



2021年7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 執行役員 管理本部長 本多 裕
(TEL 0797-32-1995)

血液脳関門通過型ムコ多糖症 II 型治療酵素製剤
〔pabinafusp alfa, 開発番号：JR-141〕
投与症例報告掲載 (JIMD Reports) 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、日本国内で実施した臨床第 3 相試験に参加した症例に関する報告が、遺伝性代謝疾患学会 [Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism](#) の公式オープンアクセス誌 [JIMD reports](#) に掲載されましたのでお知らせいたします。

本剤は 2021 年 5 月より日本において製品名「イズカーゴ®点滴静注用 10 mg」として販売を開始しました。また、ブラジルでは 2020 年 12 月に製造販売承認申請を行い、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：

Divergent developmental trajectories in two siblings with neuropathic mucopolysaccharidosis type II (Hunter syndrome) receiving conventional and novel enzyme replacement therapies: a case report

（通常および新規の酵素補充療法を受け、異なる成長発達を示したムコ多糖症 II 型（ハンター症候群）兄弟例：症例報告）

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

<https://doi.org/10.1002/jmd2.12239>

◆ 論文概要：

同一の遺伝子変異を共有しながらも、酵素補充療法後に著しく対照的な成長発達を示したムコ多糖症Ⅱ型の日本人兄弟例を報告する。兄は2歳時に同症と診断され通常の酵素補充療法を開始し、4歳時の発達指数（新版K式発達検査）は53であった。弟は出生前に同症と診断されており、生後1か月から1歳11か月まで通常の酵素補充療法を施行されたのちパピナフスプアルファによる治療に変更した。3歳時の発達指数は104で、髄液中のへパラン硫酸濃度の著明な減少を認めた。神経認知機能における兄弟間の顕著な発達の差異は、酵素補充療法の早期開始と、神経症状を伴うムコ多糖症Ⅱ型における血液脳関門通過型酵素投与の重要性を示唆するものと思われた。

以 上