

2025年5月8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  
(TEL 0797-32-1995)

### ASGCT 28<sup>th</sup> Annual Meeting 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、American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT) 28<sup>th</sup> Annual Meeting (開催：米国ルイジアナ州ニューオーリンズ、2025年5月13日～17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<sup>®</sup>」を適用したアデノ随伴ウイルス (以下、AAV) ベクターを用いた遺伝子治療の非臨床研究データについて、口頭発表することをお知らせします。

|      |  |
|------|--|
| 演題名  | Incorporation of transferrin receptor binder and surface mutations into AAV enables efficient brain delivery and reduced liver tropism |
| 発表者  | 蘆田 勇平 (J C R ファーマ株式会社)   |
| 発表日時 | 口頭発表番号 No.92 : 5月14日 (水) 午後 2:30-2:45 (現地時間)   |

本発表は、トランスフェリン受容体結合因子をウイルス表面に組み込むことで標的組織である脳への送達性を高め、ウイルス表面に変異を加えることで肝臓への集積性を低減させ安全性を高めた AAV ベクターに関する報告です。

#### American Society of Gene and Cell Therapy (ASGCT)

遺伝子治療と細胞治療における主要な専門家団体で、遺伝子治療と細胞治療の発見と臨床応用を通じて、疾患の緩和につながる知識、認識、教育を促進することを使命としている。  
(<https://www.asgct.org/>)

#### J-Brain Cargo<sup>®</sup>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 型治療剤「イズカーゴ<sup>®</sup>」(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