



Sindrome di Hunter, Italfarmaco e Jcr Pharmaceuticals insieme per terapia sperimentale

Descrizione

(Adnkronos) Italfarmaco Spa e Jcr Pharmaceuticals hanno annunciato oggi un accordo di licenza esclusiva per lo sviluppo e la commercializzazione di JR-141 negli Stati Uniti, in Europa e in America Latina (territori concessi in licenza), previa approvazione regolatoria. JR-141 è una terapia enzimatica sostitutiva in grado di attraversare la barriera emato-encefalica (Bee), attualmente in fase 3 (NCT04573023) di valutazione come trattamento della sindrome di Hunter (nota anche come mucopolisaccaridosi di tipo II o Mps II). Jcr e Italfarmaco intendono ottenere l'approvazione regolatoria per JR-141 dalla Food and drug administration (Fda) statunitense, dall'Agenzia europea per i medicinali (Ema), dalla Medicines and healthcare products regulatory agency (Mhara) del Regno Unito e dall'Agenzia brasiliana di regolamentazione sanitaria (Anvisa). La molecola è già approvata e commercializzata in Giappone dal 2021 come pabinafusp alfa. A seguito delle approvazioni regolatorie da parte di Fda, Ema, Mhara e Anvisa, Italfarmaco si legge commercializzerà e distribuirà il farmaco nei territori autorizzati, mentre JCR manterrà la responsabilità della produzione di JR-141 al momento delle autorizzazioni all'immissione in commercio. Jcr riceverà pagamenti anticipati, milestone e royalty, oltre ai ricavi associati alla fornitura del farmaco.

JR-141 è una proteina di fusione ricombinante di nuova generazione costituita da un anticorpo contro il recettore umano della transferrina e dall'iduronato-2-solfatasi, enzima che è assente o non funziona correttamente negli individui affetti dalla sindrome di Hunter. JR-141 è stato sviluppato utilizzando J-Brain Cargo, la tecnologia di proprietà di Jcr per la penetrazione della Bee. J-Brain Cargo è progettata per trasportare l'enzima terapeutico attraverso la Bee per raggiungere direttamente il cervello e affrontare sia i sintomi somatici sia quelli neuronopatici della malattia, che possono portare a un progressivo declino cognitivo. Questo accordo amplia il rapporto tra Jcr e Italfarmaco, che hanno stipulato un accordo di licenza esclusiva a dicembre 2025 per la commercializzazione di givinostat in Giappone, un trattamento per la distrofia muscolare di Duchenne, oltre a un accordo di partnership strategica per le terapie delle malattie rare.

Siamo lieti di stipulare questo accordo strategico con Italfarmaco dichiara Hiroyuki Sonoda, Ph.D., presidente e Chief Scientific Officer di Jcr e di collaborare con un partner ideale per la

commercializzazione globale, mentre lavoriamo per raggiungere il nostro obiettivo di rendere JR-141 disponibile alle persone affette dalla sindrome di Hunter in tutto il mondo. Italfarmaco vanta competenze nello sviluppo e nella commercializzazione di terapie a livello mondiale e non vediamo l'ora di collaborare con loro per rendere JR-141 disponibile anche ai pazienti al di fuori del Giappone nel più breve tempo possibile. Questo accordo rafforza il nostro impegno nella partnership con Italfarmaco, sviluppando terapie per malattie rare e genetiche destinate ai pazienti di tutto il mondo.

Questa collaborazione afferma Francesco Di Marco, Chief Executive Officer di Italfarmaco Group, segna una tappa importante nel rapporto tra Italfarmaco e Jcr Pharmaceuticals e riflette un impegno condiviso a sviluppare terapie innovative per le persone affette da malattie rare e genetiche. Unendo la pionieristica esperienza di Jcr nelle tecnologie della barriera emato-encefalica e le competenze globali di Italfarmaco nello sviluppo e nella commercializzazione di terapie per le malattie rare, stiamo creando solide basi per accelerare l'innovazione a beneficio delle comunità dei pazienti che ne hanno più bisogno. Sulla base del successo della collaborazione fra Italfarmaco e Jcr nella distrofia muscolare di Duchenne, questo accordo rafforza ulteriormente, dichiara Antonio Nardi, vicepresidente e Head of Business & Portfolio Development di Italfarmaco, la nostra partnership e consolida l'ambizione condivisa di essere un'azienda leader nel campo delle malattie rare e genetiche. Insieme al nostro partner, proseguiremo nel nostro impegno a rendere disponibili trattamenti innovativi per i pazienti e le famiglie che ne hanno più bisogno.

Il pagamento anticipato previsto da questo accordo conclude la nota. È stato incluso nelle previsioni degli utili consolidati di Jcr per l'esercizio fiscale che terminerà il 31 marzo 2027. Jcr Pharmaceuticals ha sviluppato una tecnologia di proprietà in grado di attraversare la barriera emato-encefalica (Bee), J-Brain Cargo, per veicolare i biofarmaci nel sistema nervoso centrale (Snc). Il primo farmaco sviluppato sulla base di questa tecnologia è pabinafusp alfa, approvato in Giappone per il trattamento della sindrome di Hunter, una malattia da accumulo lisosomiale. Con J-Brain Cargo, Jcr si impegna ad affrontare le sfide cliniche ancora irrisolte di queste malattie, veicolando l'enzima sia nell'organismo che nel cervello.

La sindrome di Hunter (mucopolisaccaridosi di tipo II o Mps II) è una malattia da accumulo lisosomiale a ereditarietà recessiva legata al cromosoma X causata da una carenza di iduronato-2-solfatasi, un enzima che scompone nell'organismo carboidrati complessi chiamati glicosaminoglicani (Gag, noti anche come mucopolisaccaridi). La sindrome di Hunter, che colpisce circa 2.000-3.000 individui in tutto il mondo (secondo una ricerca di Jcr), dà origine a un'ampia gamma di sintomi somatici e neurologici. L'attuale standard di cura per la sindrome di Hunter è la terapia enzimatica sostitutiva, che non affronta i sintomi correlati alla compromissione del sistema nervoso centrale in questa malattia lisosomiale.

??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 2, 2026

Autore

redazione

default watermark