

2026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
 (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
 E-mail : ir-info@jp.jcrpharm.com

22nd Annual WORLD Symposium™ 2026 における発表のお知らせ

J C R ファーマ株式会社 (代表取締役会長兼社長 : 芦田 信) は、22nd Annual WORLD Symposium™ 2026 (開催 : カリフォルニア州サンディエゴ、2026年2月2日～6日 (現地時間)) において、以下の4演題のポスター発表を行うことをお知らせします。これらの発表は、当社独自の血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®を適用した開発品、また当社の取り組みがライソゾーム病治療ならびに神経変性疾患にもたらす可能性について言及するものです。

開発品目 : JR-471

(血液脳関門通過型遺伝子組換え α -L-フコシダーゼ)

対象疾患 : フコシドーシス

演題名	A transferrin receptor-targeted α -L-fucosidase, JR-471, reduced core-fucosylated glycosparagine in the brain and preserved motor function in a murine model of Fucosidosis (ポスターNo. 246)
発表日時	2月3日 (火) 15:30-17:30 (PST)
発表者	Tomomi Masuda, Ph.D. (JCR Pharmaceuticals)

開発品目 : パビナフスプ アルファ (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)

対象疾患 : ムコ多糖症 II型 (ハンター症候群)

演題名	Sustained cognitive and adaptive behavior outcomes of long-term treatment with pabinafusp alfa in patients with severe or attenuated mucopolysaccharidosis type II (ポスターNo. 133)
発表日時	2月5日 (木) 15:30-17:30 (PST)
発表者	Roberto Giugliani, M.D., Ph.D. (Federal University of Rio Grande do Sul, Brazil)

開発品目 : パビナフスプ アルファ (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)

対象疾患 : ムコ多糖症 II型 (ハンター症候群)

演題名	Long-term somatic efficacy of pabinafusp alfa across a broad spectrum of age groups and phenotypes in patients with mucopolysaccharidosis type II (ポスターNo. 245)
-----	--

発表日時	2月5日（木）15:30-17:30（PST）
発表者	Ana Maria Martins, M.D., Ph.D. (Federal University of São Paulo)

開発品目：パビナフスプ アルファ（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）

対象疾患：ムコ多糖症 II 型（ハンター症候群）

演題名	Infusion rate adjustment in enzyme replacement therapy with pabinafusp alfa for mucopolysaccharidosis II (ポスターNo. 310)
発表日時	2月5日（木）15:30-17:30（PST）
発表者	Norio Sakai, M.D., Ph.D. (ISEIKAI International General Hospital, Osaka, Japan)

JR-471 に関しては、フコシドーゼスの病態モデルマウスに投与したデータについて、パビナフスプ アルファ（JR-141）に関しては、長期投与における臨床データについて、発表します。

WORLD Symposium™ 参加者でさらに情報を希望される方は、JCR の展示ブース (#407) までお越しください。

WORLD Symposium™について

ライソゾーム病をテーマに、研究者から医師、患者団体など、ライソゾーム病に携わる方々へ最新の治験や臨床研究の進捗などを報告するために毎年米国で行われる国際学会。

[\(https://worldsymposia.org/\)](https://worldsymposia.org/)

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：パビナフスプ 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。

JR-471について

α -L-フコシダーゼと当社独自の血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®を融合させた組換え融合タンパク質。フコシドーゼスを対象疾患として、当社とメディパルホールディングス株式会社が開発を進めており、現在前臨床段階にある。

パビナフスプ 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。

フコシドーシスについて

ライソゾーム病の一種であり、遺伝子変異により糖タンパク質の代謝酵素（ α -L-フコシダーゼ）の活性が低下し糖鎖や糖タンパク質が全身に蓄積する常染色体劣性遺伝性疾患。精神運動発達遅滞や筋緊張低下、内臓肥大、骨格異常など様々な症状を呈する。発症年齢によりI型とII型に分類され、これまでに報告された症例数は世界で120例未満と極めてまれな疾患である。承認された治療薬は存在しない。

ムコ多糖症II型（ハンター症候群）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。

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 Neuropathic 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・投資家の皆さんや報道関係者へ、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。