

2026 年 7 月 21 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

血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤「イズカーゴ®」
アラブ首長国連邦での製造販売承認取得のお知らせ

J C R ファーマ株式会社（代表取締役社長：藺田 啓之）は、日本において製造販売承認取得済の J-Brain Cargo® を適用した血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤「イズカーゴ®」（一般名：パピナフスプ アルファ、開発コード：JR-141、以下「本剤」）について、このほどアラブ首長国連邦において製造販売承認を取得しましたので、お知らせします。これは本剤において、日本以外での初の製造販売承認取得です。

本剤は 2021 年に日本で承認・発売され、海外については、現在グローバル臨床第Ⅲ相試験を実施中です。当社は、本剤を 1 日でも早く世界の患者さんにお届けすべく、グローバル試験を推進する一方、日本における本剤の製造販売承認を活用した事業展開を検討してきました。その結果、当社は、Taiba Middle East FZ LLC（本社：アラブ首長国連邦、CEO：Saif Al Hasani、以下、Taiba 社）と販売委託契約を締結し、アラブ首長国連邦において本剤の承認申請を進めてきました。

Taiba 社と締結した契約に基づき、アラブ首長国連邦以外の MENA（中東・北アフリカ）地域の各国においても、当社は本剤の承認を取得し、Taiba 社は本剤の販売を行う予定です。

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。
「本剤についてアラブ首長国連邦での承認取得のお知らせができることを大変うれしく思います。当社は、本剤の承認国を拡大し、Taiba 社による販売を通じてより多くのハンター症候群の患者さんの治療に貢献できることを期待しています。今回の承認取得は、当社にとって日本以外の国での初めてのことであり、本剤の海外展開における重要な一歩となります。」

Taiba グループ CEO の Saif Al Hasani は、次のように述べています。
「JCR との提携により、MENA 地域における最初の本剤の承認取得をお知らせできることを嬉しく思います。この提携は、ハンター症候群やその他の希少疾病に苦しむ患者さんを支援するという、両社の共通の取り組みを反映したものです。本剤は、イノベーションとアクセシビリティの両方を重視する独自の視点を取り入れ、有意義な解決策を必要とする人々に確実にお届けすることを可能にします。JCR と共に、この地域における希少疾病医療の進歩に貢献できることを楽しみにしています。」

なお、本件に関する今期（2027 年 3 月期）の当社連結業績への影響は、軽微です。

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：パピナフスプ アルファ）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。

ハンター症候群（ムコ多糖症 II 型）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 染色体連鎖潜性遺伝性疾患。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。

イズカーゴ®（パピナフスプ アルファ、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（以下、BBB）を通過させることによる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 が BBB 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^{1,2}。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³。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^{4,5,6}。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。

Taiba Middle East FZ LLC について

Taiba は、MENA（中東および北アフリカ）地域において、希少疾病用治療薬のマーケティング、販売、流通を担う企業です。同社は、臨床医、医療機関、そしてグローバルなパートナー企業との間で 20 年にわたる強固な信頼関係を築いてきました。地域に関する深い知見と確かな事業遂行能力を兼ね備えています。規制当局からの承認取得、患者アクセスプログラムの実施、戦略的提携、長期的なブランド・ライフサイクルマネジメントなど、早期アクセスや事業化の取り組みを通じて、医療システムと革新的な治療法とを結びつけています。同社は「治療の格差を解消する」という使命を掲げ、最先端のソリューションと卓越したサービスで医療機関を支援し、アンメット・メディカル・ニーズを抱える患者さんが、人生を大きく変える可能性のある治療法に、タイムリーかつ持続的にアクセスできるように尽力しています。詳細については、<http://www.taibarare.com/> をご覧ください。

参考文献

- 1: 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.
- 2: 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.
- 3: Okuyama, et al. Iduronate-2-sulfatase with Anti-human Transferrin Receptor Antibody for Neuropathic Mucopolysaccharidosis II: A Phase 1/2 Trial. Mol Ther. 2020;

27(2): 456-464.

4: 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.

5: 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.

6: 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。