のヘパラン硫酸濃度において、非臨床試験にて得られた結果と矛盾しない結果を得ている [3]。また、中枢神経系症状への作用と考えられる結果も得られている [4,5,6]。なお、現在 JR-141 の長期投与を検討するために複数の試験を進行中である。
日本においては、「イズカーゴ®点滴静注用 10mg」の販売名で厚生労働省より承認を取得し、2021 年 5 月より販売中である。2026 年にはアラブ首長国連邦において承認を取得した。

**Italfarmaco S.p.A.について**
1938 年にイタリアのミラノで設立され、世界中で数多くの医薬品の開発と承認を成功に導いてきた非上場のグローバル製薬企業。Italfarmaco グループは、直接または関連会社を通じて 90 ヵ国以上で事業を展開しており、医薬品の研究、開発、製造、および商業化の分野でリーダーシップを発揮し、がん、婦人科、神経科、心血管疾患、希少疾病を含む多くの治療領域で実績を確立している。Italfarmaco の希少疾病部門では、デュシェンヌ型筋ジストロフィー、ベッカー型筋ジストロフィー、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、真性多血症を対象としたプログラムを展開して

いる。

参考文献

1: Sonoda, et al. A blood-brain-barrier-penetrating anti-human transferrin receptor antibody fusion protein for neuronopathic mucopolysaccharidosis II. Mol. Ther. 2018; 26(5):1366-1374.
2: Morimoto, et al. Clearance of heparin sulfate in the brain prevents neurodegeneration and neurocognitive impairment in MPS II mice. Mol. Ther. 2021; 29(5): 1853-1861.
3: Okuyama, et al. Iduronate-2-sulfatase with Anti-human Transferrin Receptor Antibody for Neuropathic Mucopolysaccharidosis II: A Phase 1/2 Trial. Mol Ther. 2020; 27(2): 456-464.
4: Okuyama, et al. A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa, IDS Fused with Anti-Human Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in MPS-II. Mol Ther. 2021; 29(2): 671-679.
5: Giugliani, et al. Iduronate-2-sulfatase fused with anti-human transferrin receptor antibody, pabinafusp alfa, for treatment of neuronopathic and non-neuronopathic mucopolysaccharidosis II: Report of a phase 2 trial in Brazil. Mol Ther. 2021; 29(7): 2378-2386.
6: Giugliani, et al. Enzyme Replacement Therapy with Pabinafusp Alfa for Neuronopathic Mucopolysaccharidosis II; an Integrated Analysis of Preclinical and Clinical Data. Int. J. Mol. Sci. 2021, Volume 22, Issue 20, 10938.

以　上

プレスリリースは株主・投資家の皆さまや報道関係者へ、事業に関する最新情報の提供を目的としたものです。プレスリリース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。

【お問い合わせ先】
**Italfarmaco S.p.A.**
＜メディア問い合わせ＞
Gretchen Schweitzer / Adolfo Luna
+49 (0) 151 626 74395
italfarmaco@trophic.eu

＜その他問い合わせ＞
Samantha Parker
Patient Advocacy and Communications Lead
RDEnquiries@italfarmacogroup.com

**ＪＣＲファーマ株式会社**
経営戦略本部　広報・IR 室
ir-info@jp.jcrpharm.com