

2018年12月21日

各 位



会社名 J C R 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
(東証1部 コード番号4552)
問合せ先 執行役員経営企画本部長 本多 裕
(TEL 0797-32-8591)

血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤（開発番号：JR-141）
第I/II相臨床試験結果の論文掲載（Molecular Therapy）についてのお知らせ

当社は、血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用したハンター症候群治療酵素製剤〔開発番号：JR-141（血液脳関門通過型遺伝子組換えイズロン酸2スルファターゼ）〕について、この度、日本国内で実施した第I/II相臨床試験結果の報告が、米国遺伝子細胞治療学会 [The American Society of Gene & Cell Therapy \(ASGCT\)](#) の機関誌 [Molecular Therapy](#) 電子版に学術論文として掲載されましたので、お知らせいたします。本論文の概要は以下の通りです。

◆論文タイトル：

Iduronate-2-sulfatase with anti-human transferrin receptor antibody for neuropathic mucopolysaccharidosis II: a phase 1/2 trial

◆DOI (Digital Object Identifier : デジタルオブジェクト識別子) :

<https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2018.12.005>

◆論文概要：

遺伝子組換えIDS酵素製剤（イデュルスルファターゼ）を継続投与している日本人ムコ多糖症II型（ハンター症候群）患者14名を対象に、JR-141を週1回、全4回点滴静注して、安全性、薬物動態ならびに探索的有効性を評価した。

- ・ 安全性：投与中止に至った事象や生命を脅かすような事象は認められず、週当たり最大2.0 mg/kg投与の忍容性が確認された。
- ・ 薬物動態：投与量に依存した血中濃度－時間曲線下面積（AUC）並びに最高血中濃度（Cmax）の上昇が認められた。また、投与開始21時間後までに血清中における薬物の消失が確認された。
- ・ 探索的有効性：バイオマーカーのデータならびに2名の被験者における認知及び運動機能の改善傾向から、中枢神経系症状の改善と、イデュルスルファターゼに劣らない全身症状への効果が示唆された。

[中枢神経系症状のバイオマーカー]

JR-141を1.0 mg/kg/週又は2.0 mg/kg/週、3週間点滴静注した後、全被験者で脳脊髄液中のヘパラン硫酸（HS）の減少が認められた。

[全身症状のバイオマーカー]

イデュルスルファーゼから、1.0 mg/kg/週又は2.0 mg/kg/週のJR-141投与に切り替えた被験者において、血清中及び尿中のHS及びデルマタン硫酸（DS）、尿中のグリコサミノグリカンについては、イデュルスルファーゼ投与時に比較し顕著な変動は認められなかった。

以 上