

2026年5月11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

ASGCT 29th Annual Meeting 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、American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT) 29th Annual Meeting（開催：マサチューセッツ州ボストン、2026年5月11日～15日）において、当社が独自に開発したアデノ随伴ウイルスベクターを用いた新しい遺伝子治療技術「JUST-AAV」を含むプラットフォーム技術に関する前臨床研究データについて、以下 2 演題を口頭発表およびポスター発表することをお知らせします。

また、当社のパートナーの一社である アレクシオン・アストラゼネカ・レアディージェズが、JUST-AAV 技術を活用した提携プログラムの一つに関する前臨床データを口頭発表する予定です。

演題名	Development of an AAV-Based Gene Therapy for GM1 Gangliosidosis Using a Transferrin Receptor Antibody–Fused Enzyme with Markedly Enhanced Therapeutic Efficacy
発表日時	5月14日（木）16:45-17:00（現地時間）
発表形式	口頭発表 No. 391
発表者	Saki Matsushima, Ph.D. (The Jikei University School of Medicine, Division of Gene Therapy, Research Center for Medical Sciences, Tokyo, Japan)

演題名	Long-Term Efficacy and Neuroprotection by Systemically Administered, CNS-Targeting AAV Capsids in Mouse Models of Neuronal Ceroid Lipofuscinosis (CLN1 and CLN2)
発表日時	5月14日（木）17:00-18:30（現地時間）
発表形式	ポスター発表 No. 3460
発表者	Tomoki Hirashima (JCR Pharmaceuticals)

演題名	AAV Capsid Presenting a Miniaturized Anti–Transferrin Receptor Antibody Enables Broad CNS, Liver-detargeted Biodistribution
発表日時	5月15日（金）09:15-09:30（現地時間）
発表形式	口頭発表 No. 427

American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT)

遺伝子治療と細胞治療における主要な専門家団体で、遺伝子治療と細胞治療の発見と臨床応用を通じて、疾患の緩和につながる知識、認識、教育を促進することを使命としている。

www.asgct.org.

JUST-AAV について

特定の組織へと効率的にベクターを送達できるだけでなく、肝臓へのベクターの集積を低減させるようなカプシド表面を改変した AAV (アデノ随伴ウイルス)。またその技術の総称。「JCR」「Ultimate destination of organ」「Safeguarding against off-target delivery」「Transformative technology」の頭文字を名称の由来とし、様々な疾患の治療に応用できる可能性をもつ当社独自の遺伝子治療プラットフォーム技術である。

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。