Life is Rare

2025年12月24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
E-mail：ir-info@jp.jcrpharm.com

ItalfarmacoとＪ ＣＲファーマ
デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬Givinostatの日本での商業化契約の締結および希少疾病治療薬についての戦略的提携のお知らせ

ＪＣＲファーマ株式会社とItalfarmaco S.p.A.は、本日付で、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 Givinostat をＪＣＲファーマが日本において開発および商業化するライセンス契約を締結することを決定し、希少疾病治療薬についての戦略的提携に合意したことをお知らせします。

詳細につきましては、別紙をご覧ください。

なお、本件に関する今期（2026年3月期）の当社連結業績への影響は精査中です。

以　上

Italfarmaco とＪＣＲファーマ
デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 Givinostat の日本での商業化契約の締結
および希少疾病治療薬についての戦略的提携のお知らせ

- Italfarmaco は、日本における Givinostat の開発および商業化についての独占的ライセンス権をＪＣＲファーマに付与する契約を本日締結しました。
- 希少疾病分野における戦略的提携により、両社のポートフォリオの拡充を目指すとともに、ＪＣＲファーマの研究開発パイプラインおよび基盤技術における共同の機会を探求します。

Italfarmaco S.p.A.（本社：イタリア共和国ミラノ、CEO：Carlos Barallobre、以下「Italfarmaco」）と、ＪＣＲファーマ株式会社 （本社：兵庫県芦屋市、代表取締役会長兼社長：芦田 信、以下「ＪＣＲファーマ」）は、本日、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下、DMD）治療薬 Givinostat（欧米での販売名：Duvyzat®）について、独占的なライセンス契約を締結したことをお知らせします。

この契約により、ＪＣＲファーマは Givinostat の日本における独占的商業化権を取得し、規制当局への製造販売承認申請を含む臨床開発活動を担当します。

Givinostat は、Italfarmaco 社が開発した経口投与のヒストン脱アセチル化酵素阻害剤であり、DMD 患者に対してジストロフィン遺伝子変異に依存せず使用することが可能です。Givinostat は、米国、EU、イギリスを含む複数の国々で承認されています。なお、日本においては現在承認されていません。

加えて今回の契約は、両社における広範な戦略的提携を確立し、希少疾病の治療における共同の機会を探求するものです。

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。
「このパートナーシップは、Givinostat へのアクセスの拡大および希少疾病領域においてさらに貢献することを目指すという、当社のグローバル戦略における重要なマイルストーンです。ＪＣＲファーマのイノベーションへの取り組み、日本における強み、そして患者中心のサイエンスへの注力は、当社にとってＪＣＲファーマが、日本だけではなくグローバルにおいても希少疾病ポートフォリオを拡充するための理想的なパートナーであることを示しています」

ＪＣＲファーマの代表取締役会長兼社長である芦田 信は、次のように述べています。
「Italfarmaco とのパートナーシップは、当社が次のフェーズへと成長を遂げるための重要なステップであり、将来の研究開発のパートナーシップやクロスライセンスの機会へと発展する可能性のある、両社の長期的な関係の第一歩となり得るものです。当社は希少疾病の治療薬開発に引き続き注力しており、Givinostat は、このような当社の取り組みをより広範な日本の希少疾病患者の皆さんへと拡大するものです」

Italfarmaco グループの Chairman である Francesco De Santis は、次のように述べています。「ＪＣＲファーマとの提携により、重要な DMD 治療薬へのアクセスを拡大するとともに、希少疾病分野における将来のイノベーションの基盤を築きます。ＪＣＲファーマとともに、最も必要とされる場所で意義ある治療薬を提供することに尽力します」

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）は、DMD 遺伝子の変異によって引き起こされる稀な進行性神経筋疾患である。DMD 遺伝子の変異は機能的なジストロフィンの産生を阻害し、ジストロフィン関連タンパク質複合体（DAPC）の崩壊を引き起こす。これにより筋線維は損傷を受けやすくなり、筋細胞内のヒストン脱アセチル化酵素（HDAC）レベルが上昇する。筋維持・修復に必要な重要遺伝子の活性化が阻害される。結果として筋線維は持続的な損傷を受け、慢性的な炎症と再生不良を引き起こす。時間の経過とともに筋細胞は死滅し、瘢痕組織や脂肪組織に置き換わる。[1-4] DMD は主に男性に発症し、症状は通常 2～5 歳に現れる。病状が進行するにつれて筋力低下は悪化し、歩行困難、最終的には歩行不能に至る。やがて心臓や呼吸筋も影響を受け、これらが早期死亡の主な原因となる。[5] DMD は小児における筋ジストロフィーの中で最も重篤かつ頻度の高い病型の一つであり、世界的な出生時発症率は男児約 5,050 人に 1 人とされる。[6] 日本における DMD 患者数は約 3,500 人と推定される。[7]

Givinostat

Givinostat（欧米での販売名：Duvyzat®）は、Telethon（イタリアの非営利活動団体）や Duchenne Parent Project（イタリアの患者会）との協業を通じた Italfarmaco の研究開発により見出され、遺伝子変異に依存することなく DMD 患者の治療が可能として承認された初の非ステロイド系薬剤である。ヒストン脱アセチル化酵素（HDAC）の阻害剤であり、炎症および筋萎縮を軽減するよう病態プロセスを標的として機能する。作用機序として、HDAC の病的な過剰活性を抑制することで、筋損傷に至る一連の事象に作用し、疾患の病態を抑制するとともに筋変性を遅らせる。

Italfarmaco S.p.A.

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です。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います。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、免疫腫瘍、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ます。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ます。

プレスリリースに記載されている当社に関する業績、その他予想、見通し、目標、計画、その他の将来に関する事項は、発表日現在において入手可能な情報による当社の仮定、見積り、見通し、その他の判断に基づくものであり、既知または未知のリスクおよび不確実性が内在しています。したがって、その後のさまざまな要因により、予想・計画・目標等が記載どおりに実現しない可能性や、実際の業績、開発の成否・進捗、その他の見通し等が記載内容と大きく異なる可能性があります。
また、プレスリリースは株主・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。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。

参考文献

1. Sandonà M, Cavioli G, Renzini A, et al. Histone Deacetylases: Molecular Mechanisms and Therapeutic Implications for Muscular Dystrophies. Int J Mol Sci. 2023;24(5):4306. https://doi.org/10.3390/ijms24054306.
2. Consalvi S, Saccone V, Giordani L, Minetti G, Mozzetta C, Puri PL. Histone Deacetylase Inhibitors in the Treatment of Muscular Dystrophies: Epigenetic Drugs for Genetic Diseases. Mol Med. 2011;17(5):457–465. https://doi.org/10.2119/molmed.2011.00049.
3. Bez Batti Angulski A, Hosny N, Cohen H, et al. Duchenne muscular dystrophy: disease mechanism and therapeutic strategies. Front Physiol. 2023;14:1183101. https://doi.org/10.3389/fphys.2023.1183101.
4. Giuliani G, Rosina M, Reggio A. Signaling pathways regulating the fate of fibro/adipogenic progenitors (FAPs) in skeletal muscle regeneration and disease. FEBS J. 2022;289(21):6484–6517. https://doi.org/10.1111/febs.16080.
5. Walter MC, Reilich P. Recent developments in Duchenne muscular dystrophy: facts and numbers. J Cachexia Sarcopenia Muscle. 2017;8(5):681–685. https://doi.org/10.1002/jcsm.12245.
6. Crisafulli S, Sultana J, Fontana A, Salvo F, Messina S, Trifirò G. Global epidemiology of Duchenne muscular dystrophy: an updated systematic review and meta-analysis. Orphanet J Rare Dis. 2020;15(1):141. https://doi.org/10.1186/s13023-020-01430-8.
7. 川井 充. デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者は日本に何人いるか. 脳と発達. 2013;45(Supple.):S324.

【お問い合わせ先】

Italfarmaco S.p.A.

＜メディア問い合わせ＞
Anja Heuer / Adolfo Luna
+49 (0) 151 106 199 05
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