



JCR ファーマ株式会社

投資家向け JR-171 52 週データ開示ミーティング

2023 年 10 月 4 日

イベント概要

[企業名]	J C R 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]	アナリスト説明会
[イベント名]	投資家向け JR-171 52 週データ開示ミーティング
[決算期]	
[日程]	2023 年 10 月 4 日
[ページ数]	33
[時間]	11:00 – 12:00 (合計：60 分、登壇：31 分、質疑応答：29 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 常務取締役 臨床開発（統括）日本を除く事業開発分野・IR 分野担当 マティアス・シュミット（以下、シュミット） JCR Europe 臨床開発ヘッド

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



ヘスース・ガルシア・セゴヴィア（以下、セゴヴィア）
開発本部 国際開発ユニット 臨床開発グループ グループ長
池田 俊暁（以下、池田）

[アナリスト名]*

シティグループ証券	山口 秀丸
モルガン・スタンレーMUFG証券	
	村岡 真一郎
野村証券	松原 弘幸
UBS証券	酒井 文義
みずほ証券	都築 伸弥

*質疑応答の中で発言をしたアナリスト、または質問が代読されたアナリストの中で、SCRIPTS Asia が特定出来たものに限る

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



登壇

司会：JCRファーマ株式会社、投資家アナリスト向け JR-171 52 週中間データ開示ミーティングをご視聴いただき、誠にありがとうございます。本日はムコ多糖症Ⅰ型を対象疾患とした開発品、JR-171 のグローバル臨床第Ⅰ/Ⅱ相試験を含めた、52 週間の中間データについてお知らせいたします。

まず、本日の言語設定についてご説明いたします。皆様の Zoom ウィンドウの下方にございます通訳アイコンで、オフ、もしくは日本語、もしくは英語のチャンネルをお選びください。また本ミーティングは後日、弊社ホームページへ掲載する目的で録画を行っております。

ミーティングを始めます前に、ご視聴の皆様にお断り申し上げます。本ミーティングは機関投資家、アナリストを対象として開催しておりますが、本開発品に関連のある医師、個人の方々も視聴されていることを想定しております。これから行う説明におきまして、現時点の予想に基づく将来の見通しを述べる場合がありますが、それらは全てリスクならびに不確実性を伴っています。投資家の皆様には、実際の結果が見通しと大きく異なる場合があることを、あらかじめご了承ください。

また開発品、および医薬品に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイス等を目的とするもの、また今後の結果を保証するもの、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。

それでは、はじめに本日の登壇者をご紹介します。常務取締役 マティアス・シュミットです。

シュミット：よろしくお願いいたします。

続きまして、JCR Europe 臨床開発ヘッド ヘスース・ガルシア・セゴヴィアです。

セゴヴィア：よろしくお願いいたします。

最後に開発本部 国際開発ユニット 臨床開発グループ グループ長 池田俊暁です。

池田：よろしくお願いいたします。

司会：以上、3 名です。本日使用する資料は、弊社ホームページに 10 月 4 日 10 時半に掲載いたしました。手元資料が必要な方は、恐れ入りますがそちらをご参照ください。

サポート

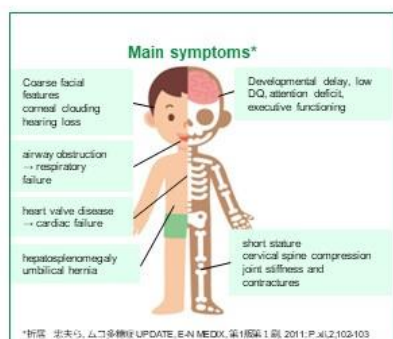
日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



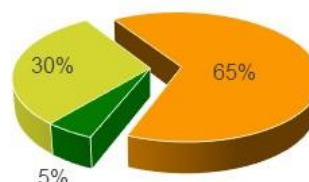
本日はプレゼンテーション 20 分、および質疑応答 30 分を含めた約 1 時間を予定しております。
ご質問はプレゼンテーションが全て終了した後、まとめてお受けいたします。

それでは早速、開始いたします。シュミット常務取締役、よろしくお願いいたします。

Mucopolysaccharidosis type I (MPS I) – Disease Introduction



JR-171 therapeutic hypothesis



** JCR internal analysis

■ Scheie ■ Hurler-Scheie ■ Hurler post transplantation

	Attenuated (MPS IS, MPS IHS)	Severe MPS I
Disease presentation	Stable DQ, organomegaly, cardiac, pulmonary, orthopedic	Severe cognitive dysfunction, severe orthopedic and multi-organ disease burden
HSCT	-	+
Unaddressed signs and symptoms	Deficiencies in attention, short term memory, executive functioning, etc.	Low but stable DQ, poor QoL, deficiency in short term memory, attention, executive functioning, do not live an independent life, orthopedic burden, etc.

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JR-171_1

シュミット*：どうもありがとうございます。ウェビナーによろこそ。そして皆様、興味を持っていただいております。この 52 週における私どものムコ多糖症 I 型の治療薬でありますけれども、まず MPS I の簡単な紹介をしていきたいと思っております。

MPS I は多様な症状を示す疾患 heterogeneous で、これは α -L-イズロニダーゼという酵素の欠損で引き起こされるものです。ご覧の円グラフを見ますと、ほとんどの MPS I の患者さんは重度な患者さんです。そして少数の患者が、今承認されているこのセラピーであります ERT、これは軽症な MPS I、つまり 35% にしか満たない患者さんにしか適用されないものしか承認されていません。

そしてユニークな私たちとして、重症なものはその自然なままでの経過などを見ますと、大変に厳しい症状などが見られます。そしてこの重症ケースには造血幹細胞移植 (HSCT) が標準治療として使われますがしかしながら、まだ今既存の HSCT では治療できず、アンメットニーズがあるということです。CNS (中枢神経) 疾患の負担であるとか、またその身体的なもの、また整形外科的なさまざまなものがあります。

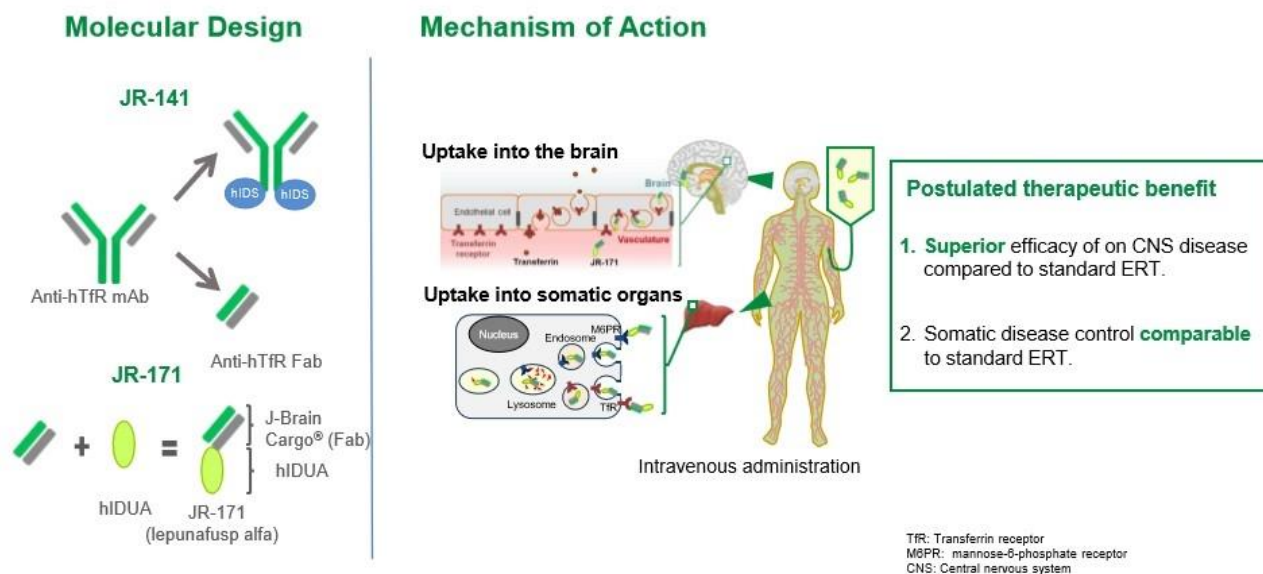
サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



そして、軽症の患者についてもラロニダーゼでそういった全ての症状が対応されているわけではなく、アンメットニーズは高いものであるといえます。今回の開発の仮説でありますけれども、JR-171によって、つまり軽症の患者さん、この移植した後ですら症状が出ている重症患者さんにも有効であると考えています。

Lepunafusp alfa (JR-171) – Molecular Design and postulated MoA



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JR-171_2

ではクリニカルデータを見る前に、私どもの JR-171 の機序などについて見たいと思います。

左側、分子の設計についてです。JR-141 は MPS の II 型の治療として有名でありますけれども、これはトランスフェリン受容体に対するフルレングスのアンチボディがレセプターに結びつき、それから抗体の C 末端部分に融合するということです。

そして、この技術を MPS I 型に適用するために、抗体の Fab フラグメントを欠損酵素 α -L-イズロニダーゼに融合させ、JR-171 という分子になりました。右側に作用機序が載っていますが、この分子はレセプターを介したトランスサイトosisによって血液脳関門を通過していく能力があります。体内臓器への取り込みは依然としてマンノース-6-リン酸受容体もしくはトランスフェリン受容体を介して行われるため、この JR-171 に既存の酵素補充療法 (ERT) を加えて投与する必要はないです。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



このベネフィットは、身体的な症状のコントロールは既存の ERT と比べて同等であるとか、CNS 症状に対して標準の ERT よりも優れているということです。

Objectives of the JR-171-101/102 Clinical Trial



Primary Objectives

- To determine the safety and tolerability of JR-171 in patients with MPS I.

Secondary Objectives

- To evaluate the plasma PK of JR-171 after intravenous administration.
- To explore the efficacy of JR-171 on central nervous and somatic symptoms of MPS I.

そして主な目的は、Phase I/II の場合にこれをもって安全性と、長期的な忍容性について確認をすることです。

そして副次的な目的は、血漿中の PK であるとかを評価すること、中枢神経症状と身体的な症状に対する有効性を検討することが二つ目の目的です。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



52 Weeks Interim Results of Ph1/2 Study

Safety

- No serious adverse drug reactions.
- All drug related IARs were manageable and reversible:
 - All IARs were controlled by common medications.
 - No drop-outs from study due to IARs.
- No significant difference in safety profile of JR-171 at 2 mg/kg versus 4 mg/kg.
- Expected/preferable pharmacokinetic profile.
- No significant impact of ADAs on PK/PD profile.
- Well-tolerated in subjects down to 6 months of age.

Efficacy

- Stabilized organ volumes and walking ability in ERT-exposed individuals
- Reduction in organ volume in treatment naive subject.
- Significant reduction in CSF biomarker.
- Significant reduction in peripheral biomarkers in ERT-naive subject, stabilized biomarkers in ERT-switched subjects.
- Positive trend in developmental assessment:
 - Stabilized/improved scores in neurological test (BSID for severe pts, Wechsler for attenuated pts)
 - Positive changes reported by parents/caregivers (narrative reports)

Main Conclusions:

Data support that JR-171 is safe and well-tolerated for the long-term treatment of MPS I. Biomarker and efficacy data support somatic disease control and indicate trend towards neurocognitive benefit.

CSF : cerebrospinal fluid

JCR internal Data

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JR-171_4

では、ざっとしたまとめをしたいと思います。52週の間解折であります。

まず安全性は大変良好な結果となりました。このプロファイルでありますけれども、重篤な副作用などはなく、また投与関連の反応なども重篤ではなく一般的な薬や前投薬によって管理可能で、また可逆的であります。投与関連反応のために脱落した人はいませんでした。

また、この分子、4mgと2mgの場合の安全プロファイルには、大きな有意差はありませんでした。

そしてPKのプロファイルも、これも望ましい状況であると考えます。非常に優れた用量直線性が見られます。そして薬物の蓄積は見られず、個人差がありますが2から3時間の半減期が観測されました。またこのPK/PDのプロファイルにおいて、抗薬物抗体(ADA)の影響は有意な影響はありませんでした。そして52週間にわたるものですが、本プレゼンテーション時点において、52週目の抗薬物抗体の完全な解析は完了したわけではありません。

その若い赤ちゃん、生後6カ月までの被験者で良好な忍容性がありました。

そして有効性の面では、(すでに標準の)ERTで治療を受けた患者さんにおいて、臓器の容量および歩行能力の安定化も見られました。治療歴のない患者さんで臓器用量の減少が見られました。

それから大きな減少がCSFのバイオマーカーで見られました。そしてこれは、中枢神経でこの分子に活性があるということを示しています。これは特に未治療の群において減少したということ

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

す。そしてまた標準 ERT から JR-171 への切替えの患者においては、バイオマーカーは安定となりました。

次に神経学的な検査でありますけれども、発達評価において大変良いポジティブなトレンドが見られ、神経学的な検査において安定化、それからスコア向上が観測されました。

そして良い変化が、保護者や、また医師からの報告でもあります。ですからこのデータの結果としては、JR-171 は安全で忍容性が高く、長期的な治療に適しているといえます。バイオマーカー、また有効性のデータは今までのところ、この全身症状のコントロールを支持するということです。そして神経認知のベネフィットが見られるということもいえます。

Clinical Trial Outline of Study JR-171-101 and JR-171-102



Open label, multicenter, multinational trial to evaluate the safety, PKs and explore the efficacy for the treatment of MPS I



Primary Endpoints

- Frequency and severity of adverse events
- Anti-drug antibody production
- Safety assessment: changes in vital signs, etc.

Secondary Endpoints

- Drug concentrations; plasma and CSF
- HS and DS concentrations; urine, serum and CSF
- Somatic assessment: liver volume etc.



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

HS : heparan sulfate
DS : dermatan sulfate

JR-171_5

こちら、簡単にお見せしております。

クリニカルスタディ part 1、これは MPS I のアダルトに 4 週間にわたる用量漸増を行いました。

part 2 は、0 歳以上あるいは米国内の 2 歳以上の小児においてこの投与をしました。

part 1 では、認知機能障害がないか軽度である患者が対象でしたが、part 2 では除外基準はありませんでした。2 種類の用量で 12 週間投与し、その後、長期的なフォローアップを見ました。本日は 52 週の段階の検査の結果をお見せします。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



Patient Demographics in the JR-171-102 Study



	Overall	Brazil	Japan	US
Participants	14	10	2	2
Age range	6M-32Y	6M-32Y	4-14Y	16-17Y
Male/Female	9/5	7/3	1/1	1/1
Treatment-naïve	1	1	0	0
MPS IS	1	1	0	0
MPS IHS	4	1	2	1
MPS IH	8	8	0	0
MPS I post HSCT	1	0	0	1

S : Scheie syndrome
HS : Hurler-Scheie syndrome
H : Hurler syndrome

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data

JR-171_6

ではアセスメントを見ますと、先ほども言いましたけれども大変に良好な状態といえます。

まずデモグラフィック（人口統計）をご覧くださいておりますが、14人、6か月から32歳までを組み入れて、これが男性に少し傾いています。未治療被験者が1人。また移植済みの患者さんであるとかも組み入れてあります。それから移植をしていない、つまり標準治療を受けていないような重症の患者さんが多い理由は、ブラジルの患者さんを多く組み入れたためです。ブラジルでは移植は標準治療ではないため、移植を受けていない患者さんなわけです。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



Summary of Adverse Events



	JR-171-101/102 study (Part 2)					
	2.0 mg/kg (n=6)		4.0 mg/kg (n=8)		Overall (n=14)	
	n (%)	events	n (%)	events	n (%)	events
Adverse events	6 (100)	74	8 (100)	109	14 (100)	183
Serious adverse events	1 (16.7)	1	1 (12.5)	2	2 (14.3)	3
Adverse drug reactions	2 (33.3)	6	4 (50)	13	6 (42.9)	19
Infusion-associated reactions	2 (33.3)	6	4 (50)	12	6 (42.9)	18
Serious adverse drug reactions	0 (0)	0	0 (0)	0	0 (0)	0

- Overall safety profile is comparable to somatic ERT.
- No overt differences in safety at 2 mg/kg compared with 4 mg/kg.
- No drug-related SAEs, drug-related AEs were reversible and manageable.
- The full assessment of potential anti-drug antibody formation at week 52 was not available at time of presentation.

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data

JR-171_8

次、では安全性の評価です。見てみましょう。

こちら、AEの全体的なプロファイルですけれども、大変驚くべき良い状況だといえます。つまり2mgと4mgの用量の間では大きな違いがないということでもあります。

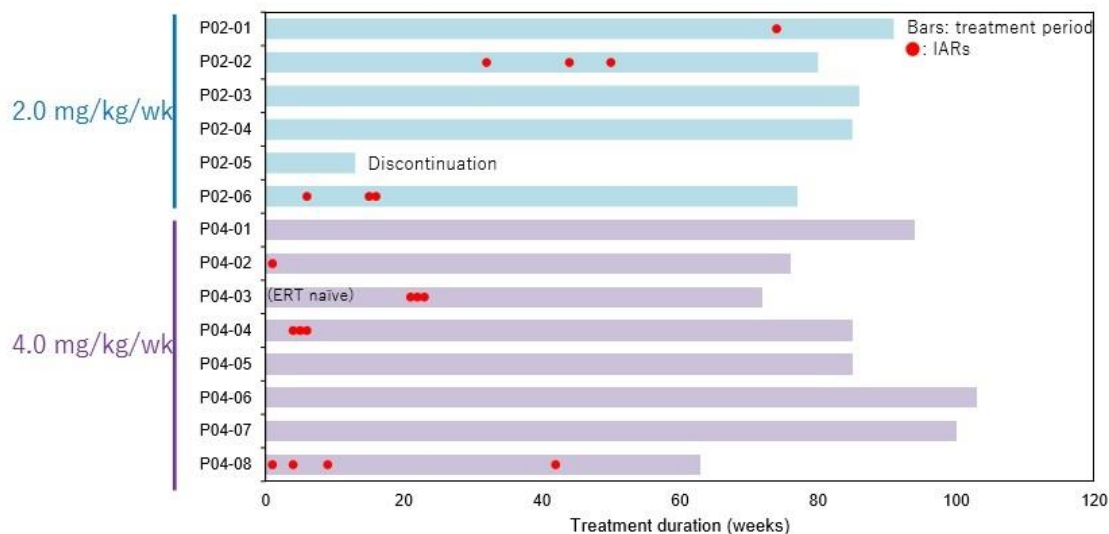
そして、この薬剤関連の副作用であるとかAEなどは重篤なものもなく、そして全体的なADA（抗薬物抗体）の評価はまだ完全に終わったわけではなく、データも出そろっていません。しかしながら全体として、このデータでは、安全性のプロファイルは既存の体性的なERTと同等であるといえると思います。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



Occurrence of IARs



Consistent with other ERTs, IARs appear to be less frequent upon extended treatment periods

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data
JR-171_9

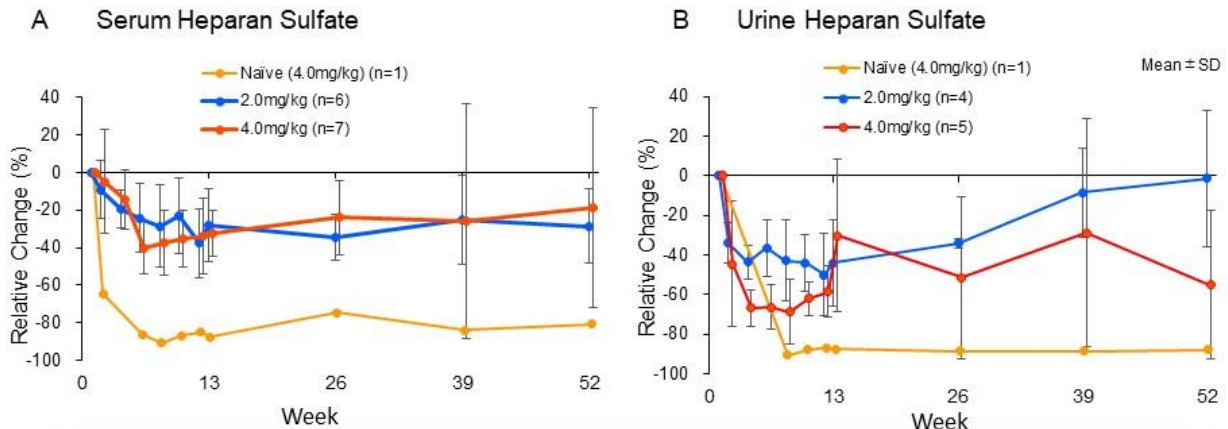
次、投与関連の反応が起きる場合には、一般的にトレンドが見えます。つまり治療を始めて初期の段階で見られるということが傾向としてあります。そして、それはあまり激しいものではないということも特筆すべきだと思います。これがまさに JR-171 でも見られました。ですので、長期的に治療していきますと、発生頻度は低くなっています。もちろん例外はありますけれども。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



Relative Changes in Serum/Urine Heparan Sulfate Levels



- Relative peripheral substrate levels in ERT-pre-exposed subjects tend to decrease and decreased sharply in naïve subject

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data
JR-171_11

では、次に身体的な有効性を見たいと思います。

まず、この基質の変化、左側が血清中、右側が尿中の基質です。未治療の被験者はオレンジで示しておりますが、大変に顕著な減少が見られ、つまりこの血清中でも尿中でも、基質の減少が見られました。

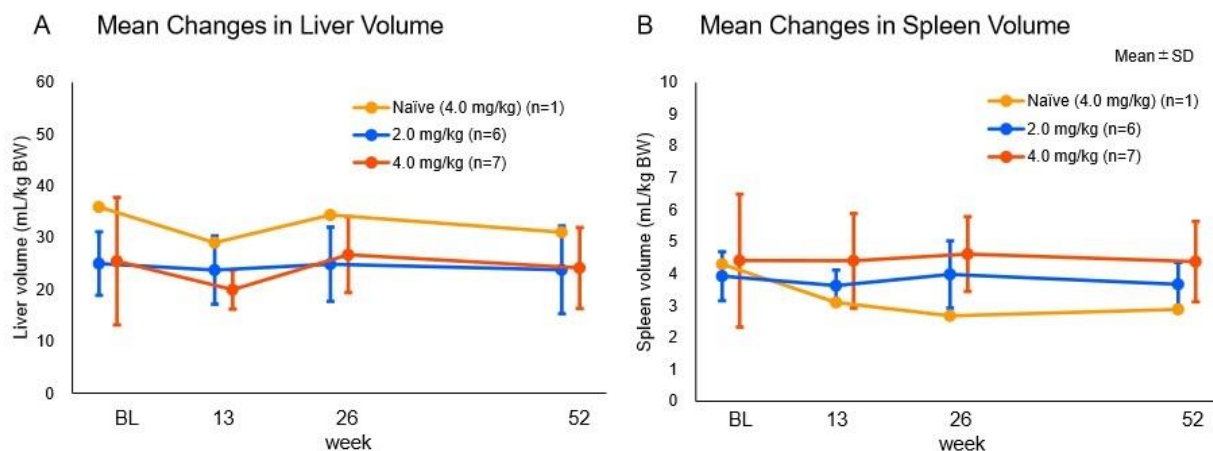
ラロニダーゼ投与を以前受けていた患者さんへの予想としては、この血清の濃度は、おそらく大きな変化はないであろうと考えていました。しかしながら実際ふたを開けてみると、どちらの用量においても少し違ったトレンドが見られます。まずこの基質のレベルが、ERTの治療を既に受けている患者であっても削減することが分かります。それから尿中のヘパラン硫酸でありますけれども、血清中よりもかなり大きく変動する可能性があるので52週目の解釈は少し気をつけなくてはなりません。我々は、血清中のヘパラン硫酸濃度の方がより信頼でき、全身症状のコントロールをより予測できると考えています。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



Changes in Organ Volumes



- Organ volumes stabilized in pre-exposed individuals and decreased in treatment naïve patient, being indicative of somatic disease control
- Organ volumes at baseline were not pathologic in subjects enrolled in the study

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data JR-171_12

次に見ているのは、臓器の容積の変化があったかどうかということであります。

ベースラインは病的なものではありませんでした。すなわち大きな変化はないだろうと予想していました。

オレンジの新規患者、少し減少しております。例えば左側の肝臓の容量ですとか、サイズが少し下がっております。そして右側が脾臓の容量も下がっています。

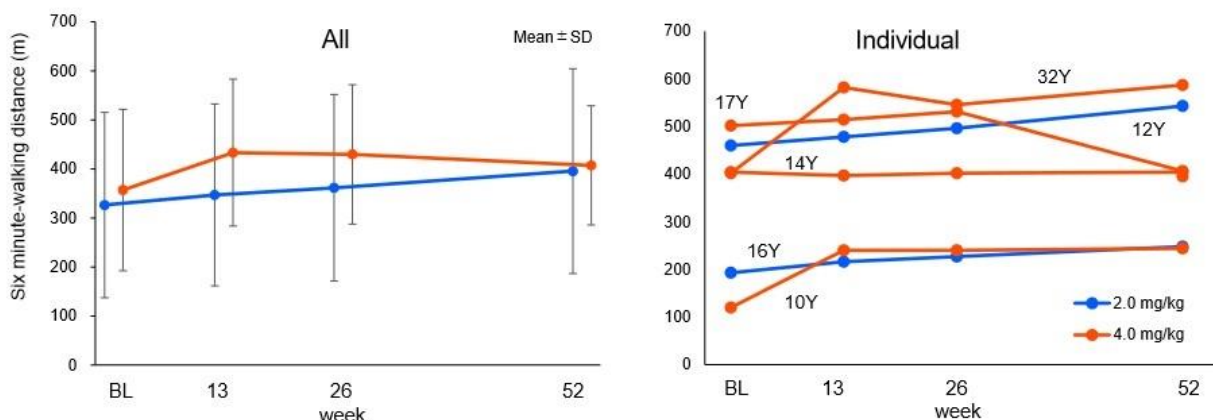
非常に安定化した推移が、この容積に対しては薬剤の曝露 4mg、2mg/kg の間で見られているということで、薬剤のコントロールが十分に達成されていることが分かります。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



Changes in Six-Minute Walk Test



- An increase in 6MWD was observed in 5 out of 6 evaluable subjects.
- Notably, one subject (32 years of age) improved by 50% from 400 to ~ 600 meters

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data
JR-171_13

これは 6 分間の歩行テストの結果です。

個々人がそのテストの概要を理解するのが前提です。このトレンドを見ていただきますと分かりやすいように、コホートでも平均的な改善が見られておりますし、また個人的なスコアを見ましても右側のように改善しております。

6 分間の歩行テストでの個人の被験者を見ましても、特にネガティブな変化はなく、この酵素代替療法と比べましても改善が見られます。我々は被験者の年齢も記載しました。非常に若い被験者の場合、(体性の) 酵素補充療法でも当然改善が期待されることはご理解いただけると思いますが、これらの患者さんは、既に 10 代 (年齢) に踏み出しているのです。そしてまた 32 歳のすでに ERT を受けている患者さんは、全身的な ERT を行ったのと比較して 50% 改善したと報告しています。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



- Stabilization or decrease in somatic biomarkers (urinary and serum heparan sulfate and dermatan sulfate (not shown)) and organ volumes indicate that JR-171 at either dose provides appropriate somatic disease control.

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data
JR-171_14

さて、この全身性の有効性の評価のサマリーであります。

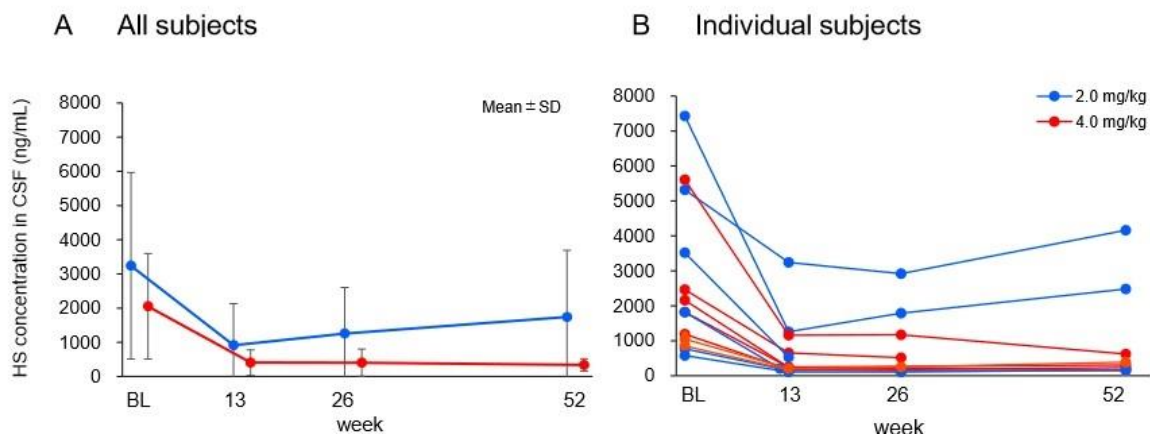
JR-171 のいずれの投与量でも、体性バイオマーカーである尿中または血清中のヘパラン硫酸の安定化または減少が認められました。このウェビナーでは公表していませんが、デルマタン硫酸でも同じ傾向がみられました。および臓器の容積の安定化は、適切な全身症状の制御ができていることを示しております。

この容積に関してもそうですし、全身性の疾患のコントロールがうまくできていることの証左ではないかなと考えております。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

Changes in Heparan Sulfate Levels in the Cerebrospinal Fluid



- A significant reduction in CSF biomarker compared to baseline was observed in all patients.

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data
JR-171_16

次のスライドをお願いします。ということで、中枢神経の兆候、および症状の探査的な効果の評価も行いました。

このヘパラン硫酸の、脳脊髄液内のレベルの変化を見ることによって確認しました。バイオマーカーがバリデーションがちゃんと取れていれば、そういったことが見られるわけです。

全ての被験者を見ますと、非常に顕著なバイオマーカーの減少が見られます。ベースラインと比較してそうです。左側が全被験者の平均値で、右側が全被験者の個々の曲線です。全ての被験者がこういったバイオマーカーの減少を見ることによって、非常に嬉しいと感じています。

サポート

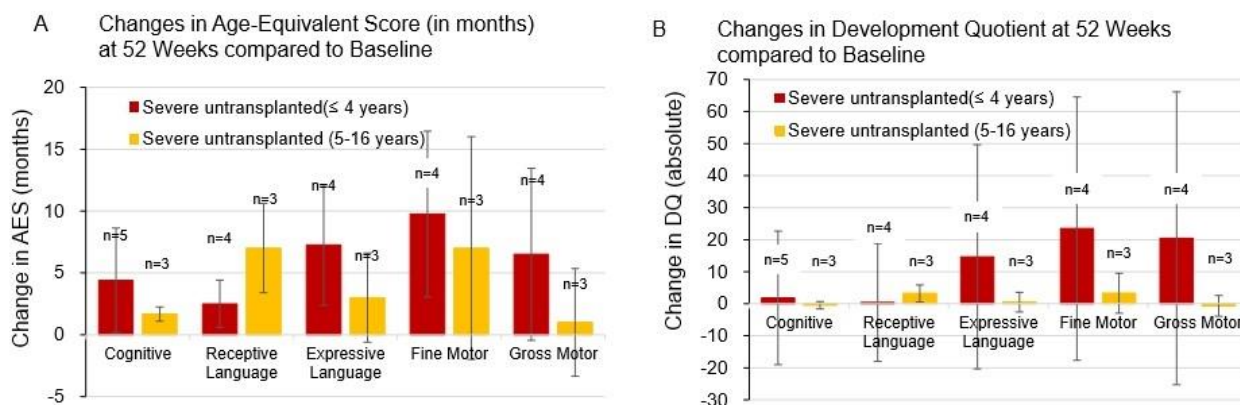
日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



Changes in Neurocognitive Function in Severe MPS I Subjects



Measured using the Bayley Scales of Infant Development (BSID)



- Despite low number of subjects, a trend towards a neurological benefit was observed in severe untransplanted MPS I subjects of all age ranges enrolled.

JCR internal Data

JR-171_17

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

次に神経認知機能の変化を見ました。

最初のスライドが示しておりますのは、重篤な患者のポピュレーションということになります。それから軽症型の患者のデータも（別のスライドに）ございます。

左側ですけれども、これはベースラインと比較した年齢相当スコアの変化です。重度の非移植患者ですが、赤が年齢が4歳以下、黄色が5歳から16歳以下で分かれています。このように分けたのは、実際にどの程度のスピードで（スコアが）低下するかという自然歴に違いがあるからです。全ての患者において、非常に顕著な改善が見られました。すなわち、追加的な機能を獲得できたことが分かります。

高い目標、ゴールドスタンダードとして見たいのは、DQにおいて基本的に全く変化がないということです。発達指数（DQ）が安定することで、基本的に正常な年齢相応の軌跡をたどって認知機能が成長することを示します。そしてそれが右側にご覧いただけるものです。

全てのドメインにおいて安定が見られております。これだけでも十分な結果なわけですが、さらにいくつかのドメインでは非常に顕著な改善も見られました。また同時に、こういったAES、DQの変化が、こういった（低年齢の）重篤な患者でも見られておりますし、また同時により年齢の高いポピュレーションでも、このような結果が得られているということです。

こういったデータを自然歴とともに見ていくことによって、どのような結果が得られたのかが次のスライドで示されております。

サポート

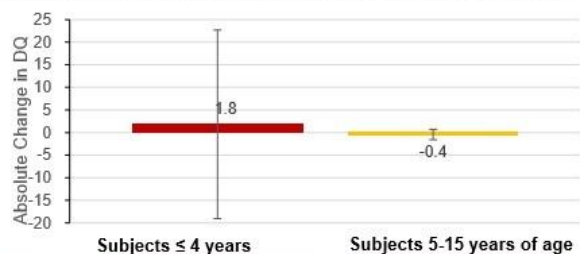
日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



Changes in Neurocognitive Function in Severe MPS I Subjects - Comparison with Natural History of Severe non-Transplanted MPS I -



Changes in Cognitive Domain of Development Quotient measured by BSID at 52 Weeks compared to Baseline



Expected change per the natural history*

~ - 10 DQ points/year

~ - 8 DQ points/year

- Compared to the natural history of severe untransplanted MPS I, there is a trend towards DQ stabilization upon treatment with JR-171.
- A significant decrease in DQ would have been expected per the natural history in severe untransplanted MPS I

*Grosse et al. Genet. Med. (2017) doi:10.1038/gim.2016.223 and references therein
Shaiprot et al. Orphanet J. Rare Dis. 13:76 (2018)

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data JR-171_18

移植を受けていない重症患者のナチュラルヒストリーを見ます。そして MPS II と比較して、MPS I の重篤なものに関しましては、より重篤なアグレッシブな神経学的な転帰をたどります。したがって、これは年齢層で区切るのは難しいのでありますけれども、4 歳以下の被験者を見ますとこれが大体 1 年間に 10 ポイントの DQ に関しまして減少が見られると予想しています。

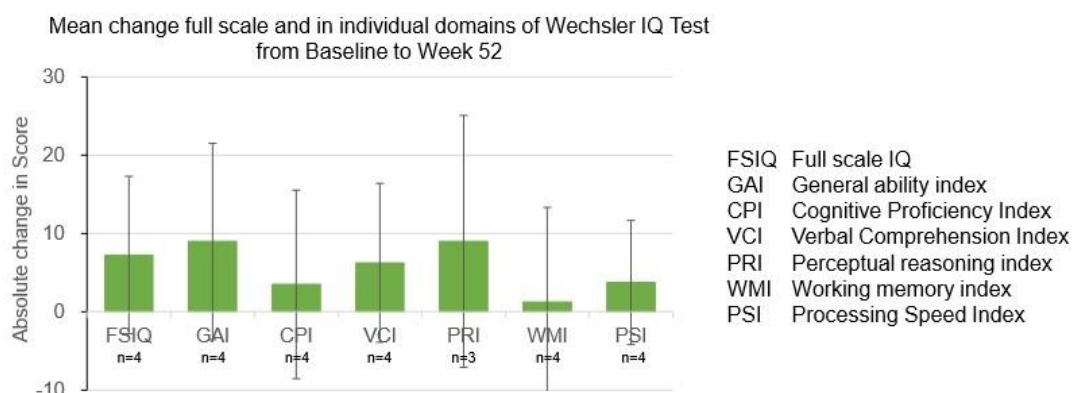
これは年齢が上がると DQ ポイント減少は少しずつ遅くなってきます。年間 6 から 10 ポイントの間です。しかし、この表に示しているのは基本的な、DQ の安定化であり、これは重度の被験者であっても JR-171 治療によって DQ の安定傾向が見られたこととなります。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



Measured using various forms of the Wechsler Test (depending on age)



- Despite a low number of subjects evaluable, a positive trend towards neurocognitive benefit was observed in attenuated subjects with MPS I

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data
JR-171_19

次に軽度の MPS I 患者の認知機能の変化であります。

これは Bayley テストを適用せず、Wechsler テストでいろいろなテストを行ったわけですが、患者さんの年齢に合ったテストを選びました。

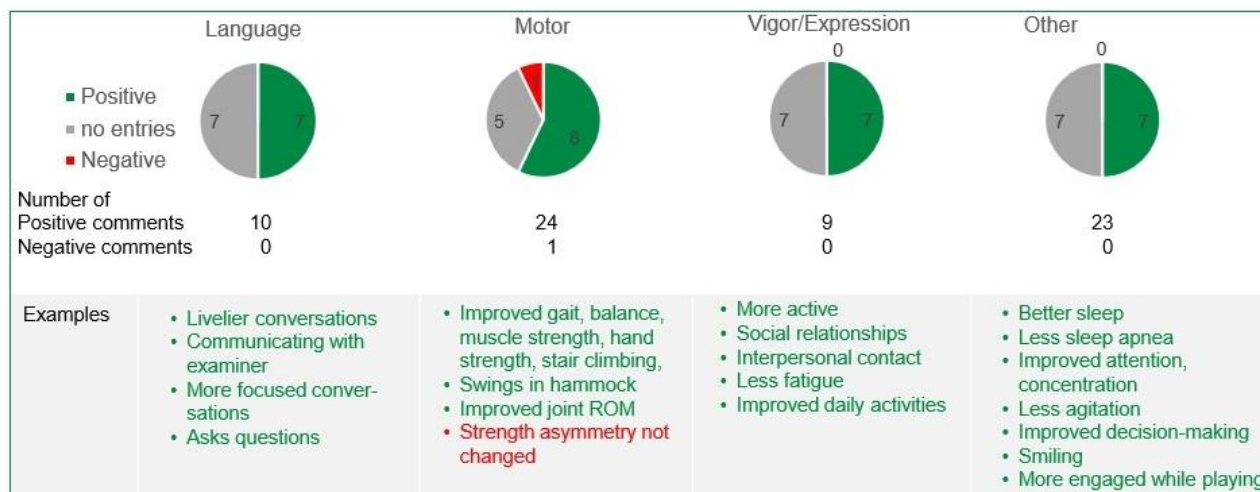
棒グラフを見ていただけましたら分かりますけれども、スコアがこのように変化しております。全発達スコアですとか、あるいは右側に書いておりますいろいろなドメインのいずれにおいてもです。

このように評価可能なサブジェクトの数は 3 から 4 人と少ないわけですが、治療期間も 52 週間と比較的短かったわけですが、しかしながら MPS I の変化のトレンド、全てのドメインに、Wechsler スケールの変化、要するに改善が見られていることに非常に喜んでおります。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

Narrative Reports – Entries in the Clinical Database



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data

JR-171_20

また、たくさんのデータベースのエントリーを臨床医から行っていただき、そしてその中で、ナラティブレポートも発行しております。

治療した患者が個々人でアセスメントしていただきました。それを分析し、ドメインに分けました。言語、運動機能、活力・表現、そしてその他というカテゴリーに分けて調べました。

言語の領域におきましては、非常にポジティブなエントリーがありました。例えばより活気のある会話ですとか、調査担当者とのコミュニケーション、より焦点を当てた会話ができるようになったとか、質問できたとかということです。

それから運動機能に関しましては、歩行、バランス、筋力、手の力など、また階段の昇降の改善が見られたという報告がされています。そしてハンモックで揺れることができるですとか、あるいは関節の可動域の向上なども報告されております。実際、力に対して不均衡である状況は変わっていない報告もありました。

また活力、表現に関しましては、よりアクティブに社会的な環境を構築し、対人関係も改善する。そしてまた患者、および介護担当者の疲労感を減じる日常活動の改善が見られたなどの報告がありました。

その他としては、より睡眠が良くなったとか、睡眠時無呼吸が少ない、集中力、落ち着きが向上した。あるいは判断力が向上した、実行機能が向上した、このような報告が見られます。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



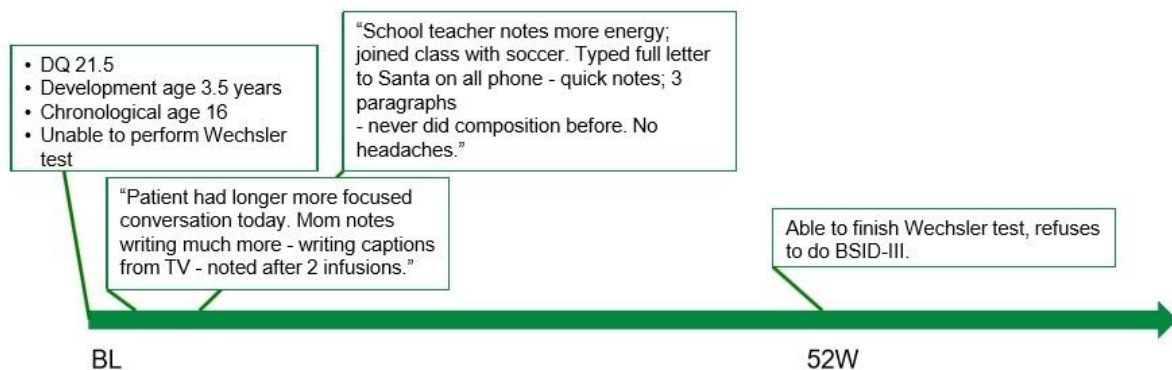
このような報告から分かること、何回もこういった報告を受けたわけですが、この試験中にいろいろなレポートが寄せられています。

Narrative Report US-01-01



Background:

- 16-years old female post HSCT with baseline DQ of 21.5 (severe); cognitive development age ~ 42 months
- Conducted BSID-III at baseline but was unable to perform Wechsler test



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JR-171_21

一つ、ナラティブレポートを見てみましょう。

移植後にスタディに組み入れられました。16歳の女性です。ベースラインのDQは21.5であります。これはちょっと過小評価された数値だと思います。なぜならBeyley (BSID-III) のテストは42カ月が上限だからです。また正確なスキルを必要とする試験は実施できていませんでした。彼女は42カ月で試験をしたということですが、機能学的にはそれよりも少し良かったということです。

この患者が、ベースラインではWechslerテストを行うことができませんでした。そして1回目の静注を行いまして、患者がより会話に集中できるようになりました。そして、彼女の母は、彼女がより多く書いたり、2回目の点滴の後にはテレビを見てそのキャプションをノートするなど、そういった機能が発達してきました。

また学校の先生によると、よりエネルギーが増えたと。サッカーのクラスにも参加するようになったし、またサンタクロースに電話でフルレターを書いたり、3行のパラグラフで素早くメモをとったりした。そして頭痛も少なくなったなどなどの報告がありました。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



52 週間の後で、BSID-IIIは簡単すぎるからもうやらないと拒否したんですね。この時点で彼女が Wechsle テストを完了することができると信じていたが、彼女は協力しなかった。しかし、彼女に見られた非常にポジティブな変化は言及に値することだと思っております。

おじいちゃんおばあちゃんに対しても、うまく事を伝えられるようになりましたし、電話で会話することもできるようになったわけです。これは介護担当者、あるいはおじいさんおばあさんにとっては、非常に喜ばしいことです。

Summary of Exploratory Efficacy on CNS Signs and Symptoms



- A significant reduction of heparan sulfate substrate in the cerebrospinal fluid was observed in all subjects.
- Despite a low number of subjects enrolled, signals of neurological benefit were observed in subjects with severe and with attenuated phenotype.
- Summary of documented narrative reports indicate that subjects benefitted by improved social interactions, increased liveliness, more vigor, improved mobility, less fatigue, better sleep, improved executive functioning.

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JCR internal Data
JR-171_22

それでは、探索的効果の、中枢神経系の兆候と症状に関するまとめであります。

脳髄中のヘパラン硫酸基質の著しい減少が、全ての対象者で観察されました。組入れ被験者の数は少ないながらも、しかしながらわれわれが見た神経学的利益の兆候が観察されました。特に軽症患者でもそうでありまして、また重症の患者に対してもそうであります。

また文章化されたナラティブレポートの概要によれば、対象者はベネフィットを得られているということです。例えば社会的な相互作用の向上、活力、エネルギーの向上、機動力の向上、疲労の軽減、より良い実行機能の向上などが示唆されているのです。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



- The overall safety/tolerability profile of JR-171 (lepunafusp alfa) indicates that it is suited for the long-term treatment of individuals with MPS I.
- Given the small sample size and limited follow-up, interim analysis indicate that JR-171 may provide somatic disease control and a neurological benefit for MPS I individuals with neurological signs and symptoms.
- Long-term follow up of all participants continuing in the study will provide further insights into the overall safety and efficacy of JR-171.

次のスライドです。52 週間の JR-171 の全体的な結論となります。

いわゆる安全性プロファイルを見ますと、JR-171 は MPS I 患者の長期治療に適していることを示しています。また小規模なサンプルサイズと限られたフォローアップを考慮すると、中間分析からは JR-171 が神経学的な兆候、および症状を持つ MPS I の個体に対して、全身症状の制御と、神経学的な利益を提供する可能性があることを示しています。

こういった個人は引き続き治療を行うことによって、長期的なフォローアップデータを得たいと思っております。そしてインサイトを得て、全体的な安全性、効能を、この JR-171 に対して獲得しようと考えております。

以上で発表を終わります。皆様方、ご清聴ありがとうございました。それでは司会者の方にお渡しいたします。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com

質疑応答

司会 [M]：それでは、これより質疑応答に移ります。限られた時間となりますので、本ミーティングに関する質問のみとさせていただきます。

質問方法は画面に表示しております。ご質問の順番がきましたら、私より指名させていただきます。ミュートを解除の上、会社名とお名前をおっしゃってからご質問をお願いいたします。

なお、ご質問は一問一答形式にて、お一人につき1回2問までとさせていただきますが、何回挙手いただいてもかまいません。ご質問は日本語、もしくは英語にてお願いいたします。

それでは、質疑応答を開始いたします。はじめに山口様、お願いいたします。

山口 [Q]*：シティの山口です。効率良くするために英語でいきます。プレゼン、ありがとうございます。素晴らしいデータでしたね、おめでとうございます。

では、4 mg、2 mgということで、データを見ますと4 mgのほうが良いと見受けられます。何かそれに対してコメントはありますでしょうか。4 mgを phase III でもって使うとかいうのはありますでしょうか。

Schmidt [A]*：質問ありがとうございます。私どもとしては、大きな違いはなかった。2 mg、4 mg、1kg 当たりなのですけれども。この違いは大きくないということなのですけれども、レギュレーター、当局としては安全性プロファイルから懸念がない限りはできるだけ高い用量で治療することを求めています。用量選択の最終段階に差し掛かっており、現在のところ最終用量への切り替えはおこなっていません。4mg のほうが良いのかと思いますが、しかし推測を今回ウェビナーではしたくないと思います。

山口 [Q]*：では将来的なことですけれども、開発についてです。この軽度、それから重度の患者さんに関して、治療が違っていると考えています。であれば違った適応症にするとか、あるいは全てパッケージとして同じ、全体的なインディケーションにすると考えていらっしゃいますでしょうか。

Schmidt [A]*：素晴らしいご質問をありがとうございます。実際のところ、開発に関して5種類のシナリオを考えております。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



そしてそれぞれのシナリオにおける適応症の強度をステージ化しております。適応症が幅広いほど強度は高いということになりますし、患者の選択基準も考え直さなくてはならないと考えます。ですから実際、全てのあらゆる種類の開発戦略を持っています。

そして皆さんにご理解いただきたいのですけれども、これは本当はかなり微妙な情報でありますので、今の段階では競合に対して開示するような内容になってはいけないと思っています。そして最終的なデザイン、治験の設計を今の段階では見せたくないと思っております。最終的な試験デザインは、いずれ ClinicalTrials.gov で公開されるでしょう。

司会 [M]：ありがとうございます。それでは続いてのご質問、村岡様。お願いいたします。

村岡 [Q]：モルガン・スタンレー、村岡です。

今回の、特に有効性の部分での結果に対する御社の当初の期待との違いという部分なのですが、やはり4歳以下、および5歳16歳とのところで効果がかかなり違っている。ここも含めて、当初の御社の想定、期待値と今回出てきたアウトカムとのギャップがあるとすれば、どういったものだったのか。その背景として考えられる仮説は何なのか、教えてください。

Schmidt [A] *：重要な質問だと思います。当初の期待値ですけれども、私が個人的に懸念しておりましたのは、例えば MPS I の非移植の重症型の患者がいますよね。そういった患者に対しましては、いわゆる造血幹細胞移植がなかなかできなかったわけです。そういった個人に対しては、あまり変化がないんじゃないかなと思っていました。

しかしながら実際、薬を投与してみると大きな変化があったわけです。これが非常にポジティブなサプライズだったんです。そういった期待値はなかったからです。

それから別のポジティブなものとしましては、ちょっと説明するのが今は難しいんですけれども、この初期の治療から、かなり早い段階で治療の効果が出てきたわけです。ナラティブレポートを見てもそうでありまして、そして他の病気とはちょっと違う。例えば（他の病気では）認知的なベネフィットを得るにしましても、かなり時間がかかる治療法が多いんです。

しかしながらこのポピュレーションを見ますと、重篤な、あるいは軽症の患者を見ましても、こういった神経学的な変化がかなり早い段階で出てきたこと、これも驚きでありました。それから、この発達の度合いがどのような軌跡をたどるのかは、長期的な結果を待ちたいと思います。質問のお答えになればいいのですけれども。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



村岡 [Q]：ありがとうございます。もう一つなのですが、来年度から Phase III に入るとは思うのですが、そこまでの間に次の臨床データのアップデートは、今回のこの次はいつ頃、こういったものが私たちは教えていただけるのでしょうか。

Schmidt [A]*：ありがとうございます。長期的なフォローアップに関しましては、いろいろな仮説に基づいてやります。またエンドポイントも多岐にわたります。そういった、例えば重篤な非移植の患者に対して安定化が図れれば、これはポジティブなシグナルとなります。

また軽症の患者に関しましては、ポジティブなトレンドが継続的になっているかどうかとも理解したいと考えております。それによって Phase III のスタディに組み入れるかどうかが決まってきます。CNS 症状の出ている患者をターゲットにする場合も、患者をどう組入れ基準として定義づけすればいいのかどうか。IQ、DQ を使うのか、そしてスコアはどれくらい低いのか、高ければいいのかどうか。そういった組入れ基準を決めていきたいと考えております。そしてこういった組み入れの判断が決まってから、次の治験に進みたいと考えております。

もちろんアセットパートナーシップも検討しております。JR-171 に関しましては引き続き協議を行いまして、パートナーですとか、あるいは提携の可能性を模索して、その臨床試験のデザインを検討していきたいという思いでおります。

村岡 [M]：ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは、続いてのご質問。松原様、よろしくお願いいたします。

松原 [Q]*：野村証券、松原と申します。私からも 2 点、お願いします。良い結果が出て、またプレゼンありがとうございます。

17 から 18 ページ、JR-141 と同じような内容かと思えます。これは若い若い患者さんに対するものだと思いますけれども、しかしもっと大きな 4 歳以上の患者さんにはエラーバーが大きいように思います。これは患者さんの重度にかかわっているのか、もっと若い患者さんにも投与することが適切なのかどうか、教えていただけますか。

Schmidt [A]*：ご質問を 100%理解できているかわかりませんが、もしお答えになってなければ、もう少し質問を繰り返していただけますか。

全体的に見ますと、若い患者さんであれば、MPS、どの患者さんもそうですけれども、早めに治療することがベネフィットが高いといえます。そして重度の患者の場合は実際、まったく酵素活性がないわけです。彼らは CNS の病理組織学的なダメージが非常に早期から既にあるためです。JR-

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



171 ですけども、もう（CNS の）損傷がある場合は、その安定化を目的とすべきだと思っています。

しかし治療するとき、早めに治療ができればその予防ができる。つまり病理学的なダメージを CNS においてまだ起きていない段階で治療ができるので、結果としてできるだけベネフィットを高めることが可能になってきます。そして発達的にもそうです。

ただ、おそらくベネフィットとしては年齢が高い方にもあると期待します。軽度の患者さんのように、酵素の活動で不可逆的な神経のダメージなどを防ぎ、より多くの酵素活性を CNS に導入できれば、そういった患者に対してもこの薬剤は大変ベネフィットが高いと思います。

松原 [Q]*：ありがとうございます。次の質問ですけども、13 ページです。この中で筋肉に関するもの、2mg のほう、良い結果だと思います。若い患者に対してです。一方で、年齢が異なる 4mg の結果との違いは特にはないと思います。各患者がこういった良い結果が得られているバックグラウンド、どうでしょうか。ページは 13 です。右側の 6 分歩行のテストです。

Schmidt [M]*：右側ですね、分かりました。質問を繰り返していただけますか。

松原 [Q]*：もし患者さんが 2mg の投与をされると、若いとき、例えば 2 歳とかそういった若い患者に対する有効性が 16 歳よりも高いですね。一方で、例えば 10 歳とか 32 歳とか、4mg のほうは年齢があまり関係ないようです。何か各患者さんのバックグラウンド、4mg のほうのバックグラウンドが何か事情があるのでしょうか。違わない理由は何でしょうか。

Schmidt [A]*：簡単にいうと、あまり深読みをしてはいけないと思います。2 と 4mg の違いということでありまして、解釈のし過ぎは避けなくてはなりません。そして、もっとデータがなければ言えないと思います。本当に 2mg と 4mg の違いがあるのかということと言えないと思います。

しかしバックグラウンドとして、この個々の患者さんは違いがあるのかということです。池田さんに何かバックグラウンドの違いがあるのか聞いてみたいと思います。

池田 [A]：ご質問ありがとうございます。この 6 分間歩行の個別のデータですが、この中には軽症型の患者さんも含まれている一方で、重症型の患者さんも複数名含まれておりますので、そういったバックグラウンドの違いがまずございますというのが、回答の一つ目です。

それから年齢もさまざま、10 歳から 32 歳までと非常に幅広い患者さんで、この 6 分間歩行テストを実施しております。一部の患者さんは成長の過程にある方でもいらっしゃいますので、そういう成長の影響もあるんじゃないかというところを、弊社の中では検討しているところです。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com

先ほどマティアスからも回答があったとおり、引き続き長期のフォローをしていって、歩行機能に対する有効性は引き続き検証していきたいと考えております。

松原 [Q]：今の質問なんですけれども、つまり重症度の方に絞った場合には、どのような結果になったのでしょうか。

池田 [A]：重症の方で、この6分間歩行という試験の方法をきちんと理解して実施できる方が、まず限られておりましたので、この中で言いますと2名が重症型の患者さんになるかと思えます。全員ではできていませんというご回答です。

松原 [M]：分かりました。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いてのご質問、酒井様、よろしくお願いいたします。

酒井 [Q]*：UBSの酒井と申します。二つ質問がございます。パートナーリング、提携についてお話しされてました。データに関して、今のデータをもとに潜在的なパートナーにコミットメントができますでしょうか。Phase IIIの前にいろいろな基準、例えばパートナーの選択をどうするのか、マーケットはどこにするのか、国はどこにするのかですとか、あるいはプロトコルはどうするのかという、いろいろな基準があると思えます。

したがって、このような中間的な結果をもとに、どのように判断されますでしょうか。というのは、ライセンスフィーですとかロイヤルティが収益に大きく影響すると思えますので。

Schmidt [A]*：ご質問ありがとうございます。いえるのは、他のパートナーからの利益も考えなければいけません。タームシートを見なければいけません。

ただわれわれ、今、チョイスができる状況にあります。いつがベストなのか、インフレクションポイントは何なのか、JR-171のパートナーリングをするにはどうすればいいのかを検討してまいります。

今はタイムプレッシャーはありません。したがってベストな決定をしたいと考えております。財務状況、あるいはその他の条件も検討しなければいけません。パートナーシップに関しましては、誰がベストなのか、そして最も自信を持って開発をベストなカタチでやっていただけるかどうかも検討しなければいけません。タームシートをチェックすることによって、われわれの決定をしたいと思えます。ある程度のタイムポイントを絞って。以上になります。

酒井 [Q]*：ということは、待たないといけないということですね。それが質問の答え。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



Schmidt [A]*：そうです。引き続き、注目してください。

酒井 [Q]*：二つ目の質問になりますけれども、簡単なものです。このデータから分かること、中間的なデータから分かることを考えますと、この JR-171 に関しまして、治療はできるだけ早くしたほうが良いと思います。

そして用量の増量、4mg といわれておりますけれども、そのドーズを次のトライアル 3 相でもっと上げていくことを考えていらっしゃいますか。例えば安全性プロファイル、忍容性が高いことが分かっているわけですから。それから治療のタイミングに関しましては若いほうが良いと思っておりますが、いかがでしょうか。

Schmidt [A]*：若ければ若いほどいいというのは、全くそのとおりです。これがルールになります。MPS の患者に対しては全てそうです。

ただ強調したいのは、重症度の高い非移植の患者につきましては、すでに 10 代に差し掛かっているような場合には、治療ベネフィット・改善を見ることは非常に難しいです。したがって今回こういった 5 歳から 16 歳の患者であってもベネフィットがあることが分かった、これは素晴らしいことです。

また軽症の患者に関しましても、認知的に、あるいは IQ、DQ についてはフルポテンシャルを発揮できないのではないかなと思っていました。というのは、こういった患者は CNS のダメージを抑制するのに十分な脳内の酵素活性を維持しているからです。したがって、こういった被験者が神経学的な認知機能を改善するということが非常に重要だと思えます。そして Wechsler テストでもスコアの改善が得られるのは、非常に好機だと思えます。質問のお答えになっていましたでしょうか。

酒井 [M]*：はい。Phase III のプロトコルが開示されることを心待ちにしております。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございます。ほかにご質問はいかがでしょうか。それでは続いてのご質問、都築様、よろしくお願いいたします。

都築 [Q]：みずほ証券の都築と申します。説明会、開いていただきましてありがとうございます。少しだけ、今までの質問のところをもう 1 回教えていただきたいなと思っています。

スライドの 27 ページを見ていますが、JR-171 の今後のターゲットを 27 ページで書いていただいていると思います。今までの議論をお聞きすると、次のフェーズはイメージとして、まずこの左側の既存の薬のあるところを戦っていくイメージで、その後の適応拡大として右側にシフトされてい

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



く。そんな印象に聞こえたのですが、そういったイメージ感でいいのか教えていただきたいです。こちらが1点目です。

Schmidt [A] *：そうです、おっしゃるとおりです。なので、これを見ていただくと、ハーラーシヤイエ、シヤイエの患者さんで認知的な欠陥がないわけではありません。そして多くの場合は短期的なメモリーの欠陥、また注意も短期的なものしかない患者さんが多いわけです。

なので、ドクターのところに行っても、なかなか車をどこに停めたかなとか、覚えられないんですね。どこに車を停めたかすら覚えられないので、個人の方たちがラロニダーゼから JR-171 に切り替えることでベネフィットがあると思います。

また、最も重要なこととして、MPS I のマーケットはもう頭打ちだといわれます。しかし現実には、本当に重要なことは、2,500 人以上の移植を受けたけれども、なかなか独立して暮らせない方々がいらっしゃる。例えば 30 歳の移植を受けた方で、その方は理解がなかなかできず、また電話の使い方も分からないということ。電話が使えるようになったら、本当に大変な達成感があるということです。

こういった患者さんに、認知的な疾患症状を軽減するような薬物療法を提供するということで、マーケットが開かれます。全体のポピュレーションの中の 65% の人たち、今、特にどんな治療も受けられないでいる、ERT にアクセスがない Hurler の患者さん、そして移植の後には治療が受けられない状況の人が 65% もいるわけです。

ですからこの市場を見ますと、JR-171 が承認されたあかつきには、ベネフィットを享受していただける対象群の患者さんが、これだけいることが分かっていただけだと思います。

都築 [Q]：ありがとうございます。あと私からもう 1 点なのですが、今回 JR-171 の 52 週のデータを、もともと R&D で 13 週のデータで良好なデータを示していただいていたので、今回そのフォローアップだったと思います。

今後こういったかたちで、新しいパイプラインが出てきたらこのように説明会を開いていただくと、そういうスタンスなのか。この点、最後にお聞きしたかったです。お願いいたします。

Schmidt [A] *：素晴らしい質問をいただいて、ありがとうございます。

ウェビナーにするかとか、ウェビナーを近々で行うかということはまだ決めていないんですけども。ただ通常は大きな学会などで、例えば *WORLD Symposium* などでも発表したいと思っています。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



今回の場合、たくさんの質問であるとか、本当に皆さんの興味がこの 52 週結果に集まっていて、カンファレンスがすぐにはありませんので、そういった機会がなかなかないのでウェビナーをしたらどうかと思ったわけです。

ウェビナーを使うことによって、このデータを皆さんにぜひ知っていただきたいと思ったわけです。皆さん、このアップデートを継続的にしてほしいと思っていらっしゃると思っております。ウェビナーであるとか、もっと定期的に発表の機会をもうけられたらなと思います。

都築 [M]：ありがとうございました。

司会 [M]：ありがとうございました。終了の時刻が近づいてまいりましたので、次で最後のご質問とさせていただきます。山口様、お願いいたします。

山口 [Q]*：ありがとうございます。最後の質問ですけれども、JR-171、141 は構造的に違います。その賛否について教えていただけますか。JR-141 と比べての利点など。

Schmidt [A]*：良い質問だと思います、ありがとうございます。われわれが発見した J-Brain Cargo®プラットフォームテクノロジーがありますけれども、これはお手軽なソリューションではないということなんです、つまり、また同様の戦略を、他のアセットにそのまま使うことはできません。各分子、症状に応じて、最適化していかなければいけません。

例えばアニマルモデルの前臨床で、大きな違いが出てくるわけですね。どのようなファインチューニングをしていくのか。アフィニティを考えると、モノクローナル抗体にするのか、Fab にするのか、シングルチェーンにするのか、学術的なライブラリーから得られた VHH にするのか、ということが大きく変わってきます。

J-Brain Cargo®プラットフォームテクノロジーに関しましては、非常にファインチューンできる、広範囲なそういった項目を持っております。したがって今回のミーティングでは開示できませんけれども、いろいろな分子があるということ、それに MPS I、II、あるいはその他の適応症に対するデザインが変わってくるわけです。

そうすると、最初のデザインがベストであるとは限らず、さらなる改善が必要ということです。それによって、例えば基質のクリアランスをしていかなければいけない。それによって汎用性が広くなり、そして個別アプローチをすることができるようになるわけです。これが基本的な技術の方向性だと思い、このような技術であることをうれしく思います。それによって、最適化した資産を築くことができることとなります。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。以上で質疑応答を終了させていただきます。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



それでは以上をもちまして、JCRファーマ株式会社、投資家・アナリスト向け JR-171 52 週データ開示ミーティングを終了いたします。

[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
2. 会話は[Q]は質問、[A]は回答、[M]はそのどちらでもない場合を示す
3. 本トランスクリプトは企業の同時通訳音源を書き起こした内容を含む
4. *は企業の同時通訳の書き起こしを示す

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



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、SCRIPTS Asia 株式会社（以下、「当社」という）は一切の瑕疵担保責任及び保証責任を負いません。

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、すべて利用者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利用者が被った損害、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。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

