



2024年8月29日

各 位



会社名 JCR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
(コード番号 4552 東証プライム市場)
問合せ先 上席執行役員経営戦略本部長 伊藤 洋
(TEL 0797-32-1995)

**ムコ多糖症 IIIA 型に対する JR-441 の第 I 相試験の治験計画届受理
および治験計画に関する当局調査終了について**

JCRファーマ株式会社（本社：兵庫県芦屋市、代表取締役会長兼社長：芦田 信）は、当社が創製したムコ多糖症 IIIA 型（サンフィリップ症候群 A 型）治療酵素製剤 [開発番号：JR-441（血液脳関門通過型遺伝子組換えヘパラン N-スルファターゼ）] に関する臨床第 I 相試験の治験計画届が独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に受理され、所定の調査が終了しましたことをお知らせします。

当社の代表取締役会長兼社長の芦田 信は、次のように述べています。

「ムコ多糖症 IIIA 型は希少かつ生命を脅かす重篤な疾患であり、承認された治療薬は存在しないため、その神経学的な兆候や症状に対する治療が切実に望まれています。臨床第 I 相試験の計画に関する PMDA の調査が終了し、順調に開発が進捗していることを嬉しく思います。アンメットメディカルニーズに応えられるよう、JR-441 の開発をできる限り早く進めることに全力を尽くして参ります。」

JR-441 は、これまでに欧州委員会（EC）及び米国食品医薬品局（FDA）よりオーファンドラッグの指定を受けており、ドイツで臨床第 I/II 相試験を実施中です。

今回、日本で新たに開始する臨床第 I 相試験の概要については、臨床研究等提出・公開システム（jRCT）で提供される公開情報をご覧ください。（<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2071240053>）

なお、本件に関する今期（2025年3月期）の当社連結業績への影響は軽微です。

ムコ多糖症 IIIA 型（サンフィリッポ症候群 A 型）について

ムコ多糖症 IIIA 型（サンフィリッポ症候群 A 型）は、ヘパラン硫酸の分解に関わるライソゾーム酵素をコードする **SGSH** 遺伝子の異常によって生じる常染色体劣性遺伝疾患である。全身の様々な細胞、特に脳内の中枢神経系へのヘパラン硫酸の蓄積により、重度の神経学的退行、認知機能障害、軽度の全身症状を呈する。

以 上

ニュースリリースは株主・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。本資料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。