

2026年5月28日

各 位

会社名 J C R ファーマ株式会社
代表者名 代表取締役社長 藺田 啓之
(コード番号 4552 東証プライム市場)
問合せ先 常務執行役員経営戦略本部長 伊藤 洋
E-mail : ir-info@jp.jcrpharm.com

ムコ多糖症関連国際シンポジウム (18th International Symposium on MPS and Related Lysosomal Diseases 2026) における発表のお知らせ

J C R ファーマ株式会社 (代表取締役社長: 藺田 啓之) は、18th International Symposium on MPS and Related Lysosomal Diseases (開催: イタリア・フィレンツェ、2026年6月4日~7日(現地時間)) において、以下の3演題についてポスター発表を行うことのお知らせします。

これらの発表は、開発中の治療薬 JR-171 (国際一般名: lepunafusp alfa) の有効性に加え、当社独自の血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo[®] がライソゾーム病および神経変性疾患の治療にもたらす可能性について言及するものです。

新たな臨床データ発表の詳細は以下のとおりです。

演題名	Three-Year safety and pharmacodynamics of lepunafusp alfa (JR-171) in patients with mucopolysaccharidosis type I (MPS-I): Results from a phase I/II trial and extension study
発表形式	ポスター発表 No. 63
発表者	Paul Harmatz, M.D. (UCSF Benioff Children's Hospital, Oakland, CA)

*本発表は、ムコ多糖症 I 型患者を対象とした JR-171 の第 I/II 相臨床試験および継続投与試験における 3 年間の試験結果に関する報告です。

また、2026年2月2日~6日にかけて開催された「第22回 WORLD SymposiumTM 2026」において発表された、ムコ多糖症 II 型 (MPS II) に対する JR-141 (国際一般名: pabinafusp alfa) に関する以下のアンコール発表も行われます。

演題名	Sustained cognitive and adaptive behavior outcomes of long-term treatment with pabinafusp alfa in patients with severe or attenuated mucopolysaccharidosis type II
発表形式	ポスター発表 No. 61
発表者	Roberto Giugliani, M.D., Ph.D. (Federal University of Rio Grande do Sul, Brazil)

演題名	Long-term somatic efficacy of pabinafusp alfa across a broad spectrum of age groups and phenotypes in patients with mucopolysaccharidosis type II
発表形式	ポスター発表 No. 62
発表者	Ana Maria Martins, M.D., Ph.D. (Federal University of São Paulo)

本シンポジウム参加者でさらに情報を希望される方は、JCR の展示ブース (#5) までお越しください。

本シンポジウムの詳細プログラムは、以下のウェブサイトにてご確認ください。

<https://mps2026.com/program/>

International Symposium on MPS and Related Lysosomal Diseases について

医療従事者、研究者および産業界の関係者が一堂に会し、ムコ多糖症 (MPS) および関連ライソゾーム病に関する研究および医療の進展を促進することを目的としています。

本シンポジウムは、最先端技術を活用した早期診断の推進や革新的な治療法の開発、ならびに医療へのグローバルでのアクセス向上を目指し、さまざまな分野の知見を共有する場を提供しています。詳細については、以下のウェブサイトをご参照ください。

<https://mps2026.com/>

J-Brain Cargo® 技術について

当社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: pabinafusp alfa) が日本で実用化されている。当社は、J-Brain Cargo®により、酵素を体と脳の両方に送達することで、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。

ムコ多糖症 I 型 (ハーラー、ハーラー・シャイエ、シャイエ症候群) について

ライソゾーム病の一種で、ムコ多糖を体内で分解する酵素 (α -L-イズロニダーゼ) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。全世界における患者数は約 3,000~4,000 人と推定され (当社調べ)、中枢神経系症状、関節病変、低身長、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫など幅広い症状がある。既存の治療酵素製剤は血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経症状に対し効果が期待できないことが重大な課題となっている。

JR-171 について

ムコ多糖症 I 型の欠損酵素である α -L-イズロニダーゼに血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®を適用させた分子 (国際一般名: lepunafusp alfa) であり^{1,2}、マンノース-6-リン酸受容体を介した作用に加え、トランスフェリン受容体を介して血液脳関門を通過することで、全身症状に加え、中枢神経系症状に対する効果が期待できる JR-171 はこれまでに米国食品医薬品局 (FDA) よりファストトラック指定を受けている。

ムコ多糖症 II 型 (ハンター症候群) 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 (当社調べ)。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。

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、当社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り、ムコ多糖症 II 型の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 (国際一般

名：pabinafusp alfa) 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^{3,4}。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⁵。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^{6,7,8}。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。

参考文献

- 1: Kida S, et al. Enzyme replacement with transferrin receptor-targeted α -L-iduronidase rescues brain pathology in mucopolysaccharidosis I mice. *Mol Ther Methods Clin Dev.* 2023; 29: 439-449.
- 2: Harmatz P, et al. α -L-iduronidase fused with humanized anti-human transferrin receptor antibody (lepunafusp alfa) for mucopolysaccharidosis type I: A phase 1/2 trial. *Mol Ther.* 2024; 32(3): 609-618.
- 3: 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.
- 4: 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.
- 5: 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.
- 6: 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.
- 7: 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.
- 8: 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、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。