



2020年10月15日

各 位



会社名 J C R ファーマ株式会社
代表者名 代表取締役会長兼社長 芦田 信
(東証第1部 コード番号 4552)
問合せ先 上席執行役員経営企画本部担当 本多 裕
(TEL 0797-32-1995)

血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤
〔パビナフスプ アルファ (遺伝子組換え) 開発番号: JR-141〕
臨床試験結果の論文掲載 (Molecular Therapy) に関するお知らせ

当社は、血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を適用したムコ多糖症 II 型 (ハンター症候群) 治療酵素製剤 [パビナフスプ アルファ (遺伝子組換え) 開発番号: JR-141 (血液脳関門通過型遺伝子組換えイズロン酸 2 スルファターゼ)] について、この度、日本国内で実施した臨床第 2/3 相試験結果を報告する学術論文が、米国遺伝子細胞治療学会 [American Society of Gene and Cell Therapy](#) の機関誌 [Molecular Therapy](#) 電子版に掲載されましたのでお知らせいたします。本剤は、先駆け審査指定制度下において本年 9 月に日本で製造販売承認申請済みです。今後、ブラジル連邦共和国での製造販売承認申請およびグローバル臨床第 3 相試験の開始を予定しております (ClinicalTrials.gov Identifier: [NCT04573023](#))。本論文の概要は以下の通りです。

◆ 論文タイトル:

A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa, IDS Fused with Anti-Human Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in MPS-II

◆ DOI (Digital Object Identifier : デジタルオブジェクト識別子) :

<https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2020.09.039>

◆ 論文概要:

日本人ムコ多糖症 II 型 (ハンター症候群) 患者 28 名にパビナフスプ アルファ (JR-141) を 2.0mg/kg 週 1 回、52 週間点滴静注し、その有効性と安全性を評価した。

- ・ 主要評価項目: 脳脊髄液中のヘパラン硫酸 (HS) 濃度の変化量
- ・ 副次評価項目: ①中枢神経症状に対する効果の神経発達による評価
②身体症状に関する血清中 HS, デルマタン硫酸 (DS) 濃度変化等

・ 結果

—JR-141 の 52 週間投与により、脳脊髄液中の HS 濃度は有意に減少し、中枢神経に

おける基質蓄積の持続的抑制を認め、従来治療法がなかった進行性神経変性に対する薬効が示唆された。28名の投与患者中21名で神経発達の良好な変化を認めた。

- 血清中の HS,DS 濃度、肝臓・脾臓の容積などの身体症状に関する効果は、既存酵素製剤と相応するものであった。
- JR-141 と因果関係を有する有害事象は軽微ないし中等度で一過性であり、適切な処理によって対応可能であった。
- 以上から、JR-141 が血液脳関門を通過することが実証され、ハンター症候群の中枢神経症状と身体症状双方に対するその有効性が示唆された。

以 上