

Comunicado de prensa



October 18, 2021 JCR

Pharmaceuticals Co., Ltd.

TRADUCCIÓN

**La EMA otorga la designación PRIME a JR-141 para el tratamiento de la mucopolisacaridosis tipo II (síndrome de Hunter)**

18 de octubre de 2021 - JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. (TSE 4552; presidente: Shin Ashida; "JCR") ha anunciado que la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) ha otorgado la designación PRIME al medicamento en investigación para el tratamiento de la mucopolisacaridosis (MPS) II (síndrome de Hunter), JR-141 (pabinafusp alfa). PRIME es un programa lanzado por la EMA para mejorar el apoyo al desarrollo de medicamentos para necesidades médicas insatisfechas. Este programa se basa en una mejor interacción y un diálogo temprano con los desarrolladores de medicamentos prometedores, para así optimizar los planes de desarrollo y acelerar la evaluación para que estos medicamentos puedan llegar antes a los pacientes.

MPS II es un trastorno de almacenamiento lisosómico (LSD) caracterizado por múltiples signos y síntomas del sistema nervioso central y somático (SNC). JR-141 es una proteína de fusión recombinante de un anticuerpo contra el receptor de transferrina humano y la iduronato-2-sulfatasa, la enzima que falta o es disfuncional en pacientes con síndrome de Hunter. Se espera que JR-141 sea eficaz contra las manifestaciones neuropáticas de la enfermedad al atravesar la barrera hematoencefálica, mediante la transcitosis mediada por el receptor de transferrina, abordando así una necesidad insatisfecha significativa en el tratamiento de MPS II.

Actualmente, JCR se está preparando el inicio de un ensayo clínico global de fase 3 para JR-141 en los EE. UU., Brasil y Europa.

Con la designación PRIME, JCR puede esperar ser elegible para la evaluación acelerada de JR-141 en el momento de la solicitud de autorización de comercialización en Europa.

Después de JR-141, JCR planea aprovechar su plataforma de tecnología J-Brain Cargo® y avanzar en su sólida línea de terapias de reemplazo enzimático innovadoras para otros trastornos 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.

No hay impacto relacionado con el asunto en nuestros resultados comerciales consolidados para el año que finaliza el 31 de marzo de 2022.

### **Designación EMA PRIME (PRIORity Medicines)**

PRIME es un plan lanzado por la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) para mejorar el apoyo al desarrollo de medicamentos que se dirigen a una necesidad médica insatisfecha. Este plan se basa en una mejor interacción y un diálogo temprano con los desarrolladores de medicamentos prometedores, para optimizar los planes de desarrollo y acelerar la evaluación para que estos medicamentos puedan llegar antes a los pacientes. A través de PRIME, la Agencia ofrece apoyo temprano y proactivo a los desarrolladores de medicamentos para optimizar la generación de datos sólidos sobre los beneficios y riesgos de un medicamento y permitir una evaluación acelerada de las solicitudes de los medicamentos. Los desarrolladores de un medicamento que se beneficia de PRIME pueden esperar ser elegibles para una evaluación acelerada en el momento de la solicitud de una autorización de comercialización. Para ser aceptado para PRIME, un medicamento debe demostrar su potencial para beneficiar a los pacientes con necesidades médicas no satisfechas según los primeros datos clínicos.

### **Acerca del JR-141**

JR-141 es una proteína de fusión recombinante de un anticuerpo contra el receptor de transferrina humano y la iduronato-2-sulfatasa, la enzima que falta o es disfuncional en pacientes con síndrome de Hunter. Este incorpora J-Brain Cargo<sup>®</sup>, la tecnología de penetración de la barrera hematoencefálica patentada de JCR para cruzar la BHE a través de la transcitosis mediada por el receptor de transferrina, y su captación en las células mediada por el receptor de manosa-6-fosfato. Se espera que este nuevo mecanismo de acción haga que JR-141 sea eficaz contra los síntomas en el 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 eficacia del fármaco en la reducción del sustrato causante de la enfermedad en el sistema nervioso central, lo que está en consonancia con los resultados obtenidos en los estudios preclínicos. Los estudios clínicos también han demostrado efectos positivos de JR-141 en 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<sup>®</sup> I.V. Infusion 10mg».

En septiembre de 2021, JCR y Takeda anunciaron un acuerdo de licencia y colaboración exclusiva geográficamente específico, para comercializar JR-141. Según los términos del acuerdo exclusivo de colaboración y licencia, Takeda tendrá exclusividad para comercializar JR-141 fuera de los Estados Unidos, incluidos Canadá, Europa y otras regiones (excepto Japón y otros países de Asia Pacífico). Takeda también recibió 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 antes posible una vez finalizado el programa global de Fase 3, que será llevado a cabo por JCR.

## **Acerca de la mucopolisacaridosis II (síndrome de Hunter)**

El síndrome de Hunter es una enfermedad lisosómica recesiva ligada al cromosoma X causado por una deficiencia de iduronato-2-sulfatasa, una enzima que descompone los glicosaminoglicanos (mucopolisacáridos) en el cuerpo. Se estima que el número de pacientes con síndrome de Hunter en Japón es aproximadamente 250 (según la investigación del JCR). MPS II da lugar a una amplia gama de síntomas somáticos y neurológicos. Una limitación importante de la terapia de reemplazo enzimático 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.

### Referencias

1: Sonoda, et al. A blood-brain-barrier-penetrating anti-human transferrin receptor antibody fusion protein for neuronopathic mucopolysaccharidosis II. *Molecular Therapy*. 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; <https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2021.01.027>. 3: Okuyama, et al. Iduronate-2-sulfatase with Anti-human Transferrin Receptor Antibody for Neuronopathic 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.

6: Giugliani, et al. Enzyme Replacement Therapy with Pabinafusp Alfa for Neuronopathic Mucopolysaccharidosis II; an Integrated Analysis of Preclinical and Clinical Data. *Int. J. Mol. Sci.* 2021, Volume 22, Issue 20, 10938.

*\* 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.*