



2022年3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  
(東証第1部 コード番号4552)  
問合せ先 執行役員 管理本部長 本多 裕  
(TEL 0797-32-1995)

### J-Brain Cargo<sup>®</sup>を適用した新薬 - GM2 ガングリオシドーシス治療薬 - 開発着手のお知らせ

当社は、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo<sup>®</sup>」を適用した新薬の開発として、新たに GM2 ガングリオシドーシス治療薬 [開発番号: JR-479 (血液脳関門通過型遺伝組換え  $\beta$ -ヘキソサミニダーゼ A)] の開発に着手することを決定しましたので、お知らせいたします。

今回、当社が新たに着手する GM2 ガングリオシドーシスは、ライソゾーム病の一種で、糖脂質である GM2 ガングリオシドを体内で分解する酵素 ( $\beta$ -ヘキソサミニダーゼ A) の欠損により発症する疾患です。GM2 ガングリオシドが中枢神経やその他の全身組織に蓄積することで進行性の中枢神経症状を呈します。発症年齢により、乳児型、若年型、成人遅発型の3病型に分類されますが、乳児型は最も重症で、生後10年以内に死に至ることが多いと言われています。国内外において臨床的に確立された治療法はなく、特に脳組織に薬剤が到達する新しい治療薬の開発が望まれています。

GM2 ガングリオシドーシスの原因基質である GM2 ガングリオシドの分解酵素 ( $\beta$ -ヘキソサミニダーゼ A) は、 $\alpha$ サブユニットおよび $\beta$ サブユニットにて構成される分子であり、 $\alpha$ サブユニットの欠損によって発症する場合はテイ・サックス病、 $\beta$ サブユニットが欠損する場合にはサンドホフ病に分類されます。JR-479 はテイ・サックス病およびサンドホフ病の両疾患に作用するよう分子設計がされており、かつ、J-Brain Cargo<sup>®</sup>の適用により原因基質が多く存在する脳組織への効率的な薬剤移行が期待されます。

JR-479 を用いた動物試験において、静脈内投与後の脳移行性および原因基質の減少作用を確認しました。今後、具体的な開発計画を策定し、3年以内の臨床試験開始に向けて準備を進めてまいります。

当社は、独自の基盤技術である J-Brain Cargo<sup>®</sup>を適用したライソゾーム病治療薬の開発を順次行っております。今後も、希少疾病治療薬のスペシャリティファーマとして、より多くの患者の皆さんの治療に貢献できるよう研究開発を加速してまいります。

なお、本件に関する 2022 年 3 月期連結業績への影響は軽微であります。

### ライソゾーム病

厚生労働省指定難病。小児慢性特定疾病。ライソゾームと呼ばれる細胞内小器官内で、加水分解酵素や酵素のトランスポーターである膜タンパク等が遺伝子的に欠損または変化することによって、酵素活性が低下して分解できなくなった基質がライソゾーム内に蓄積し、その結果、細胞や組織に障害が生じる疾患群。症状は蓄積する物質によってさまざまであり、その多くの疾患で中枢神経症状を伴う。

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。

以 上