

2021 年 3 月 29 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
(T E L 0797-32-1995)

血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤

[pabinafusp alfa, 開発番号 : JR-141]

ブラジル臨床第 2 相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〔国際一般名：pabinafusp alfa、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、ブラジル連邦共和国で実施した臨床第 2 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 2021 年 3 月に日本において製造販売承認を取得しました。また、ブラジルでは 2020 年 12 月に製造販売承認申請を行いました。さらに、米国・ブラジル・欧州においてグローバル臨床第 3 相試験に向けた準備を進めており、米国食品医薬品局（FDA）より試験開始が許可されています。（ClinicalTrials.gov Identifier: [NCT04573023](#)）。

本論文の概要は以下の通りです。

- ◆ 論文タイトル：
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
- ◆ DOI (Digital Object Identifier : デジタルオブジェクト識別子) :
<https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2021.03.019>
- ◆ 論文概要：
ムコ多糖症 II 型患者 20 名にパビナフスプアルファ 1.0, 2.0, 4.0mg/kg/週を 26 週間静脈内投与する非盲検無作為割り付け第二相臨床試験をブラジルにおいて行い、安全性、有効性を評価した。安全性の特性は各用量間で同様であり、神経発達評価によって好適な変化を認めた。2.0kg/mg 群では髄液、血清および尿中における基質濃度の著明な減少を認め、同用量が安全性・有効性の両面において最善の効果をもたらすものと思われた。

以 上