



5 de octubre, 2021

JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.

TRADUCCIÓN

La FDA de EE. UU. otorga la designación de vía rápida a JR-171 para el tratamiento de la Mucopolisacaridosis tipo I (MPSI)

5 de octubre de 2021: JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. (TSE 4552; presidente: Shin Ashida; "JCR") ha anunciado que la Administración de Alimentos y Medicamentos de los EE. UU. (FDA) otorgó la designación de Vía Rápida al medicamento en investigación. JR-171 para el tratamiento de la Mucopolisacaridosis (MPS) I (síndrome de Hurler, Hurler-Scheie y Scheie). JR-171 es una forma de α -L-iduronidasa recombinante que penetra la barrera hematoencefálica (BHE) y que ha sido desarrollado utilizando la tecnología J-Brain Cargo® BBB (BFE) patentada por JCR.

MPS I es un trastorno de almacenamiento lisosomal (LSD) caracterizado por múltiples signos y síntomas del sistema nervioso central y somático (SNC).

JR-171 es una proteína de fusión recombinante de un anticuerpo contra el receptor de transferrina humano y la α -L-iduronidasa, la enzima que falta o es disfuncional en pacientes con MPS I. Al cruzar la barrera hematoencefálica a través de la transcitosis mediada por el receptor de transferrina, se espera que sea eficaz contra los síntomas de la enfermedad en el sistema nervioso central (SNC), abordando así una importante necesidad insatisfecha en el tratamiento de MPS I.

Actualmente se ha iniciado la parte 2 del ensayo clínico global de fase 1/2 con JR-171 que se lleva a cabo en Japón, EE. UU. Y Brasil. El resumen de este estudio también está registrado en Clinicaltrials.gov (Identificador: NCT04453085).

La designación Fast Track a JR-171 permite a JCR interactuar con más frecuencia con la FDA. Igualmente, si la FDA determina, después de una evaluación preliminar de los datos clínicos, que el producto de vía rápida puede ser efectivo puede considerar revisar partes de la solicitud de comercialización antes de que el patrocinador envíe la solicitud completa a la Agencia. Además, JR-171 fue designado medicamento huérfano por la FDA en febrero y por la Comisión Europea en marzo de este año.

Después de JR-171, JCR planea aprovechar su plataforma de tecnología J-Brain Cargo y avanzar en su sólida cartera de productos de terapia de reemplazo enzimático innovadores para otras enfermedades de almacenamiento lisosomal. JCR, como farmacéutica especializada en el ámbito de las enfermedades raras, seguirá participando de forma proactiva en la investigación y el desarrollo de opciones de tratamiento transformadoras para los pacientes con enfermedades raras.

Relacionado con este asunto no hay ningún impacto en nuestros resultados comerciales consolidados para el año fiscal que finaliza el 31 de marzo de 2022.

Designación de primera vía de la FDA

La vía rápida de la FDA (Fast track) es un proceso diseñado para facilitar el desarrollo y acelerar la revisión de medicamentos para tratar afecciones graves los cuales satisfagan una necesidad médica insatisfecha. El propósito es permitir la entrega temprana a los pacientes de medicamentos nuevos e importantes. El hecho de que un medicamento reciba la designación Fast Track puede permitir que se celebren reuniones más frecuentes con la FDA para discutir el plan de desarrollo del medicamento seguido de una revisión de prioridad y una aprobación acelerada cuando se cumplan los criterios pertinentes.

Acerca de MPS I (síndrome de Hurler, Hurler-Scheie, Scheie)

MPS I es un desorden de almacenamiento lisosomal autosómico recesivo causado por una deficiencia de α -L-iduronidasa, una enzima que descompone los glicosaminoglicanos (mucopolisacáridos) en el cuerpo. Se estima en aproximadamente en aproximadamente 3.600 el número de pacientes con MPS I en todo el mundo (según la investigación de JCR). La MPS I da lugar a una amplia gama de síntomas somáticos y neurológicos. Una limitación importante de la terapia de reemplazo enzimática actual es que no aborda los síntomas del sistema nervioso central debido a la incapacidad de la enzima para cruzar la barrera hematoencefálica.

Acerca de JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.

JCR Pharmaceuticals Co. (TSE 4552) es una empresa farmacéutica global especializada que está redefiniendo las expectativas y ampliando las posibilidades para las personas con enfermedades raras y de origen genético en todo el mundo. Seguimos consolidando nuestro legado de 46 años en Japón, al tiempo que ampliamos nuestra presencia global en Estados Unidos, Europa y Latinoamérica. Mejoramos la vida de los pacientes mediante la aplicación de nuestra experiencia científica y tecnologías exclusivas para investigar, desarrollar y suministrar terapias de nueva generación. Nuestros productos aprobados en Japón incluyen terapias para el tratamiento del trastorno del crecimiento, la enfermedad de Fabry, la enfermedad de injerto contra huésped aguda y la anemia de origen renal. Nuestros productos de investigación en desarrollo en todo el mundo están destinados a tratar enfermedades raras, como MPS I (síndrome de Hurler, Hurler-Scheie y Scheie), MPS II (síndrome de Hunter), enfermedad de Pompe, etc. JCR se esfuerza por ampliar las posibilidades de los pacientes y acelerar los avances médicos a nivel mundial. Nuestros valores fundamentales, que son la confiabilidad, la confianza y la persistencia, benefician a todos los interesados, incluidos los empleados, los socios y los pacientes. Todos juntos nos elevamos. Para más información, visite <https://www.jcrpharm.co.jp/en/site/en/>.

Advertencia de JCR Pharmaceuticals sobre las declaraciones prospectivas

El presente documento contiene declaraciones prospectivas que están sujetas a riesgos e incertidumbres conocidos y desconocidos, muchos de los cuales están fuera de nuestro control. Las declaraciones prospectivas suelen contener términos como «cree», «estima», «anticipa», «pretende», «planea», «hará», «haría», «objetivo» y referencias similares a períodos futuros. Todas las declaraciones prospectivas relativas a nuestros planes, perspectivas, estrategias y negocios futuros, resultados financieros y situación financiera se basan en valoraciones derivadas de la información de que disponemos en este momento. Los factores o acontecimientos que podrían hacer que nuestros resultados reales fueran sustancialmente diferentes de los expresados en nuestras declaraciones prospectivas incluyen, entre otros, un deterioro de las condiciones económicas, un cambio en el sistema legal o gubernamental, un retraso en el lanzamiento de un nuevo producto, el impacto en las estrategias de precios y productos de la competencia, una disminución de las capacidades de comercialización relacionadas con nuestros productos, dificultades o retrasos en la fabricación, una infracción de nuestros derechos de propiedad intelectual, una decisión judicial adversa en una demanda judicial importante y acciones regulatorias.

El presente documento contiene información sobre productos farmacéuticos (incluidos los que están en fase de desarrollo). Sin embargo, no tiene por objeto hacer publicidad ni proporcionar asesoramiento médico. Además, está destinado a proporcionar información sobre nuestra empresa y nuestros negocios, y no a solicitar inversiones en los valores que emitimos.

A excepción de lo exigido por la ley, no asumimos ninguna obligación de actualizar públicamente estas declaraciones prospectivas ni de actualizar los factores que podrían hacer que los resultados reales difieran de manera sustancial, incluso si se dispone de nueva información en el futuro.

** Traducción: El texto original en el idioma fuente de este comunicado es la versión oficial autorizada. Las traducciones solo se suministran como adaptación y deben cotejarse con el texto en el idioma fuente, que es la única versión del texto que tendrá un efecto legal.*