



2021年1月27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
〔パピナフスプ アルファ (遺伝子組換え) 開発番号: JR-141〕
非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 [パピナフスプ 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、ハンター症候群モデルマウスを用いて実施した非臨床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。

なお、本内容は 17th Annual *WORLD Symposium™* 2021 (2021年2月8-12日 (EST)、バーチャル開催) においてポスター発表を行います。

本論文の概要は以下の通りです。

◆ 論文タイトル:

Clearance of heparan sulfate in the brain prevents neurodegeneration and neurobehavioral abnormality in mucopolysaccharidosis II mice

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

<https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2021.01.027>

◆ 論文概要:

ハンター症候群モデルマウスに、パピナフスプ アルファ (遺伝子組換え) を週 1 回 2 mg/kg または 4 mg/kg を 36 週間投与した。

・ 結果

—いずれの用量においても、対照薬に比較して脳組織中のヘパラン硫酸 (HS) 濃度は著明に減少し、組織病理学的変化の程度が改善した。

—空間学習能力の低下は完全に抑制された。

—脳脊髄液 (CSF) 中の HS 濃度は脳組織中の HS 濃度と高い相関を示した。

・以上から、パピナフスプ アルファ（遺伝子組換え）の反復投与により、脳組織中に蓄積した HS が減少し、神経変性の抑制及び神経認知機能の維持につながる事が明らかとなった。さらに、これらの変化は CSF 中の HS 濃度により予測可能であることが示された。

以 上