

2026年6月8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) における発表内容のご報告

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)) のポスターセッションにおいて、新たな臨床データを発表したことをお知らせします。

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。

「ライソゾーム病は、血液脳関門を越えて中枢神経系に治療薬を届けることが困難であるため、治療が極めて難しいことで知られる希少疾病群です。当社の J-Brain Cargo[®] プラットフォーム技術により、これらの生命を脅かす重篤な疾患に伴う進行性の神経症状を治療できる可能性があります。本シンポジウムで発表されたデータは、ムコ多糖症 I 型患者さんにおける JR-171 (国際一般名: lepunafusp alfa) の安全性および有効性を示すものです。今後も当社の J-Brain Cargo[®] 技術に関する追加データを発表していく予定です。臨床試験に関わったすべての患者さん、ご家族の皆さま、医師、そしてサポートいただいた関係の方々に感謝を申し上げます。」

新たな臨床データ発表の詳細は以下のとおりです。

発表内容

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 (Presentation Number: 63)

Lead Author: Paul Harmatz, M.D. (UCSF Benioff Children's Hospital, Oakland, CA)

第 I/II 相試験および 3 年間の延長試験 (NCT04227600、NCT04453085) において、ムコ多糖症 I 型 (MPS I) 患者を対象に実施した lepunafusp alfa (JR-171) の安全性および薬力学に関する 3 年間のデータを報告した。

本試験では、MPS I 患者を対象に、lepunafusp alfa を週 1 回静脈内投与し、「低用量群」(2.0 mg/kg、n=6) と「高用量群」(4.0 mg/kg、n=8) に無作為化し、3 年間追跡した。対象にはすべての MPS I 表現型が含まれ (ハーラー症候群 7 例、ハーラー・シャイエ症候群 5 例、シャイエ症候群 2 例)、低用量群のハーラー症候群患者 1 例は延長試験に継続参加しなかった。

安全性および忍容性については、高用量群・低用量群ともに良好であり、いずれの群にお

いても服薬遵守率は90%を超えた。重篤な有害事象（SAE）は計6例で認められ（高用量群5/8例、低用量群1/5例）、重篤な治療関連有害事象（TEAE）は8件発生したが、いずれもlepunafusp alfaとの因果関係は認められなかった。特に重要な有害事象であるアナフィラキシーや輸注関連反応は稀であり、両群を通じて発生率は5%未満であった。

投与開始後12週までに、全患者において脳脊髄液中へパラン硫酸（CSF-HS）濃度の低下が確認された。高用量群では、多くの患者でこの低下が3年間維持されたが、1例で部分的な再上昇が認められた。低用量群では、ハーラー症候群患者2例においてHS濃度の再上昇が観察された。これらの再上昇は抗体の有無とは関連しなかった。

ラロニダーゼ既治療患者において、血清中HS濃度や肝臓・脾臓容積を含め、両用量群で安定または改善が認められた。一方、未治療患者では、これら指標の低下が確認された。

3年間の追跡結果からlepunafusp alfaの週1回投与は、幅広いMPS I患者において安全かつ忍容性が良好であり、薬剤に起因する重篤なTEAEは認められなかったと結論付けた。また、CSF-HSの薬力学的応答から、lepunafusp alfaは血液脳関門を通過することが示唆され、高用量群（4 mg/kg）でより大きな低下傾向が認められた。長期的な安全性および臨床的有効性については、今後より大規模な臨床試験での検証が求められる。

また、2026年2月2日～6日にかけて開催された「第22回 *WORLD Symposium™ 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）に関する追加発表は以下のとおりです。

発表内容

Sustained cognitive and adaptive behavior outcomes of long-term treatment with pabinafusp alfa in patients with severe or attenuated mucopolysaccharidosis type II (Presentation Number: 61)

Lead Author: Roberto Giugliani, M.D., Ph.D. (Federal University of Rio Grande do Sul, Brazil)

最大5年間の追跡を含む5つの非盲検試験を横断的に統合した縦断的な事後解析において、pabinafusp alfaを投与されたムコ多糖症 II 型（MPS II）患者を対象に、長期治療における認知機能および適応行動の持続的な評価結果について報告した。

pabinafusp alfaによる長期治療は重症型および軽症型MPS II患者の多くにおいて良好な忍容性を示し、認知機能と適応行動の安定化または継続的な獲得と関連することを示した。これらの結果は、不可逆的な神経変性の発症前に適切な時期に治療を開始すれば、pabinafusp alfaによる治療がMPS II患者に有益である可能性を示唆している。

発表内容

Long-term somatic efficacy of pabinafusp alfa across a broad spectrum of age groups and phenotypes in patients with mucopolysaccharidosis type II (Presentation Number: 62)

Lead Author: Ana Maria Martins, M.D., Ph.D. (Federal University of São Paulo)

最大5年間の追跡期間を含む非盲検試験において、pabinafusp alfaを投与されたムコ多糖症 II 型（MPS II）患者を対象に、縦断的にプールされた事後解析において異なる年齢で治療を開始した多様な患者集団における本剤の身体症状への影響について報告した。

pabinafusp alfaの長期投与は良好な忍容性を示し、重症型および軽症型の幅広いMPS II患者に対して有益な身体症状改善効果をもたらしたと結論付けた。

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）が血液脳関門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 Neuronopathic 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。