



## **JCR ファーマ株式会社**

2022 年 3 月期第 2 四半期決算説明会（プレゼンテーション）

2021 年 11 月 2 日

## イベント概要

---

[企業名]	JCR ファーマ株式会社
[企業 ID]	4552
[イベント言語]	JPN
[イベント種類]	決算説明会
[イベント名]	2022 年 3 月期第 2 四半期決算説明会（プレゼンテーション）
[決算期]	2021 年度 第 2 四半期
[日程]	2021 年 11 月 2 日
[ページ数]	41
[時間]	15:00 – 15:35 (合計：35 分、登壇：35 分)
[開催場所]	インターネット配信
[会場面積]	
[出席人数]	
[登壇者]	3 名
	代表取締役会長兼社長 芦田 信（以下、芦田）
	執行役員 開発本部長 谷澤 和紀（以下、谷澤）
	管理本部 経理部長 太田 義博（以下、太田）

## 登壇

芦田：JCR ファーマ株式会社の芦田でございます。皆様におかれましては、平素より当社への格別のご理解とご支援を賜り、誠にありがとうございます。

本日の決算説明会は、2022年3月期第2四半期の決算概要と、研究開発状況について、後ほど各担当者から詳細をご説明いたします。

### 武田薬品と締結した契約の概要



ムコ多糖症Ⅱ型に対する次世代型治療薬  
血液脳関門通過型イズロン酸2スルファターゼ「JR-141」について、  
グローバルの特定地域における独占的な共同開発および  
ライセンス契約を武田薬品工業株式会社（以下、武田薬品）と締結



日本における製品



×



#### JCRの有する権利

- 米国外のライセンス契約一時金
- 米国におけるオプション権を付与する対価
- 開発と事業化の進捗に応じたマイルストーン
- 上市後の製品売上に応じたロイヤリティ

#### 武田薬品の有する権利

- 米国外（日本とアジア太平洋地域の一部を除く）での承認取得後の独占的事業化を行う
- グローバル臨床第Ⅲ相試験の完了後に米国での事業化について独占的オプション権を有する

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

1

私から、9月30日に公表しました、JR-141のグローバルでの開発、販売に関する武田薬品工業株式会社との提携について、お話をさせていただきます。

今回の契約で、われわれは武田薬品から米国外のライセンス契約一時金、米国におけるオプション権を付与する対価、開発と事業化の進捗に応じたマイルストーンフィー、上市後の製品売上に応じたロイヤリティ収入を得る権利を有します。

JCRの使命は、ムコ多糖症Ⅱ型をはじめとする、中枢神経系症状があるライソゾーム病の患者の皆さんに画期的な治療選択肢をできるだけ早くお届けすること。これには武田薬品の有する知識と経験、希少疾病に対する想いが大変重要である。



Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

2

武田薬品とのパートナーシップを通じて、世界中のハンター症候群の患者の皆さんに、新たな治療選択肢をできるだけ速やかにお届けすることができ、また、交渉を進めていく中で、両社の希少疾病に対する思いが合致していることを強く感じました。今回の契約を締結できたことは、経済的な条件も含め、非常に満足しております。

## 開発ステージ (JCRが取り組む17のライソゾーム病治療薬)



★: 18th Annual WORLDSymposium™2022で発表予定

□: 2021年5月から開発ステージの進捗があったプロジェクト

	既存薬あり (Worldwide)	既存薬なし (Worldwide)
製造販売承認申請	JR-141 ムコ多糖症II型 (ハンター症候群) ★	
臨床試験	JR-171 ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群等) ★ JR-141 ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)	
前臨床	JR-162 ポンベ病	JR-441 ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリッポ症候群A型) ★ JR-446 ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリッポ症候群B型)
製法検討	JR-443 ムコ多糖症VII型 (スライ症候群)	フコシドーシス クラッパ病 ハッテン病 乳児型 (CLN1) テイ・サックス病
動物モデルでの薬効確認	ニーマンピック病 ゴージェ病 ハッテン病 遅発乳児型 (CLN2)	GM1ガングリオシドーシス α-マンノシドーシス 異染性白質ジストロフィー
基礎研究		ガラクトシアリドーシス

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

3

現在開発中のライソゾーム病治療薬につきましては、地域やその疾患がウルトラレアか、そうでないかを精査し、自社販売を行うのか、他社とのライセンス導出を行うのか、検討を進めていきたいと考えております。

なお、JR-171につきましては、既に複数社が興味を示しておりますので、さまざまな条件を勘案し、交渉を進めてまいります。

## JCRは積み重ねた歴史と想いをさらに一歩前へ



- 「J-Brain Cargo®」の導出により様々な疾患領域での画期的な医薬品の創出に貢献

- 「ライソゾーム病領域」での一連の候補品目のグローバルで開発を加速

希少疾病領域における  
グローバル  
スペシャリティファーマ

JCRはグローバルへ！  
第2の創業期



- 「JR-141」のグローバル導出
- グローバルバイオフーマによる「J-Brain Cargo®」の評価

希少疾病への想い Together We Soar.

希少疾病の世界を変える。「チームJCR」が変わる。

企業理念：「医薬品を通して人々の健康に貢献する」

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

4

今回の JR-141 のグローバルライセンス導出は、武田薬品というバイオフーマから、われわれの血液脳関門通過技術、J-Brain Cargo を評価していただいた結果であると思っております。

われわれは、今後もライソゾーム病領域での新薬開発をグローバルで行うと同時に、導出も加速させていき、また、J-Brain Cargo 技術の積極的な導出を進めてまいります。

われわれは、いろいろな疾患領域での画期的な医薬品創出に貢献できる、第2の創業期を迎えたと思っております。今期の後半から数年は、グローバルでの臨床試験の実施や販売に向けた、いろいろな準備を進め、グローバルスペシャリティファーマという目標に向かって、チーム JCR 一丸となり、頑張っております。

## ● 新型コロナウイルスワクチン原液製造について

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

5

また、アストラゼネカから受託したワクチン製造につきましては、12月をめどに、予定したバッチの全ての製造を完了する予定です。

### JCRが取り組むサステナビリティの方向性と関連するSDGsの目標

	<b>希少疾病(レアディーズ) (Rare Disease)</b> ・希少疾病治療薬の開発につながる基礎研究の拡充 ・希少疾病の認知度向上に向けた新たな取り組みの実施 ・社内啓発および全社的な取り組みの継続実施	
	<b>環境(Environment)</b> ・事業活動を通じた環境負荷の削減に向けた地域に根差した新たな対策の検討・実施	
	<b>社会(Society)</b> ・[チームJCR]一人ひとりが輝ける職場環境づくり、人材育成の促進 ・小児希少疾病や保健医療分野における支援強化および新たな取り組みの実施	
	<b>コーポレート・ガバナンス(Corporate Governance)</b> ・グローバル化に向けた製品の「安定供給」体制の強化 ・大胆かつ適切な意思決定を迅速に行いうる強固な経営基盤の確立 ・自社リスクに対するリスクマネジメントのさらなる推進	
<b>医薬事業を通じた貢献</b>	「チームJCR」の総力を結集した事業活動の質的・量的な[変革]による 「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」の加速	

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

U

また、われわれは、誰一人取り残さない、持続可能でよりよい社会の実現を目指す SDGs の理念のもと、これまでの取り組みをさらに加速、拡充させることにも積極的に取り組んでまいります。

今後とも、皆様のご理解とご支援を賜りたく、よろしくお願い申し上げます。

- R&D説明会(仮称)開催について  
(投資家・アナリスト対象)

なお、J-Brain Cargo を含む JCR の技術、研究の取り組みを、より詳しくご理解いただきたいと考えており、今期中に JCR の R&D 説明会を開催する予定です。こちらもぜひご注目をいただければ幸いです。よろしくお願いいたします。

**第2四半期  
実績  
(2022年3月期)**
**売上高、各利益ともに前年同期を上回る結果**

(単位：百万円)

	第2四半期実績	前年同期比	対通期予想 (修正後) 進捗率
売上高	28,383	+159.2%	54.6%
営業利益	13,640	+943.3%	62.9%
経常利益	13,731	+916.4%	63.3%
親会社株主に帰属 する四半期純利益	9,234	+652.6%	60.0%

- 9/30(木) に通期連結業績予想を上方修正。
- 医薬品売上はイズカーゴ<sup>®</sup>の新発売や既存製品の伸長が寄与し、前年同期より増加。さらに契約金収入およびAZD1222原液の売上高増加が大きく寄与し、売上高合計で前年同期に比べて大幅な増収となった。
- 販売・一般管理費および研究開発費は前年同期比で増加したものの、増収効果により各利益についても大幅な増益となった。

**太田**：2020年3月期第2四半期の決算概要につきまして、経理部の太田よりご説明申し上げます。よろしくお願いいたします。

まず、第2四半期の実績の概要につきましてご説明申し上げます。売上高、各利益ともに前年同期を上回る結果となっております。

こちらの売上高等は、後ほど詳細はご説明申し上げますが、9月30日に通期の連結業績予想につきまして上方修正をさせていただいております。

また、医薬品売上は、イズカーゴの新発売でありますとか、既存製品の売上の伸長が寄与いたしまして、前年同期より増加しております。

さらに、契約金収入およびAZD1222原液、こちらはコロナウイルスワクチンの原液になりますけれども、こちらの売上高が増加したところが大きく寄与しております、売上高合計は、前年同期に比べて大きく増収となっております。

一方で、販売・一般管理費および研究開発費につきましても、前年同期比で増加しておりますが、増収効果により各利益につきましても大幅な増益となっております。

(単位：百万円)

連結	2021年3月期 4-9月	2022年3月期4-9月		2022年3月期通期	
		A	前年同期比	予想 (修正後) B	対予想進捗率 A/B
売上高	10,951	<b>28,383</b>	<b>+159.2%</b>	52,000	54.6%
売上原価	3,513	<b>4,485</b>	<b>+27.7%</b>	8,300	54.0%
売上総利益	7,438	<b>23,898</b>	<b>+221.3%</b>	43,700	54.7%
販売・一般管理費	3,723	<b>6,737</b>	<b>+81.0%</b>	11,700	57.6%
研究開発費	2,407	<b>3,520</b>	<b>+46.2%</b>	10,300	34.2%
営業利益	1,307	<b>13,640</b>	<b>+943.3%</b>	21,700	62.9%
経常利益	1,351	<b>13,731</b>	<b>+916.4%</b>	21,700	63.3%
親会社株主に帰属する 四半期/当期純利益	1,227	<b>9,234</b>	<b>+652.6%</b>	15,400	60.0%

【ご参考】

共同開発先による負担増除前の 研究開発費	2,607	<b>3,570</b>	<b>+36.9%</b>	11,080	32.2%
-------------------------	-------	--------------	---------------	--------	-------

◆ 営業利益 **13,640百万円**  
対前年同期 +12,333百万円



主な増減要因（前年同期比）

- ・主に契約金収入およびAZD1222原液による売上高の大幅な増加  
+17,432百万円
- ・製品売上の増収による売上原価の増加  
△972百万円
- ・人員増および製品売上に対するロイヤリティ・手数料等の支出の増加による販管費の増加  
△3,014百万円
- ・臨床試験進捗に応じた研究開発費の増加  
△1,113百万円

続きまして、連結決算の概要につきましてご説明申し上げます。売上高は283億8,300万円と、前年同期比で159.2%、174億3,200万円の増収と、大幅増収となっております。

こちらは、先ほど申し上げましたとおり、契約金収入およびワクチンの売上高の大幅な増加といったところが大きな要因となっております。

また、売上の増加に伴いまして、売上原価も若干増加しておりますが、売上総利益は238億9,800万円、前年対比221.3%の増加と、こちらも大幅に増加している状況でございます。

販売・一般管理費は67億3,700万円と、前年同期比81%、金額では30億1,400万円の増加となっております。こちらにつきましては、人員が増加したことにより人件費の増、ならびに製品売上に対しますロイヤリティ、あるいは各種手数料、こちらは今期特有のものが結構ございまして、こちらによる支出の増加がございましたので、販管費が大きく増加している状況でございます。

研究開発費は35億2,000万円、前年同期比46.2%、金額ベースでは11億1,300万円の増加となっております。こちらは、臨床試験の進捗に伴いまして、研究開発費が増加しているといったところが主な要因となっております。

これらによりまして、営業利益は136億4,000万円と、前年同期比943.3%増と、約10倍の数字となっております。経常利益につきましても同様の傾向となっております。

また、四半期純利益につきましても 92 億 3,400 万円で、前年同期比 652.6%の増、金額ベースでも 80 億円強の増加で、大幅な増益となっております。

なお、右側に当期の通期予想につきまして記載させていただいております。こちらは、9月30日に公表、修正予想をさせていただいた数値となっております。年間予想といたしましては、売上高 520 億円、営業利益が 217 億円、四半期純利益が 154 億円の予想となっておりますが、これらに対しまして、進捗率は 50%強から 60%の間で、各段階利益になっており、順調に推移しているといった状況でございます。

品目	2021年3月期4-9月		2022年3月期4-9月 A			2022年3月期通期	
		構成比		構成比	前年同期比	予想 (修正後) B	対予想 進捗率 A/B
グロウジェクト®	6,538	59.7%	6,689	23.6%	+2.3%	13,900	48.1%
イズカーゴ®	-	-	985	3.5%	-	2,800	35.2%
腎性貧血治療薬	3,390	31.0%	3,011	10.6%	△11.2%	6,400	47.0%
エポエチンアルファ BS注「JCR」	1,696	15.5%	1,512	5.3%	△10.8%	2,700	56.0%
ダレボエチンアルファ BS注「JCR」	1,694	15.5%	1,498	5.3%	△11.6%	3,700	40.5%
テムセル®HS注	784	7.2%	1,717	6.1%	+118.9%	3,200	53.7%
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	220	2.0%	323	1.1%	+47.0%	800	40.4%
医薬品等合計	10,934	99.8%	12,728	44.9%	+16.4%	27,100	47.0%
契約金収入	10	0.1%	7,557	26.6%	(756倍)	10,200	74.1%
その他	7	0.1%	51	0.2%	(7.3倍)	0	-
AZD1222原液	-	-	8,046	28.3%	-	14,700	54.7%
売上高合計	10,951	100.0%	28,383	100.0%	+159.2%	52,000	54.6%

◆売上高 28,383百万円  
対前年同期 +17,432百万円



主な増減要因 (前年同期比)  
 ・イズカーゴ®新発売 +985百万円  
 ・契約金収入の増加 +7,547百万円  
 ・契約スケジュールに準じたAZD1222原液の出荷 +8,046百万円

続きまして、売上高の内訳につきましてご説明申し上げます。弊社の主力製品でございますグロウジェクトは 66 億 8,900 万円、前年同期比 2.3%、1 億 5,100 万円の増収となっております。こちらは、薬価改定の影響を受けておりますが、販売数量の増加によりまして増収といった形になっております。

本年 5 月に販売開始いたしましたイズカーゴは、9 億 8,500 万円の売上高を計上しております。腎性貧血治療薬は 30 億 1,100 万円で、前年同期比 11.2%の減収となっております。こちら、エポエチンアルファにつきまして、当期の初旬に出荷調整を行った影響を受けております。

テムセルは 17 億 1,700 万円で、前年同期比で 118.9%、金額ベースで 9 億 3,200 万円の増加となっております。なお、こちらは、前期の前半におきまして出荷制限がかかったところで、前期は少なくなっています。なお、一昨年同時期と比べても、増収といった形になっております。

アガルシダーゼ ベータにつきましては3億2,300円の売上となっており、前年同期比47%の増となっております。

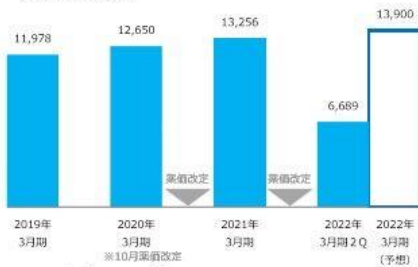
これらによりまして、医薬品等合計、既存製品の売上高合計は127億2,800万円、前年同期比16.4%の増となっております。

契約金収入は75億5,700万円で、前年同期は1,000万円しか計上がございませんでしたので、こちらは大きな増収要因になっている状況でございます。

AZD1222 原液は80億4,600万円が上半期で計上されているといった状況でございます。

これらによりまして、売上高合計は283億8,300万円、前年同期比159.2%の増といったところで、大きく増収となっている状況でございます。

遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン製剤  
グロウジェクト®



近年のトピックス  
 ・2020年10月：営業体制変更  
 ・2020年10月：めろん日記®公開

ヒト体性幹細胞加工製品  
ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞  
テムセル®HS注



近年のトピックス  
 ・2020年4月-8月：在庫ひっ迫に伴う出荷制限

遺伝子組換えヒトエリスロポエチン製剤  
エポエチンアルファBS注「JCR」

持続型赤血球造血刺激因子製剤  
ダルベポエチン アルファBS注「JCR」



近年のトピックス  
 ・2021年4-5月：エポエチンアルファBS注「JCR」シリンジ製剤出荷調整

遺伝子組換えファブリー病治療剤  
アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」



続きまして、各製品別売上高の推移につきまして、グラフにしております。

まず、左上に、グロウジェクトにつきまして表示させていただいております。こちらは、薬価改定が2020年3月期の後、また2021年3月期の後といったところで行われておりますが、それにもかかわらず売上高は右肩上がり推移している状況で、当年度もその予想になっております。

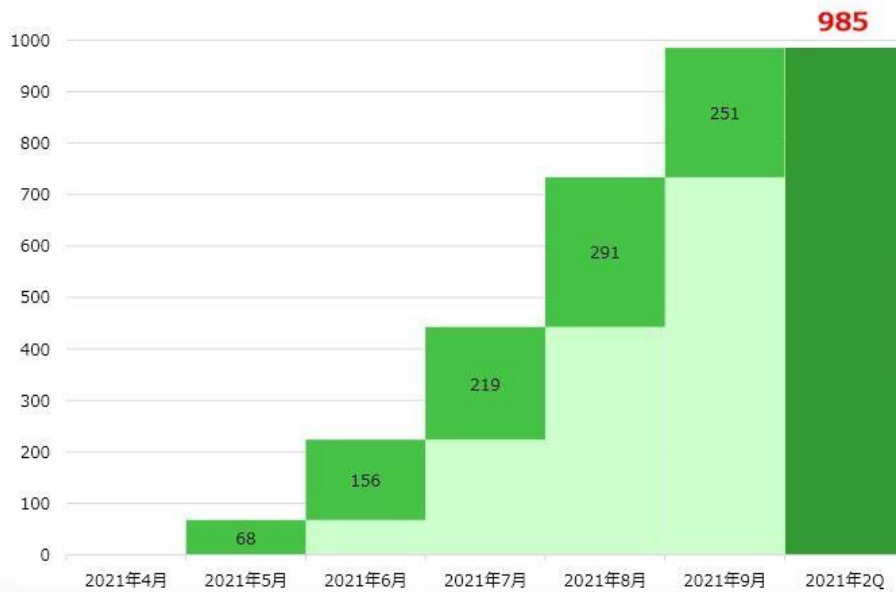
右側、こちらにエポエチンアルファ、ならびにダルベポエチンアルファ、腎性貧血治療薬の合計のグラフを記載させていただいております。こちらは、2021年度までは順調に推移してはいたが、当年度は薬価改定による価格ダウンの影響等々もございまして、若干下がっている状況を予想しております。

左下、テムセルの状況でございますが、こちらは先ほども申し上げましたけれども、2021年度に関してはいったん減収となっておりますが、今年度は通期で32億円を予想しております。こちらは、2020年3月期を上回る数値を予想しております。

アガルシダーゼベータは、2019年3月期に販売開始しておりますが、それ以来順調に売上高を伸ばしている状況でございます。



## イズカーゴ®単月売上高推移 (単位：百万円)



トピックス  
・2021年5月19日 新発売  
・マーケティング部内にライソゾーム病専任部隊を設置し、イズカーゴ®に関する情報提供活動を専門的にサポート

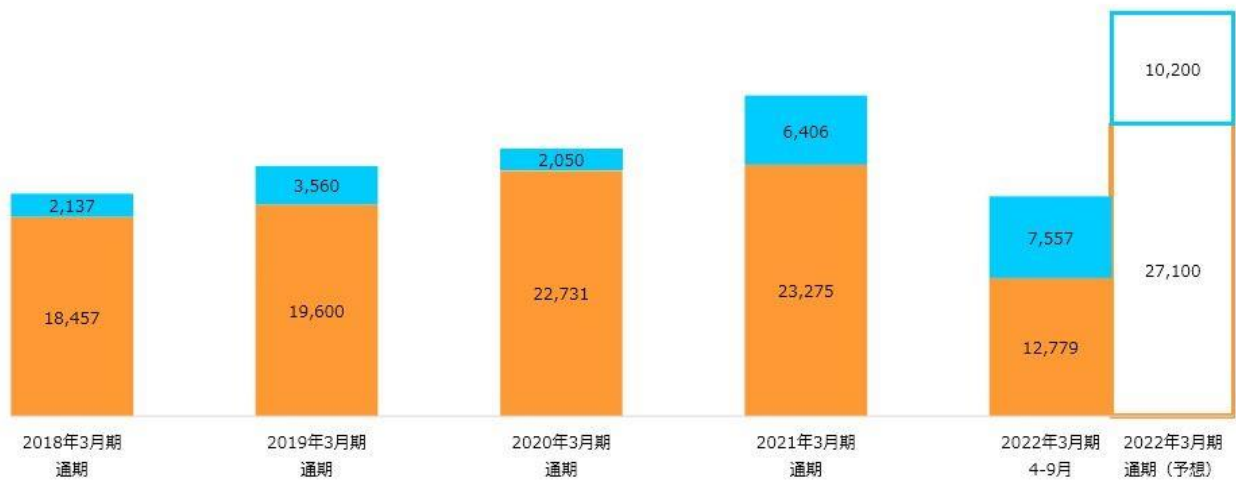
続きまして、本年度販売を開始いたしましたイズカーゴにつきまして、単月での推移を記載させていただきます。こちらは5月発売以来、ずっと右肩上がりで推移しているといったところをご覧いただけるかと思えます。それにより、9月までこちらで9億8,500万円の売上高を計上しております。

こちらにつきましては、5月19日に新発売しておりますが、新発売以来、マーケティング部内にライソゾーム病専任部隊を設置いたしまして、イズカーゴに関する専門的な情報提供活動をサポートしております。それによって売上高を伸ばしている状況でございます。

■ 製商品\*売上高 ■ 契約金

（単位：百万円）

\*製商品：グロウジェクト、イズカーゴ、腎性貧血治療薬、テムセル、アガルシダーゼペーターBS注「JCR」、その他



続きまして、ワクチン売上を除く売上高の推移を記載させていただいております。下のオレンジの部分が製品売上になりますけれども、こちらをご覧いただければ、製品売上も堅調に右肩上がりで推移していることがご理解いただけるかと思えます。

また、そちらの上に契約金収入が青い部分で乗っておりますが、それを合わせますと、今年度は特に顕著に増加しておりますが、ずっと右肩上がりで増収傾向であるといったところを示しております。

	2020年 3月末	2020年 9月末	増減 ・主な増減項目		2020年 3月末	2020年 9月末	増減 ・主な増減項目
流動資産	48,545	58,422	計 +9,876 ・現預金 △ 5,848 ・売掛金 +13,956 ・たな卸資産 +1,491	流動負債	29,028	35,586	計 +6,558 ・圧縮未決算特別勘定 +4,345 ・短期借入金 +2,200
				固定負債	6,199	4,024	計 △ 2,174 ・長期借入金 △ 2,200
				負債合計	35,227	39,610	+4,383
固定資産	25,238	28,197	計 +2,958 ・有形固定資産 +3,343	純資産 合計	38,557	47,008	計 +8,451 ・配当金 △ 929 ・利益計上 +9,233
合計	73,784	86,619	+12,834	合計	73,784	86,619	+12,834
				自己資本 比率	51.3%	53.4%	

続きまして、財務状態につきましてご説明申し上げます。

9月末時点の資産合計が866億1,900万円と、期首比128億3,400万円の増となっております。こちらの主な要因といたしましては、流動資産につきまして98億7,600万円、前期末に比べて増加しているところが大きな要因となっております。この増加要因といたしましては、現預金は58億4,800万円減少しておりますが、売掛金が期首比139億5,600万円増加しているところが大きな要因となっております。

この売掛金の増加につきましては、先ほど今年度の収入でございました契約金収入がほぼ9月に計上されているところもございまして、いずれも売掛金に計上されているといった状況でございました。あとは、本年度発売開始しているイズカーゴ、ワクチンの売上に関する売掛金、この辺りが9月末時点で大きく残っているといったところで、売掛金の残高が大きくなっております。なお、こちらにつきましては、10月中にかなりの部分が解消されている状況でございます。

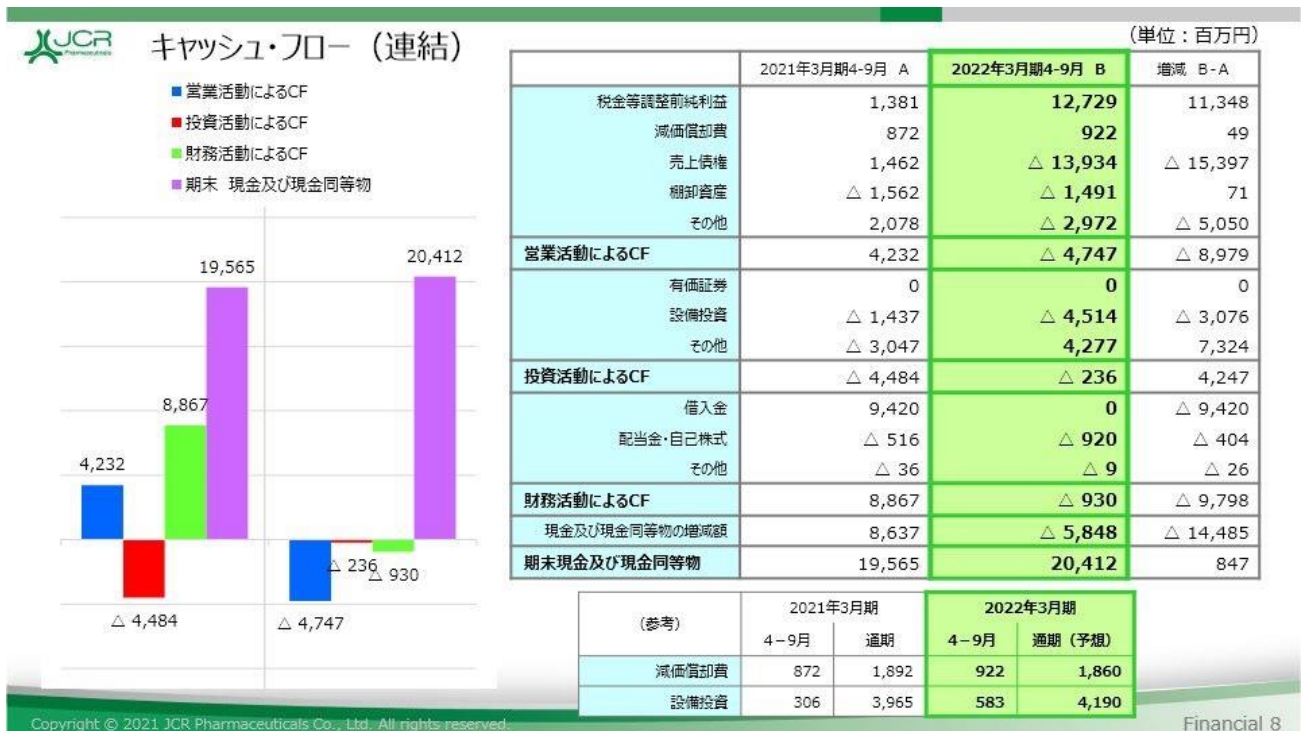
また、固定資産は29億5,800万円の増加となっております。こちらの主な内訳といたしましては、有形固定資産が33億4,300万円増加しておりますが、こちらにつきましては、現在建設中の新工場に関わる建設仮勘定が増加しているところが主な要因となっております。

一方、負債合計は、396億1,000万円と、前期末比43億8,300万円の増加となっております。こちらの主な要因は、流動負債の増加が65億5,800万円ございましたところにあります。この流動負債の増加は、圧縮未決算特別勘定が43億4,500万円増加しているところが主な要因となっております。こちらの圧縮未決算特別勘定は、新工場の建設に関しまして、現在、国から助成金をいた

だいておりますが、こちらは建設中であるといったところで、流動負債勘定に計上しているものでございます。

また、純資産合計は 470 億 800 万円と、前年期末比 84 億 5,100 万円の増となっております。こちらにつきましては、利益が 92 億 3,300 万円計上された中から配当金を 9 億 2,900 万円お支払した結果でございます。

なお、これらによりまして、自己資本比率が前期末 51.3%でございましたが、当期末では 53.4%で、2.1 ポイント改善している状況でございます。



続きまして、連結キャッシュ・フローの状況につきまして、ご説明申し上げます。先ほど、貸借対照表の箇所でご説明申し上げましたが、現預金及び現金同等物の増減額がマイナス 58 億 4,800 万円となっております。こちらの主な要因といたしましては、営業活動によるキャッシュ・フローが 47 億 4,700 万円の支出となっているところでございます。

こちらにつきましては、先ほども申し上げましたけれども、売上債権が 139 億 3,400 万円増加しているところが主な要因となっております。

投資活動によるキャッシュ・フローは 2 億 3,600 万円の支出で、前年に比べるとかなり少なくなっている状況でございます。こちらは、設備投資について助成金が入金されているところが主な要因となっております。

また、財務活動によるキャッシュ・フローは、当年度は借入金の変動がございませんので、配当金の支払が大きな変動要因になっております。

これらの結果、期末現金及び現金同等物の残高が204億1,200万円となりまして、前期末比58億4,800万円の減となっております。

なお、先ほども申し上げましたが、売掛金につきまして、10月になりまして入金がかなりございましたので、10月25日の時点では現預金の残高が、この204億円より100億円強増えているといった状況でございます。

参考といたしまして、欄外に設備投資ならびに減価償却費の数値を記載しておりますが、設備投資額につきましては、先ほど申し上げましたとおり、新工場の助成金が充当されますので、こちらの5億8,300万円の設備投資には新工場の分は含んでいない状況でございます。



以上、決算の概要につきまして、ご説明申し上げました。ありがとうございました。

- 研究開発トピックス（期間：2021年6月－2021年10月）
- ラインゾーム病 開発状況
  - JR-171
  - JR-141
  - 開発パイプライン 今後の予定
- 成長ホルモン、再生医療等製品 開発状況
  - JR-401X
  - 開発パイプライン 今後の予定

**谷澤**：開発本部の谷澤でございます。私から、研究開発の進捗についてご説明を申し上げます。

こちらが、本日の目次になっております。

## 2021

- ◆7月 16th International Symposium on MPS and Related Diseases (MPS2021) における発表  
MPS2021において、J-Brain Cargo®を適応した開発中のライソゾーム病治療薬 (JR-141、JR-171、JR-441、JR-446) について口頭発表およびポスター発表を行いました。
- ◆9月 **JR-141 武田薬品工業株式会社と、共同開発と事業化に向けた契約を締結**   
JR-141の海外の特定地域における独占的な共同開発及びライセンス契約を武田薬品と締結しました。
- ◆9月 **JR-171 FDA (米国食品医薬品局) よりファストトラック指定**   
ファストトラックとは、必要性の高い新薬の審査を優先的に行う制度であり、臨床開発の迅速化や優先審査、早期承認が期待できます。
- ◆10月 **JR-141 EMA (欧州医薬品庁) よりPRIME指定**   
PRIMEとは、アンメットメディカルニーズを満たす医薬品の開発支援を強化するためのスキームで、迅速審査の対象となる可能性があります。

R&amp;D 3

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

まず、研究開発トピックスでございますけれども、本年9月にJR-141につきまして、武田薬品工業と共同開発、ならびに事業化に向けた契約を締結いたしました。

また、同月9月には、JR-171について、FDAからファストトラックの指定を受けております。

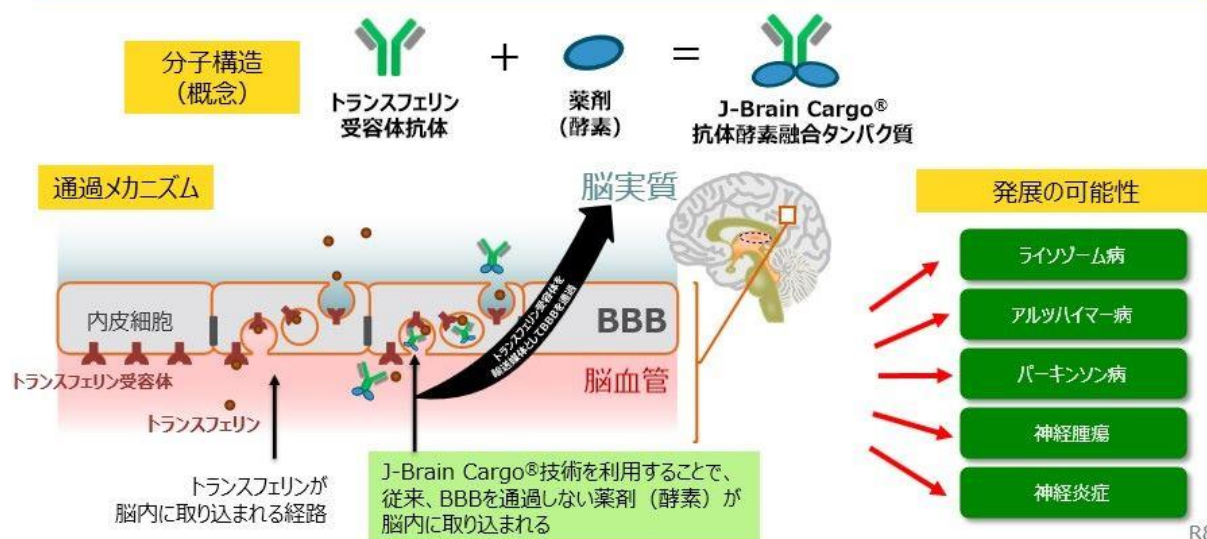
10月には、JR-141につきまして、EMAからPRIMEの指定を受けております。これは、米国におけるブレイクスルーセラピーに相当いたします。

開発番号	適応症	前臨床	臨床試験	申請	承認	備考
JR-141	ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)		製造販売承認申請 臨床第3相試験			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-171	ムコ多糖症I型 (ハーラー、ハーラー・シャイエ、 シャイエ症候群)		臨床第1/2相試験			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-162	ボンバ病		前臨床			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-441	ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリップ症候群A型)		前臨床			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-443	ムコ多糖症VII型 (スライ症候群)		前臨床			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-446	ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリップ症候群B型)		前臨床			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-401X	SHOX異常症における 低身長		臨床第3相試験			グロウジェクト® 適応拡大
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性 低身長症		臨床第2相試験			J-MIG System® 採用 持続型成長ホルモン製剤
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症		臨床第1/2相試験			テムセル®HS注 適応拡大
JTR-161/JR-161	急性期脳梗塞		臨床第1/2相試験			帝人(株)と共同開発

R&D 4

本日は、ライソゾーム病治療酵素の進捗、ならびに成長ホルモン関連の開発の進捗、また、再生医療等製品の開発状況についてご説明を申し上げます。

トランスフェリン受容体を介して血液脳関門 (BBB) を通過させ、薬剤を脳内に届ける



Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

こちらが、われわれの基幹技術であります、血液脳関門通過技術、J-Brain Cargo の概要でございます。J-Brain Cargo は、トランスフェリン受容体を介して、BBB を通過させ、薬剤を脳内に届けるという技術でございます。

こちらにお示ししておりますように、J-Brain Cargo 融合タンパク質が、トランスフェリン受容体抗体と薬剤から成り立っております、これが血液脳関門の内皮細胞上に発現しております、トランスフェリンレセプターに結合して、薬剤が脳実質に運ばれるというメカニズムになっております。

われわれは、今、この技術をライソゾーム病治療酵素に適用して開発を進めておりますけれども、将来的には他の中枢神経系症状を発する疾患に対する発展の可能性を秘めております。

われわれ、J-Brain Cargo については、長年の研究の実績がございまして、この J-Brain Cargo については、さまざまなバリエーションがございまして、この詳細に関しましては、次回、別途予定しております、R&D 説明会にて詳細をご説明の予定でございます。



## ライソゾーム病 (LSD : Lysosomal Storage Disease) とは

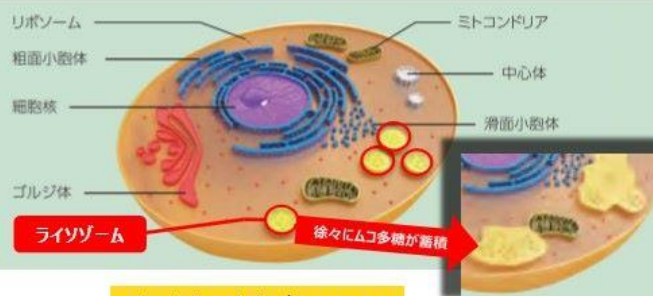
先天代謝異常症の一種。

ライソゾーム内の分解酵素の働きが弱い、または酵素がないため、本来分解されるべき老廃物が体内に蓄積してしまう希少疾病。働きの低下した酵素の種類によって蓄積する物質や症状が異なる。



こちらが、ライソゾーム病の全体像になります。ライソゾーム病は、先天代謝異常症の一種でございまして、その蓄積する物質に応じまして、このように分類がなされております。現在、JCRでは、この赤字の部分に関して取り組んでおりまして、その範囲を広げているところでございます。

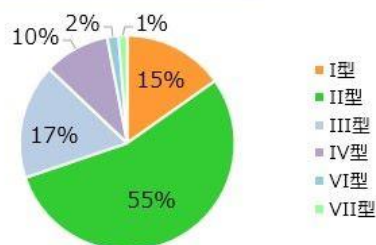
MPSとは、ライソゾーム病の中でもデルマタン硫酸 (DS) やヘパラン硫酸 (HS) などのムコ多糖が蓄積する疾患の一群。蓄積するムコ多糖によって、高度の中中枢神経障害、臓器肥大、軟部組織障害、変形性関節症や軟骨障害などを呈する。



## MPSの分類 (一部抜粋)

MPS	欠損酵素	蓄積物質
I型	α-L-イソロニダーゼ	HS, DS
II型	イゾン酸-2-スルファターゼ	HS, DS
IIIA型	ヘパランN-スルファターゼ	HS
IIIB型	α-N-アセチルグルコサミナーゼ	HS
VII型	β-グルクロニダーゼ	DS, HS

## 病型別発症頻度 (日本) \*



\*折高 忠夫ら, ムコ多糖症 UPDATE, E-N MEDIX, 第1版第1刷, 2011: 1-2, P.8

R&D 8

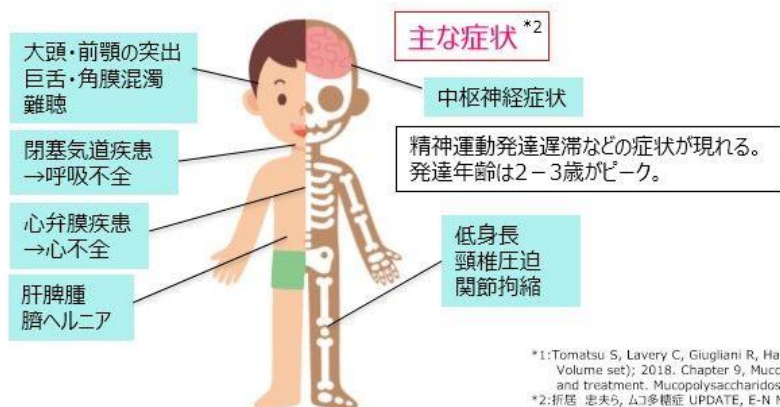
Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

最も開発が進んでおりますのは、ムコ多糖症 (MPS) の領域でございます。ムコ多糖症は、デルマタン硫酸でありますとか、ヘパラン硫酸などのムコ多糖が細胞内に蓄積する疾患になっています。

その分類としては、I型、II型、III型、IV型、VII型などの型がございます。日本ではII型が最もメジャーなタイプとなっています。その次に、疾患としてメジャーなのがMPS I型、あとはIII型となります。

MPS I型（発症割合*1）	症状*2	中枢神経症状*2	病因に対する治療法*3
ハーラー症候群（約60%）	早期発症かつ急速に症状が進行する最重症型	著しい中枢神経症状あり	造血幹細胞移植 酵素補充療法
ハーラー・シャイエ症候群（約20%）	中間型	中枢神経症状あり	
シャイエ症候群（約10%）	発症時期が遅く、病態の進行も緩徐	認知機能はほぼ正常	

※残りの約10%は表現型を定義づけられなかったため発症割合に含まれていない。



◆中枢神経症状や全身症状が患者のQOL（生活の質）を大きく低下させている

JR-171

J-Brain Cargo®を適応し、BBBを通過させることで脳内にも薬剤が届き、全身症状かつ中枢神経症状の改善が期待できる

\*1:Tomatsu S, Lavery C, Giugliani R, Harmatz P, Scarpa M, Wegrzyn G, et al. Mucopolysaccharidoses Update (2 Volume set); 2018. Chapter 9, Mucopolysaccharidosis type 1: clinical features biochemistry, diagnosis, genetics, and treatment. Mucopolysaccharidoses update; p. 143-64.  
\*2:折居 忠夫ら, ムコ多糖症 UPDATE, E-N MEDIX, 第1版第1刷, 2011: P.xii,2,102-103  
\*3:ムコ多糖症 (MPS) I 型診療ガイドライン2019; p. 9-10.

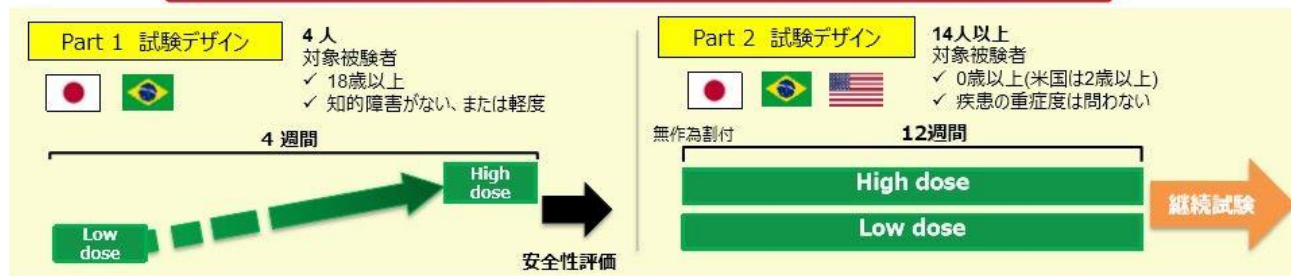
ここから、MPS I型について少しご説明を申し上げたいと思います。MPS I型は、重症度によりまして、三つの疾患名がございまして、ハーラー症候群からシャイエ症候群まで、重症から軽症までございます。

臨床症状に関しましては、他のMPSと大きくは変わらないんですけれども、心臓弁膜症でありますとか、肝脾腫でありますとか、そういった全身症状と中枢神経症状が特徴でございます。

現在、酵素治療が行われてはいるんですけれども、中枢神経症状に対する効果がないということで、現在、J-Brain Cargoを適用したJR-171の臨床開発を行っております。

グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101) : 試験概要

◆ 米国食品医薬品局 (FDA) よりファストトラック指定 (2021年9月)



	Part1	Part2
主要評価項目	安全性	
副次評価項目	血漿中薬物動態 中枢神経症状および全身症状に対する探索的有効性	
試験実施国	日本・ブラジル	日本・ブラジル・米国
試験詳細	clinicaltrials.gov (Identifier : <a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04227600">NCT04227600</a> )	

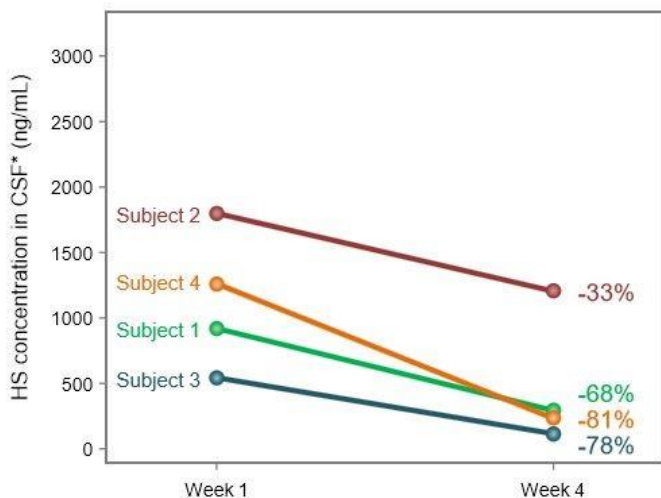
R&D 10

こちらが、グローバル第 1/2 相試験の試験概要になります。この左の部分が、安全性を確認する Part 1 の部分になっておりまして、右側が Part 2 で、ここでは二つの用法用量の検討を行っています。この二つの Part を合わせて、1/2 相試験ということで実施をいたしております。既に Part 1 は終了しておりますので、次のスライドでデータについてお示ししたいと思います。



グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101) : Part 1被験者のCSF\*中へパラン硫酸 (HS) 濃度

\*CSF: 脳脊髄液



**被験者背景 (N=4)**

- シャイ工症候群
- 知的障害なし
- 既存酵素補充療法の治療歴有
- 造血幹細胞移植の治療歴なし

**結果**

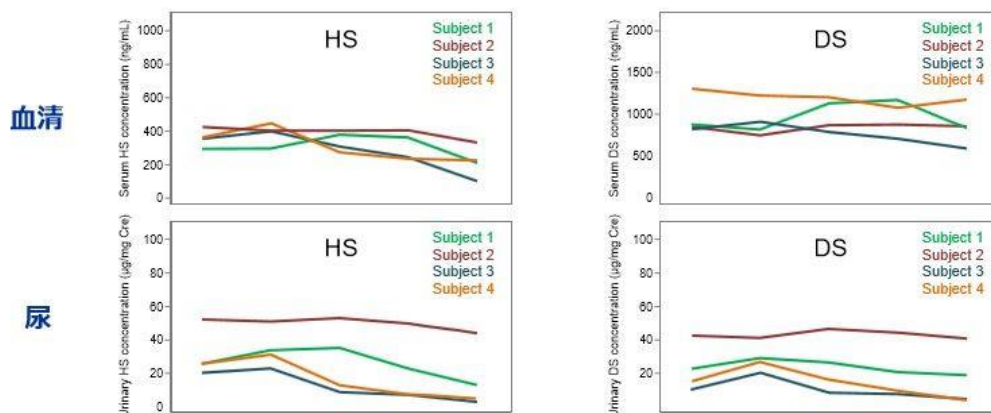
CSF中のHS濃度はすべての被験者で低下した (平均65%の低下)

R&D 11

こちらの結果は非常に重要なものでございまして、Part 1の被験者における、脳脊髄液 (CSF) 中のへパラン硫酸 (HS) の濃度を示しています。

ご覧いただけますように、全ての被験者において CSF 中の HS 濃度が減少したということが確認できました。その平均は 65%になっております。この結果は、JR-171 が中枢神経系に移行して、基質を減少させたという結果になっておりますので、この結果を受けて、開発をさらに進めていく状態になっております。

グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101) : Part1被験者の血清・尿ヘパラン硫酸/デルマタン硫酸 (HS/DS) 濃度




**結果**

投与期間中、すべての被験者でHS/DS濃度は安定していた

R&D 12

JR-171 は、もちろん中枢神経系症状に対する効果を期待しているんですけども、同時に、全身症状に対する効果も期待しております。その効果を確認するために、血清中でありますとか、尿中のバイオマーカーの推移をここで確認しております。

結論としましては、下に書いてございますとおり、投与期間中、既存の酵素から 171 に切り替え後も、全ての被験者で HS/DS (デルマタン硫酸) 濃度は安定して推移をしていました。

 グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101)**Part1 : Summary**

- すべての被験者において、CSF中のHS濃度がベースラインより低下した
- 安全性に関する懸念はなかった

**現状と今後の予定**

- 12週間のJR-171-101 Part 2を実施中
- JR-171の有効性と安全性を確認するための臨床第3相試験を計画中

R&amp;D 13

こちらが、まとめです。一番上に、CSF中のHS濃度がベースラインより低下したことが、全ての被験者で確認されました。現在、Part 2を実施しておりますことと、それが終了しましたら、グローバルの臨床第3相試験に移行する計画としております。



Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

R&D 14

ここからは、JR-141、イズカーゴの世界的な開発状況についてご説明を申し上げます。

日本に関しましては、先般から申し上げておりますとおり、本年の5月に薬価収載をいただきました。現在販売が行われておりまして。製造販売後臨床試験を実施しているところでございます。

ブラジルにつきましては、昨年の12月に申請を完了いたしまして、現在、当局でありますANVISAと折衝を続けております。また、長期投与試験も継続しておりますので、患者さんはJR-141の投与を現在も続けている状況です。

グローバルに関しましては、米国、ブラジル、イギリス、フランス、ドイツ、スペインで試験を開始することが予定されておりました。来年、2022年の早期には投与が開始される見込みとなっております。



## JR-141 臨床試験

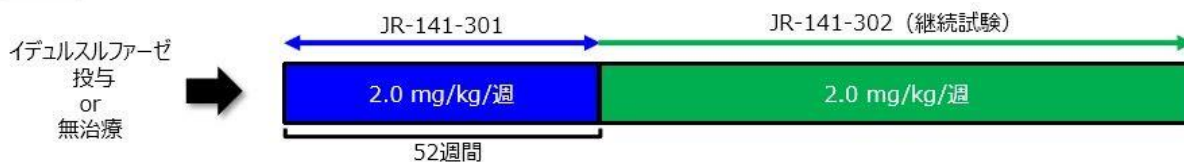
**JR-141**

イズカーゴ® (日本における製品名)

パピナフスプ アルファ (血液脳関門通過型 遺伝子組換えイソロン酸-2-スルファターゼ)



### 国内臨床第3相試験 (JR-141-301/302) : 試験概要



### ブラジル臨床第2相試験 (JR-141-BR21/BR22) : 試験概要



Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

R&D 15

こちらが、完了した試験の内容を示しております。日本では、2.0mg/kg/週を投与量としまして、長期間の投与を行いました。ブラジルでは、3用量を設定しまして、最終的には2.0mgが最も妥当であるという結論に至っております。

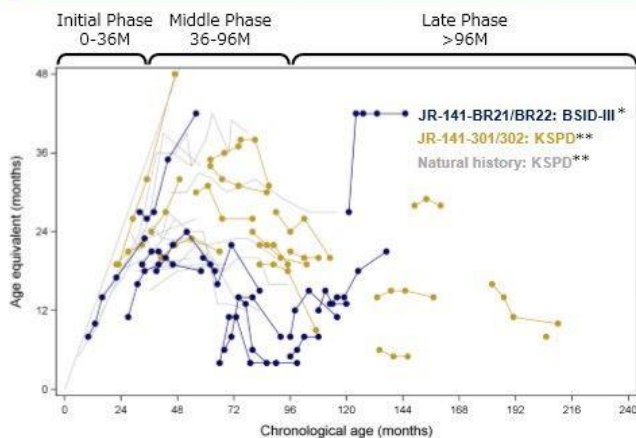


国内臨床第3相試験 (JR-141-301/302)



ブラジル臨床第2相試験 (JR-141-BR21/BR22)

重症型の発達年齢と自然歴との比較



- 乳幼児期にJR-141の治療を開始した被験者では、治験期間において長期的な改善が認められた
- 重症型MPS II型の自然歴とは対照的に、最大2年にわたり安定した発達推移を示した

\*BSID-III (The Bayley Scales of Infant and Toddler Development, Third Edition) : 1~42カ月齢の乳幼児における、認知、言語、運動、社会情動、適応行動の評価  
 \*\*KSPD (Kyoto, Scale of Psychological, Development) : 0歳~成人における、姿勢運動、認知・適応、言語・社会の3領域に分類し、年齢段階毎に配列された検査項目に対する反応を観察し評価

R&D 16

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

これらの試験から得られたデータを、こちらからご説明させていただきます。まず初めのスライドは、重症型の患者さんにおける発達年齢と自然歴の比較というデータになっています。

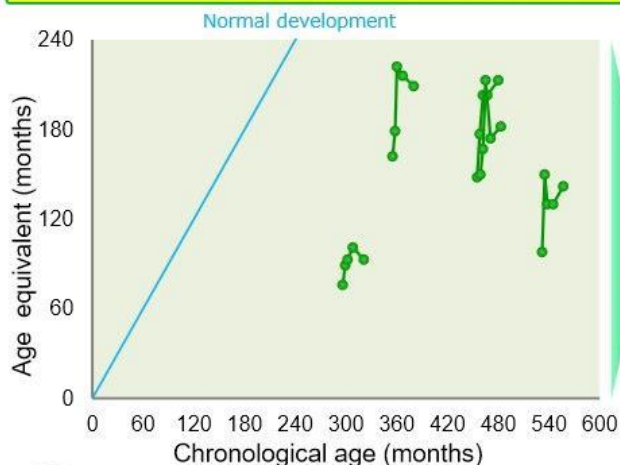
左側の表の横軸は、実際の年齢を示しております。縦軸が発達年齢を示しております。見えにくいかもしれませんが、まっすぐな線が引かれておりまして、それが正常な範囲となっています。

ここで重要なメッセージは二つございまして、1点目が、早期に治療をされた患者さんにおいては、正常に近い発達が継続しているということでございます。この点は、いかに早期に診断をして、治療を開始することが非常に重要であることを示しています。

もう1点が、8歳付近から見ていただければ分かるかと思うんですけれども、重症で8歳以上の患者さんにおきまして、治療後に発達年齢の上昇が確認をされています。このデータは、別途報告を受けておりますナラティブレポート、患者さんの行動学的改善であるとか、表情が豊かになった、言葉が増えた、といった内容とも一致している非常に重要なデータでございまして、全ての年齢層に対しましても、イズカーゴの有効性は期待できるという解釈でございまして。



軽症型被験者におけるKaufman(KABC II)\*評価



Observations and conclusions:

- 本試験に参加した軽症型被験者5例の平均発達年齢は、24か月治療期間中に約41か月上昇し、中枢神経症状の改善を示した

発達年齢におけるベースラインからの変化量

VISIT	Mean (SD)	Median [min - max]
Week 52	37.7 (15.3)	32.2 [23.4 - 54.8]
Week 104	40.9 (17.9)	44.0 [16.8 - 64.8]

\*KABC II (Kaufman Assessment Battery for Children Second Edition) : 2歳6か月から18歳までの同時、計画子どもを対象に、「認知処理能力」と「習得度」の2つから知能測定する検査。認知処理は「継次、学習」、習得度は「語録、読み、書き、算数」各集点に検査

こちらのデータも非常に重要なものでございまして、軽症型の患者さんにおける発達年齢の評価になります。これも同様に見ていただいて結構かと思うんですけども、大体 25 歳から 40 歳ぐらいの軽症型の患者さんにおける治療の後の発達年齢の変化を示しています。

ご覧いただけますように、投与開始時点では、正常範囲よりは低い数値が認められておりまして、その治療の後に、発達年齢が大幅に上昇していることがご覧いただけるかと思えます。

具体的に申しますと、52 週の段階で、37 カ月の発達年齢の増加が認められたという結果でございます。このことは、軽症型と呼ばれている患者さんにおきましても、中枢神経症状が認められるということと、それが治療によって改善するという結果かと思えます。

**叙述による評価**

**日本 (JR-141-301)**
**言語**

- 重症型の被験者において、18名中12名が言語の改善を示した
- 単語数の増加、会話の数の増加、歌を歌うなどの変化が見られた

**活気/表現力**

- 18名中11名において、活気や表現力の改善が見られた
- 活動性の向上、豊かな表情の変化などが見られた


**ブラジル (JR-141-BR21/BR22)**
**一般的な変化**

- 全般的に、言語、運動機能、活気や表現力の改善が見られた
- 言語や運動機能に顕著な改善が見られない被験者でも、活気や表現力に前向きな変化が見られた

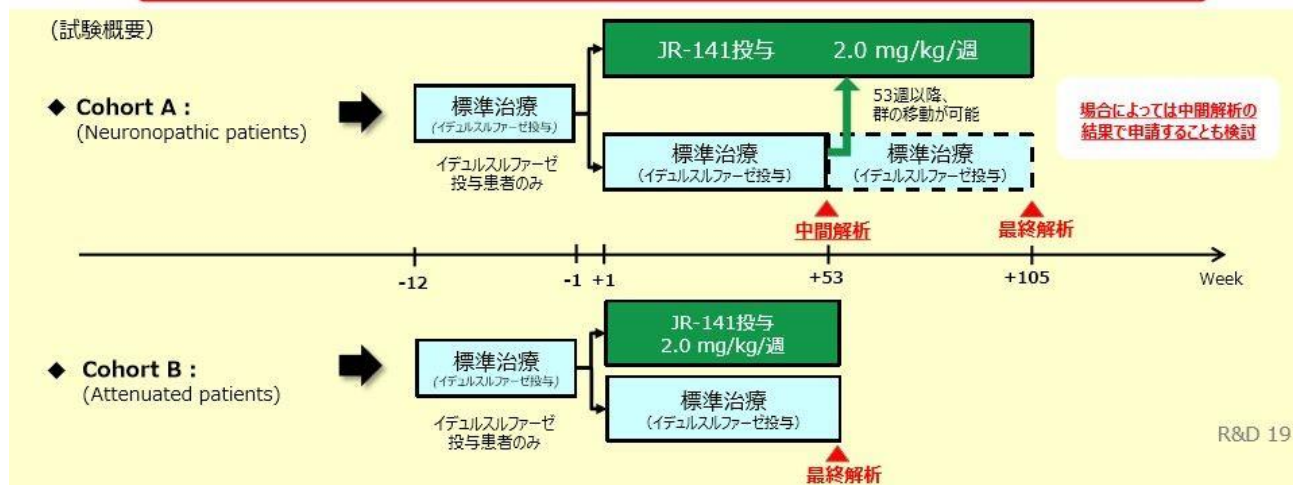
R&amp;D 18

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

先ほども述べましたが、多くの叙述による評価がなされております。日本、ブラジル同様の結果でございますけれども、言語面では、重症型の被験者において、18名中12名が言語の改善を示したということでございます。また、会話が増加したり、歌を歌うなどの変化も見られております。また、活気、表現力におきましては、18名中11名において、改善が認められています。

ブラジルでも同様ですけれども、こちらに加えまして、例えばよく眠れるようになったとか、落ち着きが増したというような報告もございました。

◆ 欧州医薬品庁 (EMA) よりPRIMEの指定 (2021年10月)



こちらが、今後予定しております、グローバル臨床第3相試験のデザインになります。特徴としましては、Cohort AとCohort Bの二つのCohortが設定されています。Cohort Aは、神経症状を呈する患者さんのリクルート。Cohort Bに関しては、軽症型の患者さんのリクルートとなります。

Cohort Aは、2年間の試験を予定しております。Cohort Bは1年間でございます。対象群と比較して、中枢神経症状と全身症状の有効性について検討を行っていく予定としております。

	2021年	2022年	2023年	2024年
<b>JR-141</b> pabinafusp alfa (ムコ多糖症II型)	ブラジル：製造販売承認申請済み グローバル：臨床第3相試験開始			・先駆け審査指定制度 (日本) ・オーファンドラッグ (日本) ・オーファンドラッグ (米国) ・ファストトラック (米国) ・オーファンドラッグ (欧州) ・PRIME (欧州)
<b>JR-171</b> (ムコ多糖症I型)	グローバル：臨床第1/2相試験 (実施中)		臨床第3相試験開始	・オーファンドラッグ (米国) ・ファストトラック (米国) ・オーファンドラッグ (欧州)
<b>JR-441</b> (ムコ多糖症IIIA型)	非臨床試験 (実施中)		臨床第1/2相試験開始	
<b>JR-162</b> (ボンバ病)	非臨床試験 (実施中)		臨床第1/2相試験開始	
<b>JR-443</b> (ムコ多糖症VII型)	非臨床試験 (実施中)		臨床第1/2相試験開始	
<b>JR-446</b> (ムコ多糖症IIIB型)	非臨床試験 (実施中)		臨床第1/2相試験開始	

R&D 20

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

これまでご説明申し上げましたとおり、JR-141、JR-171 に関しましては、臨床試験が進んでおります。来年には JR-441、ムコ多糖症 IIIA 型に対する酵素製剤ですけれども、臨床第 1/2 相試験開始を予定しております。その他、三つの疾患に関しましても、2023 年には試験を開始するべく準備を進めております。



## 開発ステージ（JCRが取り組む17のライソゾーム病治療薬）

★ : 18th Annual WORLDSymposium™2022で発表予定 □ : 2021年5月から開発ステージの進捗があったプロジェクト

	既存薬あり (Worldwide)	既存薬なし (Worldwide)
製造販売承認申請	JR-141 ムコ多糖症II型 ブラジル (ハンター症候群) ★	
臨床試験	JR-171 ムコ多糖症I型 グローバル (ハーラー症候群 等) ★ JR-141 ムコ多糖症II型 グローバル (ハンター症候群)	
前臨床	JR-162 ポンペ病	JR-441 ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリッポ症候群A型) ★ JR-446 ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリッポ症候群B型)
製法検討	JR-443 ムコ多糖症VII型 (スライ症候群)	フコシドーシス クラッペ病 バッテン病 乳児型 (CLN1) テイ・サックス病
動物モデルでの薬効確認	ニーマンピック病 ゴーシェ病 バッテン病 遅発乳児型 (CLN2)	GM1ガングリオシドーシス α-マンノシドーシス 異染性白質 シストロフィー
基礎研究		ガラクトシアリドーシス

R&D 21

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

現在、JCRでは、17のライソゾーム病治療薬について研究開発を進めておりました、特に強調、申し上げたいのは、この右側の既存治療薬がない疾患ということになります。ムコ多糖症IIIA型、B型、フコシドーシス、クラッペ病、バッテン病、テイ・サックス病など、この疾患に関しましては、現在治療法がない状態と認識をしております。ですので、一日も早く臨床試験をスタートしてということで、全社一丸となって取り組んでいるところでございます。

**JR-401X** グロウジェクト®効能追加：SHOX異常症における低身長

- ◆ SHOX異常症とは、性染色体上に存在する成長遺伝子SHOX（Short stature homeobox containing gene）の機能喪失を招く微細欠失・重複や変異等により生じる先天性疾患
- ◆ 国内における潜在的な患者数は、450～500人／年と予想されるが、遺伝子診断が必要であること、診断されても国内では治療法がないことから、臨床現場で診断されている患者数は極めて少ない

遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン製剤

**グロウジェクト®**



効能・効果（2021年11月現在）

- 成長ホルモン分泌不全性低身長症
- ターナー症候群における低身長
- 成人成長ホルモン分泌不全症（重症に限る）
- SGA性低身長症

R&D 23

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

それでは、ここから、成長ホルモン、再生医療等製品の開発状況についてご説明を申し上げます。

まず、最初のプロジェクトは、グロウジェクトの効能追加、SHOX 異常症における低身長でございます。成長遺伝子、SHOX は、成長に関わっている遺伝子でございます。この機能喪失によりますと、低身長が認められるという疾患でございます。

**JR-401X** グロウシエト®効能追加：SHOX異常症における低身長

JR-401X-301試験：デザイン（JAPIC試験ID：JapicCTI-183946）



有効性に関する評価項目

- 主要評価項目
  - ✓  $\Delta$  暦年齢相当身長 SDS (試験開始後12ヵ月間)
- 副次評価項目
 

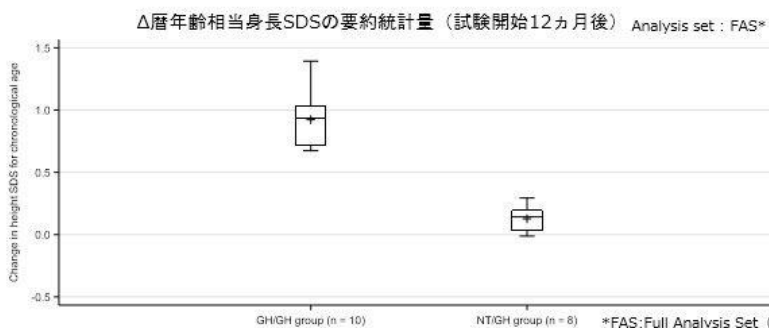
✓ 暦年齢相当身長 SDS	✓ 骨年齢	✓ 骨年齢相当身長 SDS
✓ 暦年齢相当成長速度 SDS	✓ $\Delta$ 骨年齢	✓ $\Delta$ 骨年齢相当身長 SDS
✓ $\Delta$ 暦年齢相当成長速度 SDS	✓ $\Delta$ 骨年齢 / $\Delta$ 暦年齢	✓ 血清中 IGF-I SDS
✓ 成長速度		

われわれは現在、301 試験、第3相試験を実施しておりまして、これが試験デザインになります。最初の1年間は、治療群と無治療群の比較を行いまして、無治療群の方も12ヵ月後以降は、成長ホルモンの治療を行うというデザインになります。この中で、身長の伸びを対象群と比較を行いました。

**JR-401X** グロウジェット®効能追加：SHOX異常症における低身長

		GH/GH group N=10	NT/GH group N=9	Difference
暦年齢相当身長SDSの変化 Change in height SDS for chronological age	N	10	8	
	mean(SD)	0.932(0.213)	0.127(0.105)	0.796(0.174)
	median	0.935	0.142	p<0.001
	[min-max]	[0.67 - 1.39]	[-0.01 - 0.29]	
	95%CI	0.771 - 1.075	0.040 - 0.215	0.621 - 0.971

CI : confidence interval, SD : standard deviation



主要評価項目及び主な副次評価項目にて、グロウジェット®投与群と無治療群との間に統計学的に有意な差が認められた

R&D 25

結論としましては、主要評価項目が達成されましたというご報告になります。主要評価項目は、△暦年齢相当身長 SDS を用いておりまして、左側が治療群、右側が無治療群となります。右側の無治療群は、1年間治療（経過）しましたがけれども、ほぼゼロに近いというか、改善が認められなかったのに対して、治療群に関しましては、0.9SD 以上の改善が認められたということで、非常に明確な、統計的な有意差が認められております。



## 開発パイプライン（成長ホルモン領域、細胞治療・再生医療等製品）

### 今後の想定タイムライン（成長ホルモン領域）



### 今後の想定タイムライン（細胞治療・再生医療等製品）



Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

現在、成長ホルモン関連のプロジェクトにつきましては、ロングアクティングの成長ホルモンであります、JR-142 が、第2相試験を実施しております。こちらに関しましては、多くの先生方のご協力のもとで、現在も実施をされております。

SHOX 異常症に関しましては、先ほどお示したデータを中心に、来年申請を行っていきたくと予定しています。

再生医療等製品に関しましては、JTR-161 に関しましては、引き続き帝人ファーマさんと連携をしながら開発を進めていきます。

また、JR-031HIE、新生児低酸素性虚血性脳症という治療対象ですけれども、こちらに関しては、現在、第1/2相試験を継続しているところでございます。

私からの報告は以上です。

[了]

#### 脚注

1. 音声不明瞭な箇所に付いては[音声不明瞭]と記載

## 免責事項

本資料で提供されるコンテンツの信憑性、正確性、完全性、最新性、網羅性、適時性等について、当社は一切の瑕疵担保責任及び保証責任を負いません。さらに、利用者が当社から直接又は間接に本サービスに関する情報を得た場合であっても、当社は利用者に対し本規約において規定されている内容を超えて如何なる保証も行うものではありません。

本資料または当社及びデータソース先の商標、商号は、当社との個別の書面契約なしでは、いかなる投資商品（価格、リターン、パフォーマンスが、本サービスに基づいている、または連動している投資商品、例えば金融派生商品、仕組商品、投資信託、投資資産等）の情報配信・取引・販売促進・広告宣伝に関連して使用してはなりません。

本資料を通じて利用者に提供された情報は、投資に関するアドバイスまたは証券売買の勧誘を目的としておりません。本資料を利用した利用者による一切の行為は、すべて会員自身の責任で行っていただきます。かかる利用及び行為の結果についても、利用者自身が責任を負うものとします。

本資料に関連して利用者が被った損害、損失、費用、並びに、本資料の提供の中断、停止、利用不能、変更及び当社による本規約に基づく利用者の情報の削除、利用者の登録の取消し等に関連して会員が被った損害、損失、費用につき、当社及びデータソース先は賠償又は補償する責任を一切負わないものとします。なお、本項における「損害、損失、費用」には、直接的損害及び通常損害のみならず、逸失利益、事業機会の喪失、データの喪失、事業の中断、その他間接的、特別的、派生的若しくは付随的損害の全てを意味します。

本資料に含まれる全ての著作権等の知的財産権は、特に明示された場合を除いて、当社に帰属します。また、本資料において特に明示された場合を除いて、事前の同意なく、これら著作物等の全部又は一部について、複製、送信、表示、実施、配布（有料・無料を問いません）、ライセンスの付与、変更、事後の使用を目的としての保存、その他の使用をすることはできません。

本資料のコンテンツは、当社によって編集されている可能性があります。