

# JCR Biotech for a New Tomorrow

– Our Challenges, Our Goals –

日本ケミカルリサーチ株式会社

決算説明会

2012年5月



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。

➤ 既存製品ポートフォリオの拡大

➤ 独自技術を利用した希少疾病治療薬の開発

## ➤➤ 既存製品ポートフォリオの拡大

---

遺伝子組換え成長ホルモン製剤

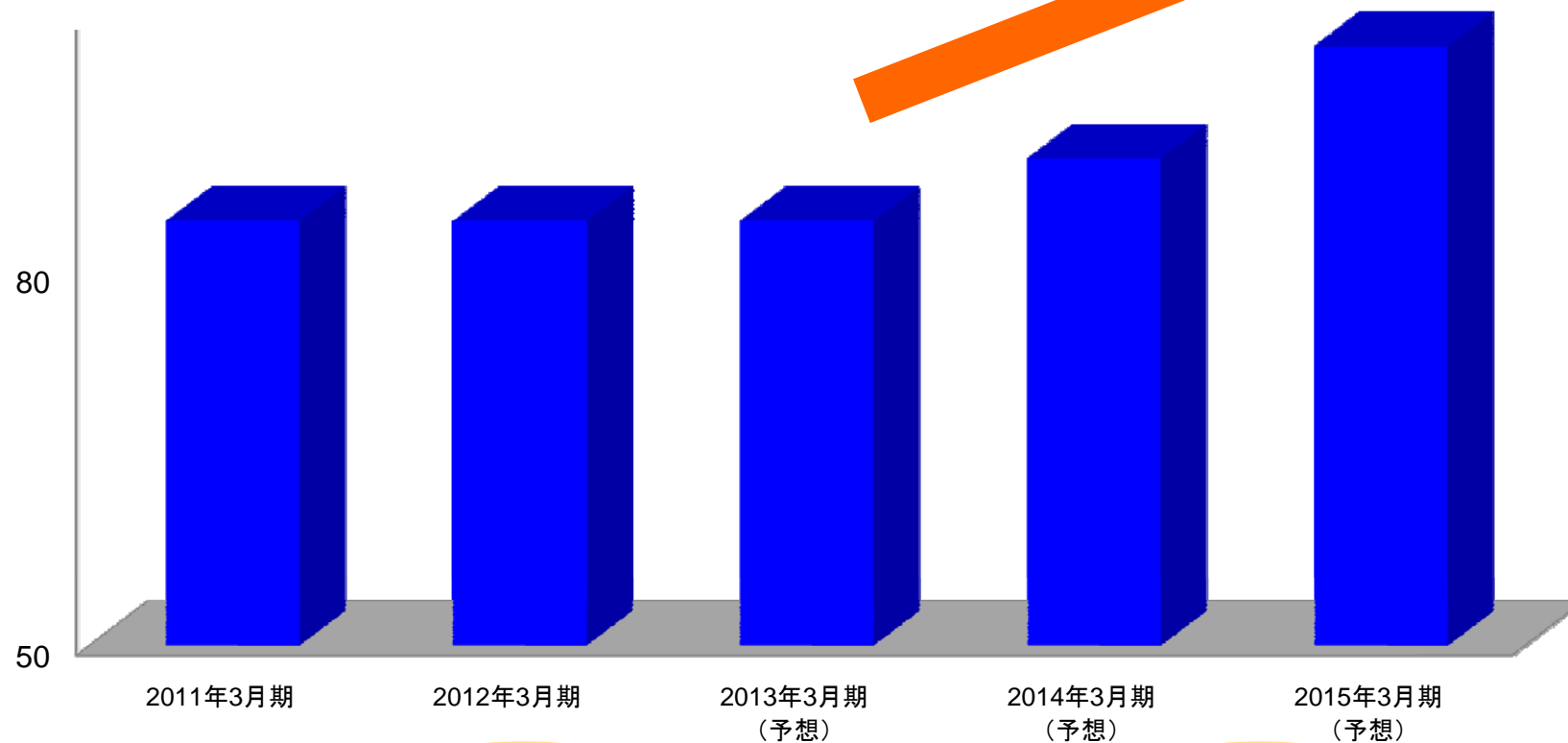
**グロウジェクト®** - 新たな効能・注入器の投入

遺伝子組換えエリスロポエチン製剤

**エポエチンアルファ** - バイオ後続品の認知度の向上  
**BS注JCR** - 価格面における先行品との差別化

## ＜グロウジェクト®売上高推移＞

(億円)



SGAの効能取得

新型注入器の投入

## SGA性低身長症とは？

- 在胎週数相当の標準身長・体重に比べて、小さく生まれること。
- SGAで生まれた子供のうち、1割くらいは低身長のまま成長し、一定基準を満たすとSGA性低身長症と診断される。



## 患者さんのニーズに合わせたラインナップ

電動式注入器

グロウジェクター



マニュアル注入器

BDペンジェクター3



針なし注入器

ツインジェクターEZII



3種類の注入器を提供するのはJCRのみ

次世代電動注入器

# グロウジェクター2

今夏発売

## ➤ 既存製品ポートフォリオの拡大

---

遺伝子組換え成長ホルモン製剤

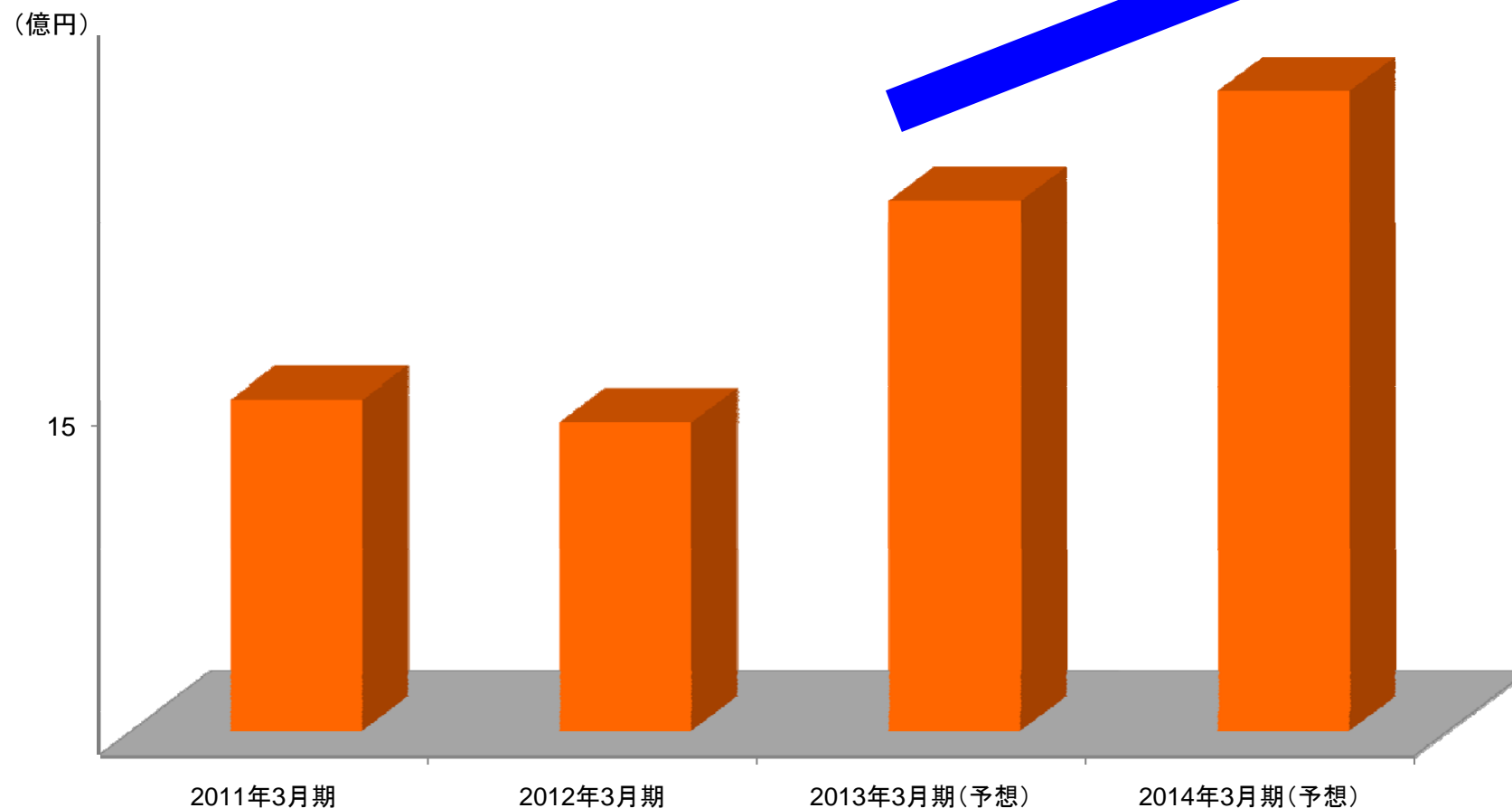
**グロウジェクト®** - 新たな効能・注入器の投入

遺伝子組換えエリスロポエチン製剤

**エポエチンアルファ** - バイオ後続品の認知度の向上  
**BS注JCR** - 価格面における先行品との差別化

## ＜エポエチンアルファBS注JCRの 売上高推移＞

\* キッセイ薬品とコ・プロモーション



## バイオ後続品の認知度の向上



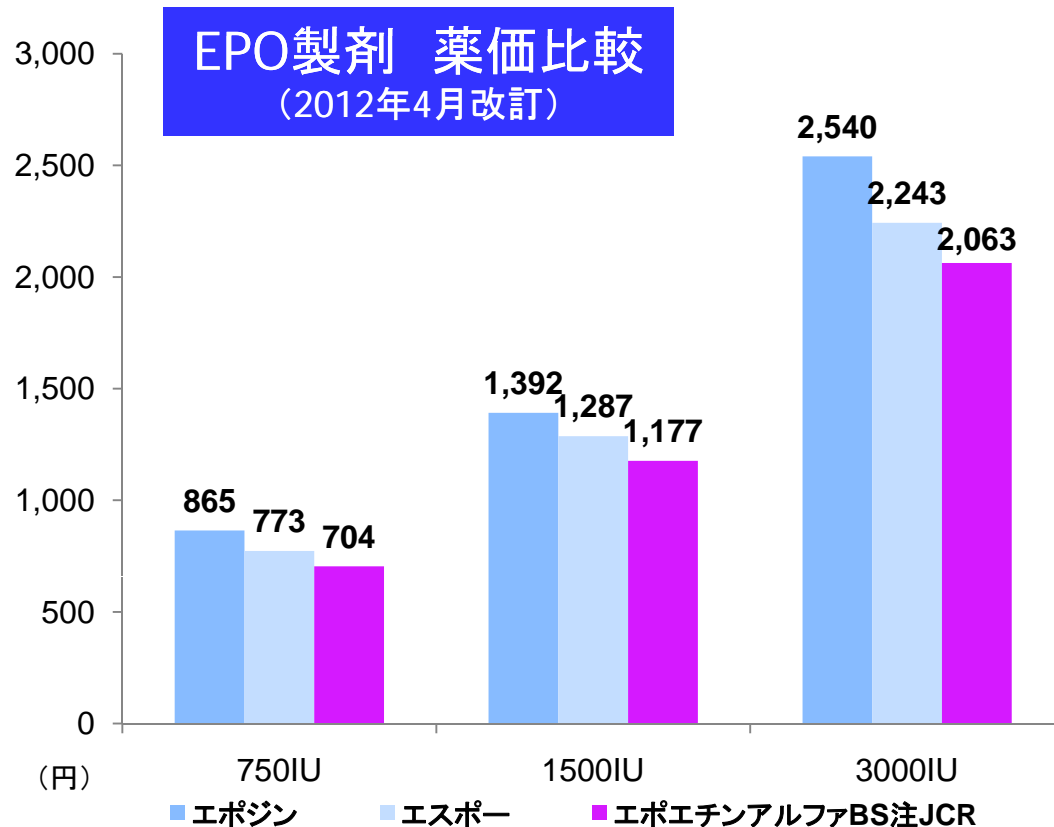
2011年 第56回日本透析医学会企業展示



ランチョンセミナー

本年も透析医学会で展示・ランチョンセミナーを実施し、  
さらなる認知度の向上を目指す

## 価格面における先行品との差別化



### 診療報酬改定

- 35 ~ -30点の引き下げ
- ・ 1症例1カ月あたり

**3,900円\***の減額

\* 週3回、月13回透析  
-30点 × 13回 = -390点

### 不採算品目再算定

- ・ 生理食塩液
  - ・ 透析液
- 薬価上昇

医療機関の価格センシティブティが高くなる現状で  
価格戦略の効果が期待される

## ➤ 独自技術を利用した希少疾病治療薬の開発

---

2012年2Q 完了

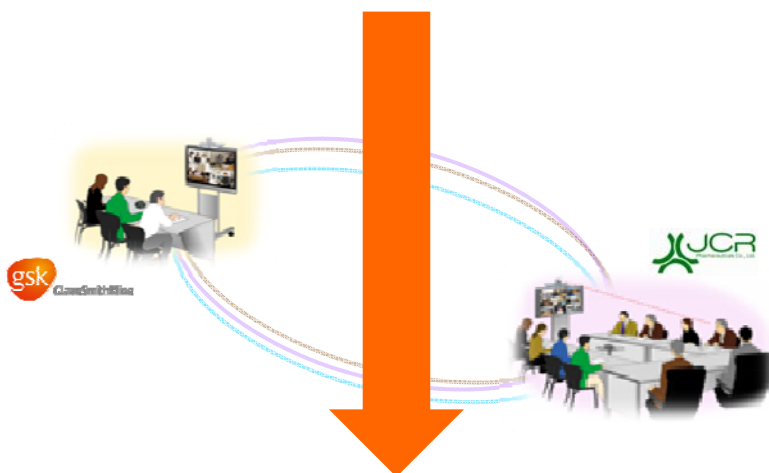
世界基準の  
GMP 体制を構築



新バイオ医薬品工場(仮称)



室谷工場



- 品質保証体制の整備
- 製造施設・設備

2012年末にもGSKへの  
治験薬用原薬の供給開始

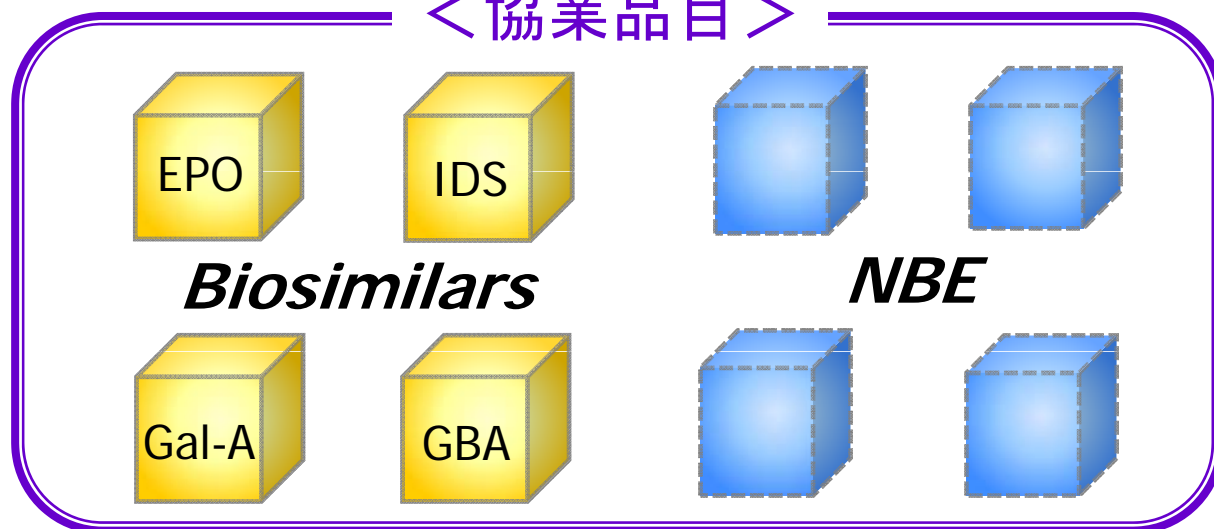


- エポエチンアルファBS注JCRの海外展開
- ライソゾーム病酵素のバイオ後続品  
(ハンター症候群、ファブリー病、ゴーシェ病)

バイオ後続品 →

**NBE**  
(新規バイオ医薬品)

<協業品目>



高発現  
技術

BBB通過  
技術

低分子薬との  
コンビネーション

ターゲティング  
技術

Unmet medical needsの解決

## 血液脳関門(BBB)通過技術

【中枢神経症状を伴う疾患】

ハーラー症候群

ハンター症候群

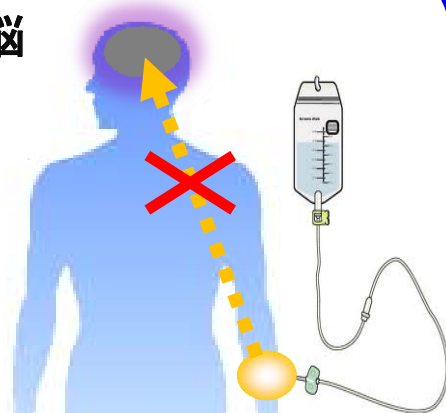
ニーマンピック病

ゴーシェ病

クラッペ病

既存薬

脳



酵素が脳内まで移行しない



中枢神経症状に対する効果をもたない

JCR

PoC 試験(KOマウス)



サルを使った試験

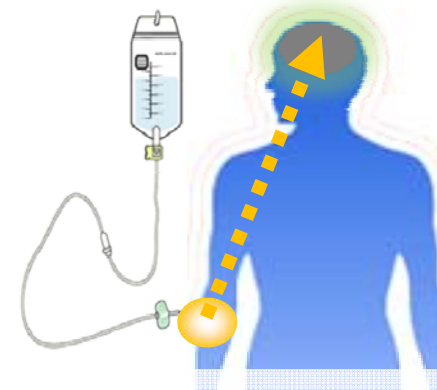


Ongoing

Fusion タンパク質

酵素

臨床試験



中枢神経症状の改善

## 酵素 - 低分子シャペロン技術

ファブリー病

JCR

酵素

GSK

低分子  
シャペロン

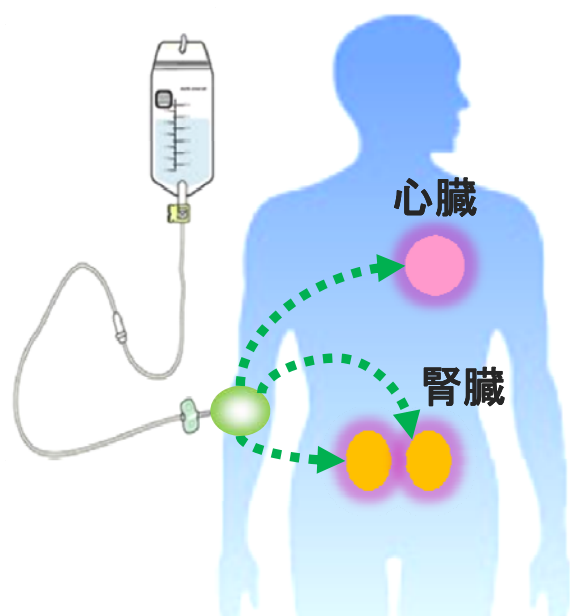
低分子  
シャペロン



タンパク質  
(酵素)

選択的に  
タンパク質分子  
に結合

- 不完全なタンパク質分子を「活性型」に変換
- タンパク質分子を安定化



皮下投与、在宅自己注射

の可能性

酵素としての投与量を削減

## 標的化技術

ポンペ病

筋肉

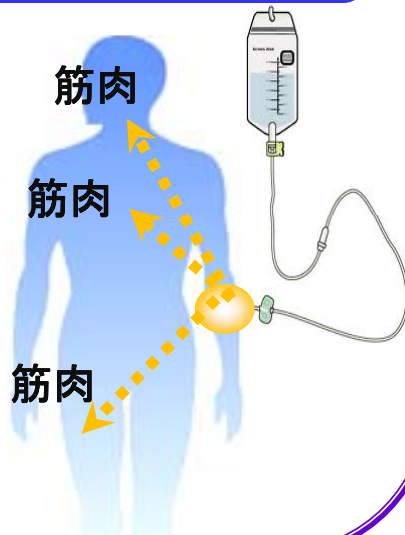


- 呼吸筋
  - 心筋
- への影響 ▶ 致命的症状

既存薬：筋肉に作用するのは有効成分の1%

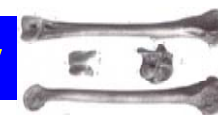
JCR

効率的に薬を筋肉へ運ぶ



モルキオ症候群

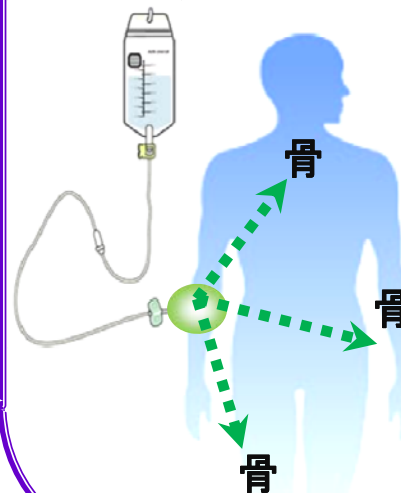
骨



- ▶ 骨への影響：
- 頸椎の病変
  - 四肢や背中の変形

JCR

効率的に薬を骨へ運ぶ



特許3件を国際出願中

## 高発現技術

高発現を目的に  
改良されたベクター



従来のシステムより  
一桁高い発現量

特許2件を国際出願中

効率的に高品質のバイオ医薬品を生産

## シングルユースバイオリアクター

- 使い捨てにより、洗浄・滅菌の負担を低減
- 同一ラインでの多品目の生産を実現



## 間葉系幹細胞(MSC)\*: JR-031

### 北米

2012年5月17日 米国オサイリス社

カナダにおいて承認取得

世界初

日本初の  
他家細胞医薬品  
ユニバーサル

### 日本国内

#### 国内第I/II相試験

ほとんどの症例において、  
良好な反応性 (13 / 14 症例)

ステロイド抵抗性の GvHD グレード III/IV

#### 学会発表

- 2011年12月:米国血液学会
- 2012年2月:日本造血幹細胞移植学会

第II/III相試験 実施中

\* 米国オサイリス社より技術導入

# 重症角膜疾患

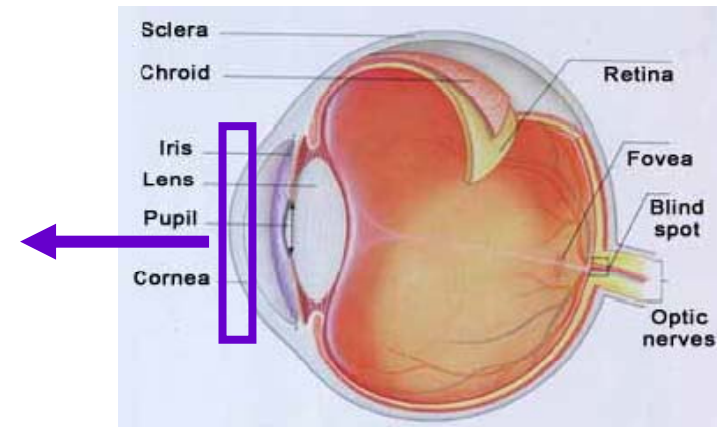
## 再生医療への取り組み

角膜



上皮

内皮



### 角膜上皮

- 適応症: 角膜上皮幹細胞疲弊症\*
- \* 原疾患: スティーブンス・ジョンソン症候群, 眼類天疱瘡、熱・化学腐食
- 治療の選択肢: 角膜上皮細胞シート

### 角膜内皮

- 適応症: 水疱性角膜症
- 治療の選択肢: 再生医療

大学が実施する文科省採択プロジェクトに、協力企業として参画

➤➤ **既存製品ポートフォリオの拡大**

- グロウジェクト :

新しい適応・注入器の投入による拡販

- EPO製剤 :

バイオ後続品のプレゼンス確立、価格戦略

➤ 独自技術を利用した希少疾病治療薬の開発

- 高発現・完全無血清培養
- BBB通過、ターゲット技術
- シャペロンとのコンビネーション薬
- 細胞・再生医療

GSKとの協業による  
グローバル展開



Thank you for your attention

---