

VISÃO GERAL

Ensaio Clínico JR-141

A **JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.** é uma empresa global de especialidades farmacêuticas que está redefinindo as expectativas e expandindo as possibilidades para pessoas com doenças raras e genéticas em todo o mundo. Nossos valores essenciais –confiabilidade, confiança e persistência –significam que o trabalho que fazemos beneficia todas as partes interessadas, incluindo colaboradores, parceiros e pacientes.

Continuamos a desenvolver nosso **legado de 48 anos** no Japão, ao mesmo tempo em que expandimos nossa presença global com ensaios nos Estados Unidos, Ásia, Europa e América Latina. Melhoramos a vida dos pacientes aplicando nosso conhecimento científico e tecnologias exclusivas para pesquisar, desenvolver e fornecer terapias de última geração. **Together, we soar.**

A terapia mencionada neste documento é uma terapia experimental e só está aprovada para uso comercial no Japão. Qualquer informação sobre a terapia experimental aqui contida não se destina a fornecer aconselhamento médico nem deve ser usada como um substituto para o aconselhamento fornecido pelo seu médico ou outro profissional de saúde. Visite o site da JCR Pharmaceuticals para obter mais informações.



A JCR recebeu a aprovação para o JR-141 para o tratamento de pacientes com mucopolissacarídose (MPS II), também conhecida como síndrome de Hunter, no Japão em março de 2021. Aplicamos nossa tecnologia de penetração da barreira hematoencefálica, J-Brain Cargo®, ao JR-141. O JR-141 é a primeira terapia de reposição enzimática a atravessar a barreira hematoencefálica para tratar sintomas do sistema nervoso central associados à síndrome de Hunter, com base nos dados apresentados para aprovação do JR-141 no Japão.

A JCR e a Takeda estão colaborando para levar o JR-141 (pabinafusp alfa) a indivíduos com MPS II. O estudo global de Fase 3 planeja investigar os efeitos do JR-141 no SNC e na carga de doenças somáticas em indivíduos neuropáticos e atenuados com MPS II. Sob o contrato de colaboração e licença, a Takeda garante os direitos de comercialização do JR-141 fora dos Estados Unidos, incluindo Canadá, Europa e outras regiões (exceto Japão e alguns outros países da região Ásia-Pacífico). Exceto por uma opção que a Takeda possa exercer no futuro, a Takeda atualmente não tem nenhum direito de comercializar o JR-141 nos Estados Unidos.

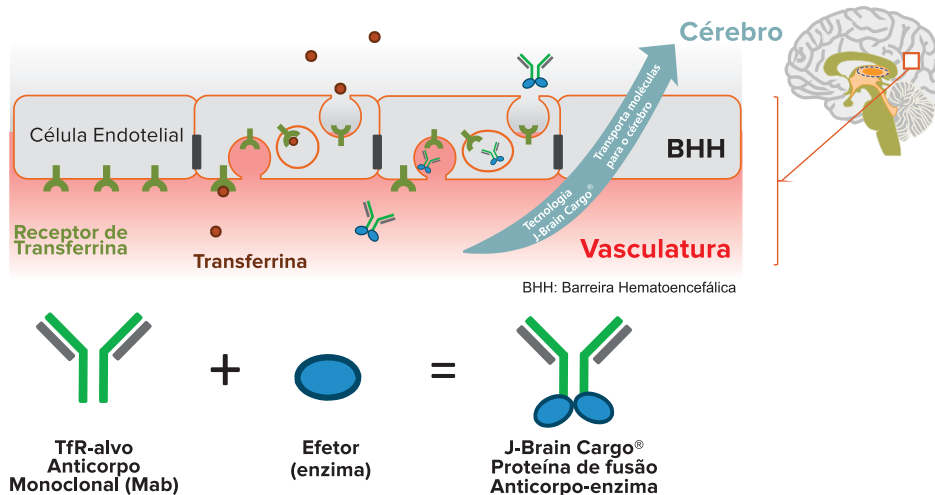
Tecnologia J-Brain Cargo®

Nossa inovadora tecnologia patenteada, **J-Brain Cargo®**, nos permite desenvolver terapias que cruzam a barreira hematoencefálica e penetram no sistema nervoso central (SNC).

As complicações das doenças do SNC costumam ser graves, resultando em atrasos no desenvolvimento, impactos na cognição e, sobretudo, maus prognósticos, que afetam tanto a independência quanto a qualidade de vida dos pacientes e de seus cuidadores.

Com o **J-Brain Cargo®**, buscamos abordar os desafios clínicos não resolvidos dos distúrbios de armazenamento lisossômico, fornecendo a enzima ao corpo e ao cérebro.

Mecanismo de ação J-Brain Cargo® que carrega a enzima através da barreira hematoencefálica



Para mais informações, acesse:

→ jcrpharm.com.br ✉ sac@jcrpharm.com.br

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. Todos os direitos reservados

A JCR está realizando um ensaio clínico de Fase 3 do JR-141 nos EUA, Brasil, Reino Unido, Alemanha, França e Espanha. Também há planos para realizar o ensaio na Turquia, Itália, Polônia, Colômbia e Argentina. O estudo multicêntrico, randomizado, cego para avaliadores e de controle ativo foi desenvolvido para avaliar a segurança e eficácia do JR-141 para o tratamento de pacientes com MPS II.

Critérios de Elegibilidade

Os pacientes devem ter um diagnóstico de **MPS II** e atender a todos os critérios de elegibilidade a seguir.

Critérios de Inclusão

	<Coorte A>	<Coorte B>
<ul style="list-style-type: none"> Ter fornecido consentimento informado (ou permissão informada do representante legal do paciente) Quaisquer co-parceiros com potencial para gerar filhos deverão concordar em usar um método de contracepção clinicamente aprovado a partir do momento do consentimento informado Pacientes que não receberam a terapia anteriormente ou pacientes que estão recebendo terapia de reposição enzimática estável com idursulfase por mais de 12 semanas antes de iniciar a administração de JR-141 	<ul style="list-style-type: none"> Pacientes de 36-42 meses: os pacientes devem ter uma pontuação padrão no domínio cognitivo medido pelo BSID-III de 85 ou menos na triagem; Pacientes de 43 a 71 meses de idade: os pacientes devem ter: <ul style="list-style-type: none"> OU 1) Um DQ no domínio cognitivo medido por BSID-III entre 20-85 na triagem OU 2) Uma pontuação padrão composta em NVI medida por KABC-II de 85 ou menos na triagem apenas para quem é capaz de realizar KABC-II Pacientes com 30-35 meses de idade na triagem, com presença de variantes patogênicas no gene IDS, e que se considera que têm o fenótipo grave de acordo com o Painel de Especialistas 	<ul style="list-style-type: none"> Pacientes com 6 anos ou mais no momento da assinatura do consentimento informado e cujo QI em um teste Wechsler (WISC-V ou WAIS-IV) é 70 ou superior na triagem Pacientes com deficiência de 1 DP nos erros de omissão ou domínios de variabilidade do teste TOVA ou Velocidade de Processamento ou Memória de trabalho nos testes Wechsler

Critérios de Exclusão

- Ter realizado terapia gênica ou transplante de células-tronco hematopoiéticas (TCTH), excluindo aqueles que necessitam de terapia de reposição enzimática mesmo após TCTH
- Ser incapaz de submeter-se a punção lombar
- Ter recebido qualquer outro produto experimental (medicamento ou dispositivo) dentro de quatro meses após a inscrição no estudo
- Ter uma infecção local ou geral conhecida ou suspeita ou estar em risco de sangramento anormal devido a uma condição médica ou terapia
- Ser incapaz de cumprir o protocolo conforme determinado pelo investigador principal ou subinvestigador
- Ser julgado pelo investigador principal ou subinvestigador como inelegível para participar do estudo devido a um histórico de alergia ou sensibilidade a medicamentos graves, incluindo sensibilidade à anestesia ou hipersensibilidade a qualquer componente do JR-141

Principais Avaliações de Eficácia

<Coorte A: SNC>	<Coorte B: somática>
<ul style="list-style-type: none"> Alteração no nível de sulfato de heparano no fluido cerebrospinal Mudança na pontuação do teste neurocognitivo pelo BSID-III 	<ul style="list-style-type: none"> Alteração relativa no volume do fígado em relação ao peso corporal Alteração relativa no volume do baço em relação ao peso corporal Mudança relativa na distância do teste de caminhada de 6 minutos

Número total de participantes no estudo → **80**

Resultados dos ensaios clínicos no Brasil

- Giugliani R, et al. *Mol Ther.* 2021. 29(7): 2378-2386

Trabalho abrangente

- Giugliani R, et al. *Int. J. Mol. Sci.* 2021. 22(20):10938.

Resultados dos ensaios clínicos no Japão

- Okuyama T, et al. *Mol Ther.* 2019; 27(2): 456-464
- Okuyama T, et al. *Mol Ther.* 2021. 29(2):671-679

Para mais informações, acesse:

→ jcrpharm.com.br ✉ sac@jcrpharm.com.br

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. Todos os direitos reservados

100

95

75

25

5

0