



2024年10月23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)

ESGCT 31st Annual Congress における発表内容のご報告

JCR独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo[®]」を用いたAAV遺伝子治療が 中枢神経系疾患の治療に有効である可能性を前臨床研究で示した

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、European Society of Gene and Cell Therapy (ESGCT) 31st Annual Congress（開催：イタリア共和国ローマ、2024年10月22日～25日）において、当社が独自に開発した血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo[®]（JBC）」を適用したアデノ随伴ウイルス（AAV）を用いた遺伝子治療の前臨床研究データについて、ポスター発表を行いました。

JBC技術を適用したAAVによる遺伝子治療は、血液脳関門を通過して中枢神経系症状に有効である可能性があります。

当社の取締役専務執行役員 研究本部長の藺田 啓之は次のように述べています。

「これらの結果は、血液脳関門を越えて遺伝子治療薬を届ける手段としてJBC技術を応用することで、中枢神経系の疾患を治療できる可能性を示しています。このアプローチは、これまで治療が困難であった疾患に対する新たな治療法の可能性を開くものです。今回の前臨床試験の結果により、当社の新技術は従来のAAV9と比較して効率良く中枢神経系へと薬剤を送達できることを示しました。また、肝臓への指向性を著しく減少させることで、ヒトでの使用におけるAAVの安全性向上が期待できます。当社は、未だ満たされていない医療ニーズに対応する革新的なソリューションの開発に尽力しており、今回の研究はその重要な一歩となります。」

発表内容

Incorporation of transferrin receptor binder into AAV enables efficient brain delivery for treatment of genetic CNS diseases (P0133)

Presenter: Yuhei Ashida (JCR Pharmaceuticals)

JBC技術を適用したAAVベクターにより、マウスおよびサルにおいて、従来のAAV9ベクターと比較して中枢神経系へ高い効率で遺伝子導入できることが確認された。本ベクタ

ーを用いた複数の中枢神経系疾患モデルマウスにおいて、有害基質の減少が確認され、脳組織病態、行動試験、及び生存期間において大幅な改善が示された。また、さらに改良を加えたベクターによって、従来の AAV ベクターで問題となる肝臓への AAV ベクターの感染が顕著に低減された。これらの結果より、JBC 適用改変 AAV ベクターは中枢神経系疾患の遺伝子治療における有望なツールであることが示唆される。

本発表では、JBC 技術を適用した AAV ベクターを用いることの潜在的な利点として、様々な改良が可能であること、製造工程が単純で生産性が安定していることについても言及しました。

European Society of Gene and Cell Therapy (ESGCT)

遺伝子治療および細胞治療の分野で活躍する研究者や臨床医の支援、およびヨーロッパにおける当該分野に関連する研究の発展を目指し、1992年に設立された国際学会。

(<https://www.esgct.eu/>)

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：pabinafusp alfa) が日本で実用化されている。

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。

以 上