

2026年5月18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 における発表内容のご報告

JCR 独自の遺伝子治療プラットフォーム技術が 中枢神経系への効率的な送達の可能性を示す

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（以下、AAV）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した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・レアディジーズが、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しました。

JUST-AAV は、標的組織への送達性を高め、肝臓への集積性を低減させ安全性を高めた当社独自の新しい遺伝子治療技術です。本技術により、AAV を用いた遺伝子導入技術の安全性および有効性の向上を目指しています。JUST-AAV は、肝臓回避型、筋肉指向型、脳指向型など、複数の種類を含み、AAV による遺伝子治療をさらに発展させる可能性を有しています。

当社の代表取締役社長の藺田 啓之は次のように述べています。

「今回の研究成果は、これまで治療が困難であった疾患に対する新たな治療法の可能性を開くものです。前臨床試験において、当社の新技術である脳指向型 JUST-AAV は従来の AAV9 と比較して効率良く薬剤を中枢神経系（以下、CNS）へ送達できることを示しました。また、肝臓への指向性を著しく減少させることで、ヒトでの使用における AAV の安全性向上が期待できます。これらのデータは、これまで治療が困難とされてきた CNS 疾患に対する新たな治療選択の創出に向けた、重要な前進を示すものです。当社は、アンメット・メディカル・ニーズに対応する革新的なソリューションの開発に尽力しており、今回の研究はその重要な一歩となります。」

発表内容

Development of an AAV-Based Gene Therapy for GM1 Gangliosidosis Using a Transferrin Receptor Antibody-Fused Enzyme with Markedly Enhanced Therapeutic Efficacy (Presentation Number: 391)

Presenter: Saki Matsushima, Ph.D. (The Jikei University School of Medicine, Division of Gene Therapy, Research Center for Medical Sciences, Tokyo, Japan)

※この発表は東京慈恵会医科大学医学部によるものです。

GM1ガングリオシドーシスを対象として、末梢臓器においてJ-Brain Cargo®融合酵素を発現させ、CNSを治療するAAV遺伝子治療プログラムに関する前臨床データを報告しました。本研究では、まずマウスのトランスフェリン受容体（以下、TfR）を標的とするJ-Brain Cargo®を用い、GM1ガングリオシドーシスマウスモデルに対し治療を行ったところ、脳内のGM1ガングリオシド蓄積が大幅に低減し、神経学的機能の改善および生存期間の有意な延長が認められ、治療コンセプトが実証されました。

続いて、臨床応用を見据え、TfR結合ドメインを抗ヒトTfR抗体に置き換えた治療用ベクターを、ヒトTfRを発現するGM1ガングリオシドーシスマウスモデルを用いて評価を行いました。AAVベクターを静脈内投与した結果、肝臓で高い遺伝子発現が認められ、抗ヒトTfR抗体融合酵素が血中で高濃度に検出されました。これにより、末梢組織およびCNSへの効率的な分布が可能となります。さらに、ヒトTfR抗体融合酵素は、生体内分布、CNSへの移行性、ならびに治療効果において同様の結果を示しました。なお、肝臓での遺伝子発現や全身への酵素曝露に関連した明らかな毒性は認められませんでした。

これらの結果から、TfRを標的とし血液脳関門（以下、BBB）を通過可能なリソソーム酵素を発現するAAV遺伝子治療が、GM1ガングリオシドーシスにおいてCNSの病態を強力に改善できることが示されました。

Long-Term Efficacy and Neuroprotection by Systemically Administered, CNS-Targeting AAV Capsids in Mouse Models of Neuronal Ceroid Lipofuscinosis (CLN1 and CLN2) (Poster Number: 3460)

Lead Author: Tomoki Hirashima (JCR Pharmaceuticals)

神経セロイドリポフスチン症（CLN1 および CLN2）のマウスモデルを用いて、JUST-AAV を用いた遺伝子補充療法の長期的な有効性について、遺伝子組換え酵素補充療法および従来型 AAV との比較結果を報告しました。

CLN1 (PPT1 欠損) モデルでは、生存、運動機能、認知機能、神経病理、網膜構造の 5 つの評価項目について検討しました。遺伝子組換え PPT1 投与群では、疾患コントロール群と同様に生後 31~41 週で全例が死亡し、生存期間の延長は認められませんでした。一方、従来型 AAV9-PPT1 治療群では、生存期間が 53~65 週まで延長されました。これに対し、JUST-AAV-PPT1 投与群では、健常マウスとほぼ同等の寿命が認められました。

また、基質蓄積および炎症の指標である SCMAS、CD68 および GFAP 陽性領域は、JUST-AAV-PPT1 投与群で減少し、神経炎症およびミクログリア活性化の抑制が示されました。脳組織解析では、JUST-AAV 投与マウスにおいて PPT1 酵素活性の上昇が確認されました。さらに、JUST-AAV-PPT1 投与群は、54 週時点での運動機能の保持は健常マウスと同等でした。網膜神経節細胞層の厚さについては、疾患群で有意な減少がみられたのに対し、JUST-AAV-PPT1 投与群では網膜構造が保持されていました。

CLN2 (TPP1 欠損) モデルでは、JUST-AAV-TPP1 を全身投与した結果、顕著な治療効果が認められました。剖検解析により、JUST-AAV-TPP1 投与群は、脳組織中の TPP1 活性の上昇が確認され、CNS への効率的な送達と持続的な治療効果が示されました。

JUST-AAV を用いた遺伝子治療が、CLN1 および CLN2 マウスモデルにおいて生存期間を有意に延長し、病態変化を改善したと結論づけています。本試験結果により、JUST-AAV 技術は、ライソゾーム病やその他の CNS 疾患に対する、次世代の遺伝子治療につながる可能性が示されました。

アレクシオン・アストラゼネカ・レアディジーズは以下の発表を行いました。

AAV Capsid Presenting a Miniaturized Anti-Transferrin Receptor Antibody Enables Broad CNS, Liver-detargeted Biodistribution (Presentation Number: 427)

JUST-AAV カプシドに関する前臨床データを報告しました。本カプシドは、小型化した抗 TfR 結合因子を発現し、さらに肝臓への集積を抑制する設計となっています。マウスモデルおよび非ヒト霊長類に単回静脈内投与をした結果、CNS 全体への広範な分布と高い遺伝子導入効率が確認されました。また、従来の AAV9 と比較して、脳と肝臓の曝露比が大幅に改善され、用量依存的な遺伝子発現が示されました。これらの結果から、JUST-AAV は肝臓への影響を抑えながら、CNS へ効率的に遺伝子を送達できる遺伝子治療プラットフォームであることが示されました。

本データは前臨床試験に基づくものであり、研究の限界に関しては考察されていません。

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。