

2022年3月期 決算説明会 —事業報告—

2022年5月12日

JCRファーマ株式会社

【証券コード】4552

【問合せ先】管理本部 広報・IR室 北村（TEL 0797-32-1995）





- R&D ハイライト
- R&D 進捗報告
- ワクチン原液製造事業

- 中計「変革」 中間総括

2021年

- ◆ 9月 **JR-141** (pabinafusp alfa) 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  × 
- ◆ 10月 **JR-141** (pabinafusp alfa) 欧州医薬品庁より**PRIME**指定 

2022年

- ◆ 1月 **JR-441** 欧州委員会より**オーファンドラッグ**指定 
- ◆ 2月 WORLDSymposium2022において
イズカーゴ®点滴静注用10mg **New Treatment Award**を受賞
- ◆ 2月 **JR-141** (pabinafusp alfa) **グローバル臨床第III相試験における投与開始** 
- ◆ 3月 **JR-479** (血液脳関門通過型GM2ガングリオシドーシス治療薬) **開発着手**
- ◆ 3月 武田薬品工業株式会社と、ライソゾーム病に対する**J-Brain Cargo®**技術を用いた**遺伝子治療**に関する共同研究開発および**ライセンス契約**締結  × 
- ◆ 3月 R&Dミーティング開催 (機関投資家・アナリスト向け)
- ◆ 4月 JTR-161 (ヒト歯髄由来幹細胞) 帝人株式会社との共同開発を終了 (対象疾患：急性期脳梗塞)



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)		承認			<ul style="list-style-type: none"> J-Brain Cargo® 適用 2025年度以降、米国・欧州での承認予定
			製造販売承認申請			
			臨床第3相試験			
JR-171	ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群 等)		臨床第1/2相試験			<ul style="list-style-type: none"> J-Brain Cargo® 適用 2023年度 Ph3試験
JR-162	ポンペ病		前臨床			<ul style="list-style-type: none"> J-Brain Cargo® 適用
JR-441	ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリップ症候群A型)		前臨床			<ul style="list-style-type: none"> J-Brain Cargo® 適用 2023年度 Ph1/2試験
JR-443	ムコ多糖症VII型 (スライ症候群)		前臨床			<ul style="list-style-type: none"> J-Brain Cargo® 適用
JR-446	ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリップ症候群B型)		前臨床			<ul style="list-style-type: none"> J-Brain Cargo® 適用 2023年度 Ph1/2試験
JR-479	GM2ガングリオシドーシス (サンドホフ病、テイ・サックス病)		前臨床			<ul style="list-style-type: none"> J-Brain Cargo® 適用 ~2025年度 Ph1試験
JR-401X	SHOX異常症における低身長		臨床第3相試験			<ul style="list-style-type: none"> グロウジクト® 適応拡大 2023年度 日本での承認予定
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			<ul style="list-style-type: none"> 持続型成長ホルモン製剤 2023年度 Ph3試験
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症		臨床第1/2相試験			<ul style="list-style-type: none"> テムセル®HS注 適応拡大

JR-141

イズカーゴ® (日本における製品名)

pabinafusp alfa (血液脳関門通過型 遺伝子組換えイズロン酸-2-スルファターゼ)



×



- ◆ 2021年9月：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
- ◆ 2021年10月：欧州医薬品庁よりPRIME指定
- ◆ 2022年2月：投与開始
- ◆ コホートAの被験者数を30名→60名に変更

(試験概要)

◆ Cohort A :
(Neuronopathic patients)

N=30→60



標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)

JR-141投与 2.0 mg/kg/週

標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)

標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)

53週以降、条件を満たせば
群の移動が可能

中間解析の結果で
申請することも検討

最終解析

◆ Cohort B :
(Attenuated patients)

N=20

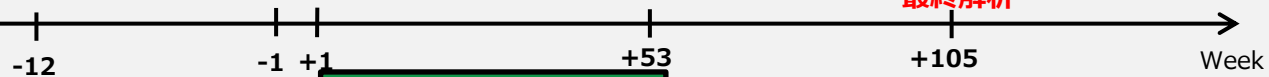


標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)

JR-141投与
2.0 mg/kg/週

標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)

解析



グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101) : 試験概要

◆ 2022年3月 : 患者組み入れを予定通り完了 (Part2試験)

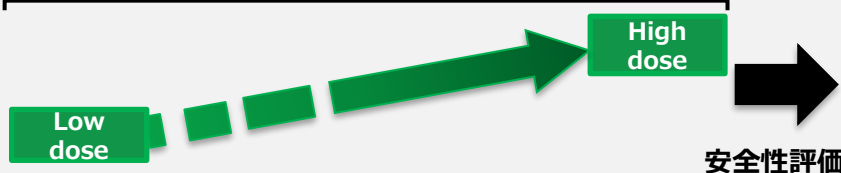
Part 1 試験デザイン

N=4

- ✓ 18歳以上
- ✓ 知的障害がない、または軽度



4週間



Part 2 試験デザイン

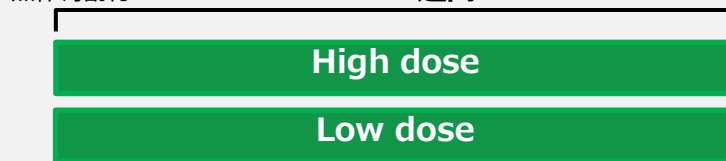
N=14以上

- ✓ 0歳以上(米国は2歳以上)
- ✓ 疾患の重症度は問わない



無作為割付

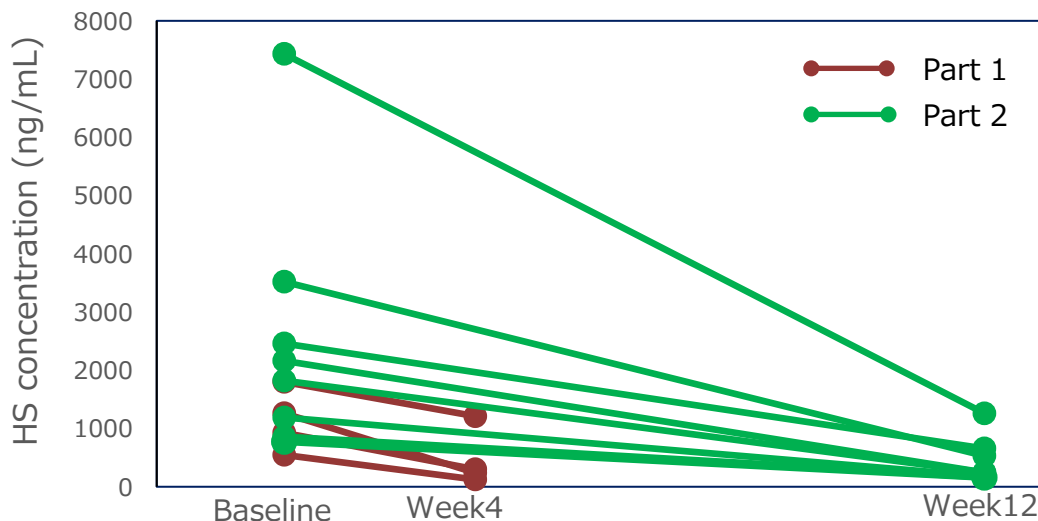
12週間



	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 : NCT04227600	

グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101)

Change in CSF Heparan sulfate (HS) Concentrations as surrogate for substrate reduction in the CNS



全被験者でCSF中のHSが減少した

CSF : 脳脊髄液
HS : ヘパラン硫酸

適応症：

GM2ガングリオシドーシス

- └ テイ・サックス病：β-ヘキソサミニダーゼA の αサブユニットの欠損によって発症
- └ サンドホフ病：β-ヘキソサミニダーゼA の βサブユニットの欠損によって発症

発症率*：

テイ・サックス病:1/100,000～300,000出生 サンドホフ病:テイ・サックス病より少ないと言われる

*当社調べ

疾患概要：

ライソゾーム病の一種で、糖脂質であるGM2ガングリオシドを体内で分解する酵素（β-ヘキソサミニダーゼA）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。脳を中心に原因基質が蓄積するため、進行性の中樞神経症状を呈する。テイ・サックス病とサンドホフ病は臨床症状で区別することは困難。

病型	発症年齢	臨床症状
乳児型（古典型）	3～5カ月	<ul style="list-style-type: none"> • 精神運動発達遅滞、退行、視覚障害、聴覚障害、けいれん 等 • 3歳までに死亡することが多い
若年型（垂急型）	2～10歳	<ul style="list-style-type: none"> • 乳児型に類似するが、やや軽度。進行性の運動失調、退行、けいれん 等 • 5～15歳で死亡することが多い
成人型（遅発型）	20～30歳前半	<ul style="list-style-type: none"> • 知的障害は軽度だが、運動失調、進行性の神経症状が特徴的

**動物試験において、脳実質、脳脊髄液などにおける原因基質の減少作用を確認
3年以内の臨床試験開始を目指す**

承認	<div style="display: flex; justify-content: space-around;"> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> JR-141 日本 ムコ多糖症II型 (ハンター症候群) </div> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> アガルシダーゼ ヘータBS 点滴静注「JCR」 </div> </div>	
製造販売承認申請	<div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0; width: 100%;"> JR-141 ブラジル ムコ多糖症II型 (ハンター症候群) </div>	
臨床試験	<div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> JR-141 グローバル ムコ多糖症II型 (ハンター症候群) </div>	<div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> JR-171 グローバル ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群 等) </div>
前臨床	<div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> JR-162 ポンベ病 </div>	<div style="display: flex; justify-content: space-around;"> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> JR-441 ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリッポ症候群A型) </div> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> JR-446 ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリッポ症候群B型) </div> </div>
製法検討	<div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> JR-443 ムコ多糖症VII型 (スライ症候群) </div>	<div style="display: flex; justify-content: space-around;"> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> JR-479 GM2ガングリオシドーシス クラッペ病 </div> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> フコシドーシス バッテン病 乳児型 (CLN1) </div> </div>
動物モデルの薬効確認	<div style="display: flex; justify-content: space-around;"> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> ニーマンピック病 ゴーシエ病 </div> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> バッテン病 遅発乳児型 (CLN2) α-マンノシドーシス </div> </div>	<div style="display: flex; justify-content: space-around;"> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> GM1ガングリオシドーシス </div> <div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0;"> 異染性白質 ジストロフィー </div> </div>
基礎研究	<div style="border: 1px solid green; padding: 5px; background-color: #e0ffe0; width: 100%;"> ガラクトシアリドーシス </div>	
	既存薬あり (worldwide)	
	既存薬なし (worldwide)	

➤ 2022年3月28日：武田薬品工業株式会社と、ライソゾーム病に対するJ-Brain Cargo[®]技術を用いた遺伝子治療に関する共同研究開発およびライセンス契約締結

– 優先疾患：ライソゾーム病

– 追加オプション：希少疾病もしくは非希少疾病領域における疾患



J-Brain Cargo[®]技術

バイオ技術
モノづくり力



遺伝子治療技術

バイオ技術
グローバル研究開発力
グローバル事業化力

当社の強みを維持したまま、時代を一新しうる
J-Brain Cargo[®]開発品目の研究開発に注力

- **予定していた製造（2020年12月30日契約分）を年度内にすべて完了**
 - ・出荷分に応じた売上高を計上（一部、2022年度に計上予定）
 - ・ロットアウト無し、高品質製造を達成。生産分野での強みを発揮
- **厚生労働省令和2年度ワクチン生産体制緊急整備等事業として、神戸サイエンスパーク内に新工場を建設中**
 - ・竣工：2022年10月予定



神戸サイエンスパーク新工場 完成イメージ

- R&D ハイライト
- R&D 進捗報告
- ワクチン原液製造事業

- 中計「変革」 中間総括

➤ 複数の開発品目における本格的なグローバル展開を見据え、6つの重要経営課題を設定

変革

REVOLUTION
into the Future

最重要経営課題

希少疾病領域におけるJCRの重要性がさらに高まることを踏まえた

[1] 品質保証体制の質・量的拡充

さらに、2020年代後半からの業容の急拡大期を見据えて、以下の項目を重要経営課題として取り組みを加速する。

[2] 今後数年間の収益基盤強化に向けた 既存製品の持続的成長のための取り組み

[3] ライソゾーム病領域の次を見据えた 基礎研究・応用研究の拡充

[4] 本格的なグローバル化を見据えた 生産・研究への積極的な設備投資の検討・着手

[5] 将来におけるライソゾーム病治療薬の事業価値最大化のための エビデンス構築を含む製品戦略の立案

[6] 本格的なグローバル化以降の業容拡大を見据えた 業務および組織構造改革・人財育成

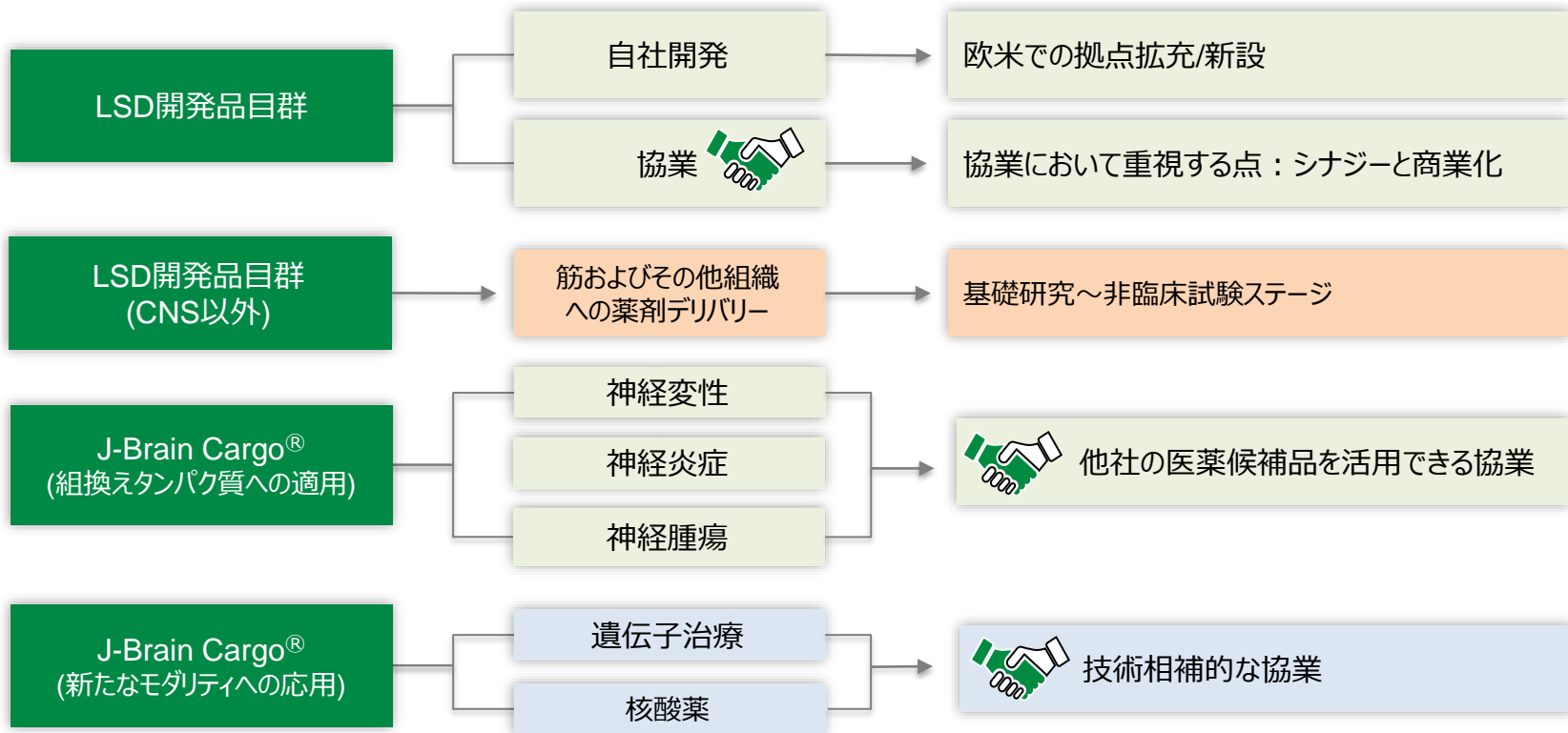
<p>品質保証体制の 質・量的拡充</p>	<p>研究から商業生産までの品質保証体制の更新 － アナリティカルR&Dセンター新設、品質試験棟着工（2022年度竣工予定）</p>
<p>既存製品の持続的成長 のための取り組み</p>	<p>グロウジェクト基盤強化－ 電動デバイス用スマートフォンアプリ、新デバイスの開発 イズカーゴ[®]の計画を上回る市場浸透</p>
<p>基礎研究・ 応用研究の拡充</p>	<p>ライソゾーム病開発品目の順調な進捗 多様なモダリティへの展開－ J-Brain Cargo[®]を基盤とした創薬応用（核酸・遺伝子・細胞治療等）</p>
<p>生産・研究への積極的な 設備投資の検討・着手</p>	<p>複数品目の同時並行開発を可能にする原薬・製剤製造キャパシティの拡充 － 新工場の建設用地取得と着工（47,000m²）</p>
<p>エビデンス構築を含む 製品戦略の立案</p>	<p>イズカーゴ[®]の長期臨床データの取得、ライソゾーム病専任組織の設置</p>
<p>業務および組織構造改革 ・人財育成</p>	<p>機能・効率的な組織の再編、グローバルに活躍できる次世代リーダー育成、 生産性向上と働き方改革実現に向けたITインフラの拡充</p>

- **2020年度**：アストラゼネカ社のワクチン原液製造受託およびその他のライセンス事業の進捗により、売上高301億円、営業利益82.6億円を達成
- **2021年度**：イズカーゴ®の国内上市、ライセンス事業の大幅進捗、ワクチン事業が大きく寄与し、売上高510億円、営業利益199億円を達成

	2019年度実績	「変革」1年目 2020年度実績	「変革」2年目 2021年度実績	「変革」最終年度 2022年度予想	策定時ガイダンス (最終年度目標)
売上高	247億円	301億円	510億円	450億円	320~360億円
営業利益	32億円	82.6億円	199億円	145億円	70~100億円
研究開発費率 (対売上高)	24.2%	17.82%	14.0%	20.0%	20%目安
配当性向	36.8%	21.5%	18.8%	23.6%	30%目安*

*安定配当を基本方針とし、期待に応える株主還元と財務の健全性のバランスを重視

他社との協業により、当社の成長と新たな機会が生まれる



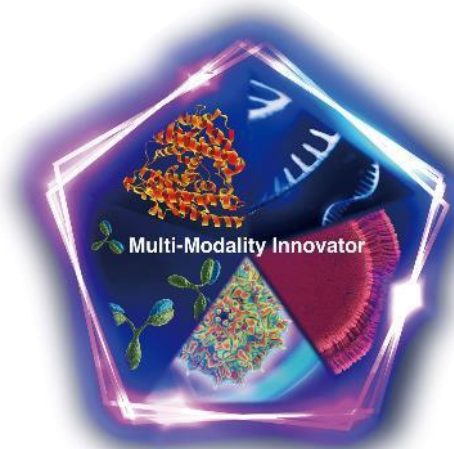
他社との協業により、当社の成長と新たな機会が生まれる



適応症	ステータス	患者数 ^{※1}		想定市場規模 ^{※2}	
		日本	世界	日本（2019年）	世界（2019年）
ムコ多糖症II型（ハンター症候群）	Ph III	約250名	約7,800名	約76億円	約870億円
ムコ多糖症I型（ハーラー症候群 等）	Ph I/II	約60名	約3,600名	TBD	約700億円
ムコ多糖症III A型（サンフィリップ症候群A型）	FY2023～ Ph I	約30名 (AB総数)	約4,000名	TBD	>700億円
ムコ多糖症III B型（サンフィリップ症候群B型）	FY2023～ Ph I		約1,800名		
ムコ多糖症VII型（スライ症候群）	TBD	数名程度	約200名	TBD	約98億円
GM2ガングリオシドーシス	～FY2025 Ph I	約30名	TBD	TBD	TBD
ポンペ病	TBD	約80名	約10,000名	約30億円	約1,100億円

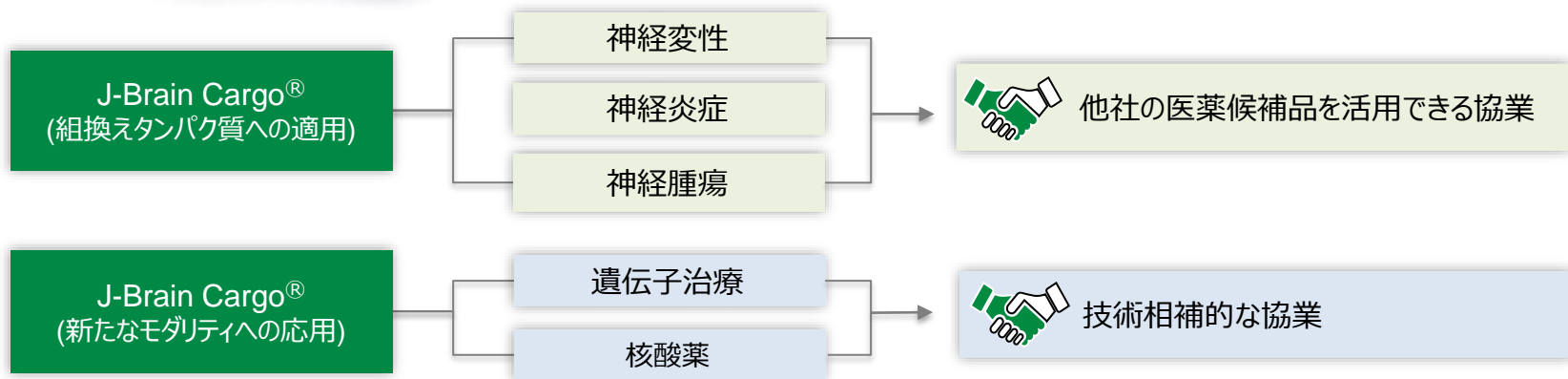
※1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報を元にJCRで算出

※2 市場規模：JCR調べ



J-Brain Cargo®技術の展開により

多様な疾病領域に貢献する
マルチモダリティイノベーターへ



目指すべき姿

RD・E・S・Gを基盤とする事業活動を通じたサステナビリティの実現



Rare Disease

- ・ アンメットメディカルニーズへの挑戦と、研究開発の加速
- ・ 社内・社外における認知度向上に向けた取り組み



Environment

- ・ TCFD提言に沿った情報開示
- ・ 建設中新工場における環境保全に向けた取り組み



Society

- ・ 「男女の区分なく」、子育てと仕事が両立しやすい職場環境
- ・ 人財育成のための研修制度の充実化



Corporate Governance

- ・ プライム市場企業としてのガバナンス体制の構築
- ・ 取締役会の実効性向上

医薬事業を通じた貢献

「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



FTSE Blossom
Japan Sector
Relative Index

2022年3月31日、FTSE Blossom Japan Sector Relative Index構成銘柄に選定

グローバルインデックスプロバイダーであるFTSE Russellにより構築されたFTSE Blossom Japan Sector Relative Indexは、各セクターにおいて相対的に、環境、社会、ガバナンス(ESG)の対応に優れた日本企業のパフォーマンスを反映するインデックスで、セクター・ニュートラルとなるよう設計されています。また低炭素経済への移行を促進するため、特に温室効果ガス排出量の多い企業については、TPI経営品質スコアにより改善の取り組みが評価される企業のみを組み入れています。

最終年度、それ以降の新たな目標と課題

- ▶ グローバル開発の経験と知識を最大限に活用し、製品価値の最大化を図る
- ▶ J-Brain Cargo[®]技術の価値最大化ができるパートナーとの提携により新たな経営基盤を確立させる
- ▶ 2021年度に得られた収益から、将来を見越した投資を実施することで持続的な成長を実現する
- ▶ 「チームJCR」の企業文化を発展させ、中長期的な企業像にあった適正な人員規模、組織体制への転換と、人財育成・確保に取り組む



– REVOLUTION into the Future –

注意事項

本資料中の開発見通し等の将来に関する記述は、当社が現在得ている情報をもとになされた当社の判断に基づくものであり、既知あるいは未知のリスクや不確実な要素を含んでいます。実際の結果は、様々な要因によりこれら将来に関する記述内容とは大きく異なる可能性があることをご承知ください。そのような要因の例としては、経済情勢の悪化、法律・行政制度の変化、新製品上市の遅延、競合会社の価格・製品戦略による圧力、当社製品の販売力の低下、生産中断、当社の知的財産権に対する侵害、重大な訴訟における不利な判決等がありますが、これらに限定されるものではありません。

本資料は医薬品（開発中の物を含む）に関する情報が含まれておりますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。また、当社の会社説明・事業説明に関する情報の提供を目的としたものであり、当社が発行する有価証券の投資を勧誘することを目的としたものではありません。

注意事項

本資料に掲載した臨床開発のデータは、今後の結果を保証するものではなく、また、開発中の製品の効能・効果を保証するものではありません。

本資料は、開発中の製品の効能・効果を保証・宣伝・広告するものではありません。

本資料に掲載した臨床開発のデータは、現時点で学会発表ならびに査読のある学術誌に公表されていないものが含まれております。今後、公表するように努めます。

フェア・ディスクロージャー・ルールにのっとり、本資料に掲載した以外のデータは、質疑応答においても公表いたしません。ご理解いただきますようお願いいたします。

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の状況によっては今後、臨床試験の進捗に影響がでる可能性があることをご承知ください。

Appendix

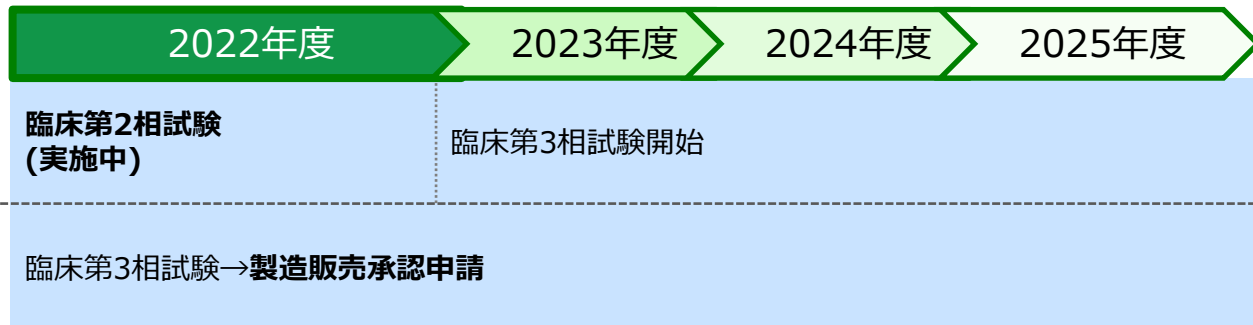
開発パイプライン（ライソゾーム病） 今後の想定タイムライン

*すべて現時点での予定

	2022年度	2023年度	2024年度	2025年度
JR-141 pabinafusp alfa (Δ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（実施中）			<ul style="list-style-type: none"> 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）
JR-171 lepunafusp alfa (Δ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		<ul style="list-style-type: none"> 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）
JR-441 (Δコ多糖症IIIA型)		臨床第1/2相試験開始※ ※計画の一部見直しにより2023年度早期の開始見込み		<ul style="list-style-type: none"> オーファンドラッグ（欧州）
JR-162 (ポンペ病)	非臨床試験（実施中）			
JR-443 (Δコ多糖症VII型)	非臨床試験（実施中）			
JR-446 (Δコ多糖症IIIB型)	非臨床試験（実施中）	臨床第1/2相試験開始		
JR-479 (GM2ガングリオシドーシス)	非臨床試験（実施中）		臨床第1/2相試験開始	

今後の想定タイムライン（成長ホルモン領域）

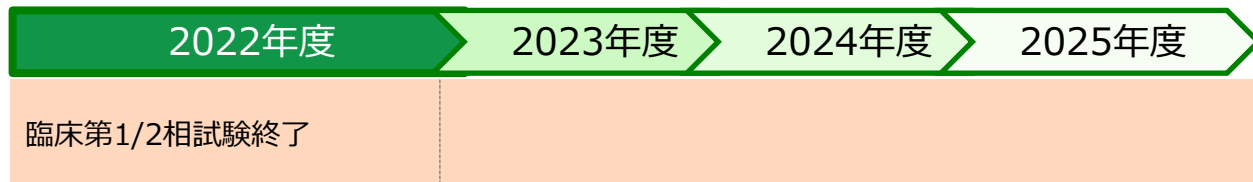
*すべて現時点での予定



*持続型成長ホルモン製剤

今後の想定タイムライン（細胞治療・再生医療等製品）

*すべて現時点での予定



開発パイプライン (ライソゾーム病)

JR-141

pabinafusp alfa 血液脳関門通過型 遺伝子組換えアイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症 :	ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)
患者数*1 :	約250人 (日本)、約7,800人 (WW)
想定市場規模*2 :	約76億円 (2019年/日本)、約870億円 (2019年/WW)
疾患概要 :	ムコ多糖を体内で分解する酵素 (Iduronate-2-sulfatase) の欠損により発症するX染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸 (HS) やデルマタン硫酸 (DS) が全身の組織に蓄積し、関節拘縮やコツ変形、肝臓・脾臓の肥大、呼吸障害、弁膜症状等、幅広い症状が挙げられるが、特に中枢神経症状の進行抑制が課題となっている。

JR-171

Lepnafusp alfa 血液脳関門通過型 遺伝子組換えα-L-イズロニダーゼ

適応症 :	ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群、ハーラー・シャイエ症候群、シャイエ症候群)
患者数*1 :	約60人 (日本)、約3,600人 (WW)
想定市場規模*2 :	約700億円 (2019年/WW)
疾患概要 :	ムコ多糖を体内で分解する酵素 (α-L-イズロニダーゼ) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸 (HS) やデルマタン硫酸 (DS) が全身の組織に蓄積し、中枢神経症状、関節病変、低身長、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫など幅広い症状がある。既存の治療酵素製剤は血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経症状に対し効果が期待できないことが重大な課題となっている。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

JR-441

血液脳関門通過型 遺伝子組換えヘパランN-スルファターゼ

適応症 :	ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリップ症候群A型)
患者数*1 :	約30人 (日本 : A型、B型総数) 、約4,000人 (WW)
想定市場規模*2 :	> 700億円 (2019年/WW : A型、B型総数)
疾患概要 :	ムコ多糖を体内で分解する酵素 (Heparan-N-sulfatase) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。症状として、特に中枢神経障害が急速に進行し、発達年齢は2、3歳をピークとしてその後退行する。A型は比較的重症であると言われている。 治療法として、造血幹細胞移植が考慮されるが効果は明らかではない。

JR-162

J-Brain Cargo®適用 遺伝子組換え酸性α-グルコシダーゼ

適応症 :	ポンペ病
患者数*1 :	約80人 (日本) 、約10,000人 (WW)
市場規模*2 :	約30億円 (2019年/日本) 、約1,100億円 (2019年/WW)
疾患概要 :	グリコーゲンの分解に必要な酵素 (acid α-glucosidase) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。筋細胞や神経細胞内にグリコーゲンが蓄積することにより症状が現れる。乳児型は生後2か月で哺乳力低下、筋力低下が出現し、自然歴では18か月までに心機能障害、呼吸障害により死亡する。遅発型は筋力低下や呼吸筋の筋力低下をきたす。また、症状の一つに、 <u>中枢神経障害</u> がある。

*1 患者数 : 厚生労働省班研究等の公開情報及び自社調査を元に算出 *2 市場規模 : JCR調べ

JR-443

血液脳関門通過型 遺伝子組換えβ-グルクロニダーゼ

適応症 :	ムコ多糖症VII型 (スライ症候群)
患者数*1 :	数名程度 (日本)、約200人 (WW)
想定市場規模*2 :	約98億円 (2019年/WW)
疾患概要 :	ムコ多糖を体内で分解する酵素 (β-glucuronidase) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸、デルマタン硫酸が蓄積する。症状として骨変形、関節拘縮のほか、重症患者には中枢神経障害が認められる。治療法として、造血幹細胞移植および酵素補充療法があるが、中枢神経障害を含む病態への明確な効果は認められていない。

JR-446

血液脳関門通過型 遺伝子組換えα-N-アセチルグルコサミニダーゼ

適応症 :	ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリッポ症候群B型)
患者数*1 :	約30人 (日本：A型、B型総数)、約1,800人 (WW)
想定市場規模*2 :	> 700億円 (2019年/WW：A型、B型総数)
疾患概要 :	ムコ多糖を体内で分解する酵素 (α-N-acetylglucosaminidase) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸が蓄積する。症状として、特に中枢神経障害が急速に進行し、発達年齢は2、3歳をピークとしてその後退行する。治療法として、造血幹細胞移植が考慮されるが、効果は明らかではない。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

開発パイプライン（成長ホルモン領域、再生医療等製品）

JR-142

遺伝子組換え持続型成長ホルモン

適応症	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症
技術特徴	独自の改変型アルブミンを融合させることにより、 バイオ医薬品の血中半減期を大幅に延長させる技術を開発（特許出願済）

JR-401X

遺伝子組換えソマトロピン（グロウジェクト®適応拡大）

適応症	SHOX異常症における低身長症
年間発症者数*	約450-500人（日本）

JR-031HIE

ヒト間葉系幹細胞（テムセル®HS注 適応拡大）

適応症	新生児低酸素性虚血性脳症
発症率*	正期産出生数1000人に対し2.5人（WW） （治療対象：標準治療である低体温療法適応となる中等度～重度の患者 150-200人/年）

*JCR調べ