

COMUNICADO DE PRENSA



15 de octubre, 2021

JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.

Traducción

JR-141 (Pabinafusp Alfa) para el Síndrome de Hunter

Aviso sobre la publicación de evidencia clínica y no clínica en la Revista Internacional de Ciencias Moleculares

15 de octubre - JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. (TSE 4552; presidente y director: Shin Ashida; "JCR") anunció que un artículo que resume los datos preclínicos y clínicos de JR-141 (DCI: pabinafusp alfa) para el tratamiento de la mucopolisacaridosis II (MPS II; síndrome de Hunter) se ha publicado en la Revista Internacional de Ciencias Moleculares, una revista de acceso abierto publicada por MDPI, como parte de su número especial: Investigación genética y metabólica molecular de la enfermedad de almacenamiento lisosomal. JR-141 es un producto de iduronato-2-sulfatasa recombinante penetrante en la barrera hematoencefálica para el tratamiento de pacientes con MPS II, que aplica la tecnología BBB J-Brain Cargo®, propiedad de JCR.

En mayo de 2021, JCR ha comenzado la comercialización en Japón de JR-141 como "IZCARGO® I.V. infusión 10mg". En diciembre de 2020, se presentó una solicitud de autorización de comercialización ante la Agencia Brasileña Nacional de Vigilancia Sanitaria (ANVISA) para el tratamiento de pacientes con MPS II. JCR también está preparando el inicio de un ensayo clínico de fase 3 global para JR-141 que inscribirá a pacientes en los EE. UU., Brasil y Europa (ClinicalTrials.gov Identifier: NCT04573023).

Un resumen del artículo es el siguiente.

- ◆ **Título:**
Terapia de reemplazo enzimático con pabinafusp alfa para la mucopolisacaridosis II neuropática: un análisis integrado de datos preclínicos y clínicos.
En t. J. Mol. Sci. 2021, Volumen 22, Número 20, 10938
- ◆ **Identificador de objeto digital:**
[10.3390/ijms222010938](https://doi.org/10.3390/ijms222010938)
- ◆ **Resumen**
Aunque la terapia de reemplazo enzimático (TRE) mejora las manifestaciones somáticas en las mucopolisacaridosis (MPS), debido a que las enzimas administradas por vía intravenosa no pueden cruzar la barrera hematoencefálica (BHE), la TRE es ineficaz contra la neurodegeneración progresiva y los síntomas graves resultantes del sistema nervioso central (SNC) en pacientes MPS neuropáticos. Se han realizado intentos para superar este problema con TRE intratecal e intracerebroventricular, pero las cargas para los pacientes son perjudiciales en las administraciones a largo plazo. Pabinafusp alfa, una enzima humana iduronato-2-sulfatasa fusionada con un anticuerpo contra el receptor de transferrina y que traspasa la BHE mostró eficacia tanto central como periférica en un modelo de ratón, Posteriores ensayos clínicos en Japón y Brasil en un total de 62 pacientes con MPS-II (síndrome de Hunter) corroboraron esta doble eficacia. Este artículo resume los datos preclínicos y clínicos obtenidos y actualizados hasta ahora de este fármaco, y analiza los desafíos preclínicos, traslacionales y clínicos de evaluar, mejorar y prevenir la neurodegeneración en MPS-II.

Acerca del JR-141

JR-141 es una proteína de fusión recombinante de un anticuerpo contra el receptor de transferrina humana y la idursulfasa, la enzima que falta o es disfuncional en pacientes con síndrome de Hunter. Esta incorpora J-Brain Cargo®, la tecnología de penetración de BBB (Barrera Hematoencefálica por sus siglas en inglés) patentada por JCR, para cruzar la barrera hematoencefálica mediante la transcitosis mediada por el receptor de transferrina y su captación en las células está mediada y por el receptor de manosa-6-fosfato. Se espera que este nuevo mecanismo de acción haga que JR-141 sea eficaz contra los síntomas del sistema nervioso central del síndrome de Hunter.

En ensayos preclínicos, JCR ha confirmado tanto la unión de alta afinidad de JR-141 a los receptores de transferrina como el paso a través de la barrera hematoencefálica a las células neuronales, como lo demuestra la microscopía electrónica. Además, JCR ha confirmado la captación de enzimas en varios tejidos cerebrales. La compañía también ha confirmado una disminución en la acumulación de sustrato en un modelo animal de síndrome de Hunter.

En varios ensayos clínicos con JR-141, JCR encontró pruebas de la reducción de las concentraciones de heparán sulfato en el líquido cefalorraquídeo, un biomarcador para evaluar la efectividad del fármaco contra los síntomas del sistema nervioso central; estos resultados fueron consistentes con los obtenidos en estudios preclínicos. Los estudios clínicos también han demostrado efectos positivos de JR-141 sobre los síntomas del sistema nervioso central.

El Ministerio de Sanidad, Trabajo y Bienestar Social aprobó JR-141, que se comercializa desde mayo de 2021 con la marca «IZCARGO® I.V. Infusion 10mg».

En septiembre de 2021, JCR y Takeda anunciaron que habían llegado a un acuerdo de colaboración y licencia exclusivo, geográficamente específico, para comercializar JR-141 fuera de los Estados Unidos, incluidos Canadá, Europa y otras regiones (excepto Japón y algunos otros países de Asia y el Pacífico). Takeda también recibe una opción, en virtud de un acuerdo de opción independiente, que le permite adquirir una licencia exclusiva para comercializar JR-141 en los EE. UU. una vez completado el programa de fase 3. Las dos empresas colaborarán para llevar esta terapia a los pacientes lo más rápido posible una vez finalizado el programa global de Fase 3, que será llevado a cabo por JCR.

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.*