



JCR Biotech for a New Tomorrow

- Our Challenges, Our Goals -



JCR Pharmaceuticals., Co. Ltd

決算説明会

May. 23, 2013



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。



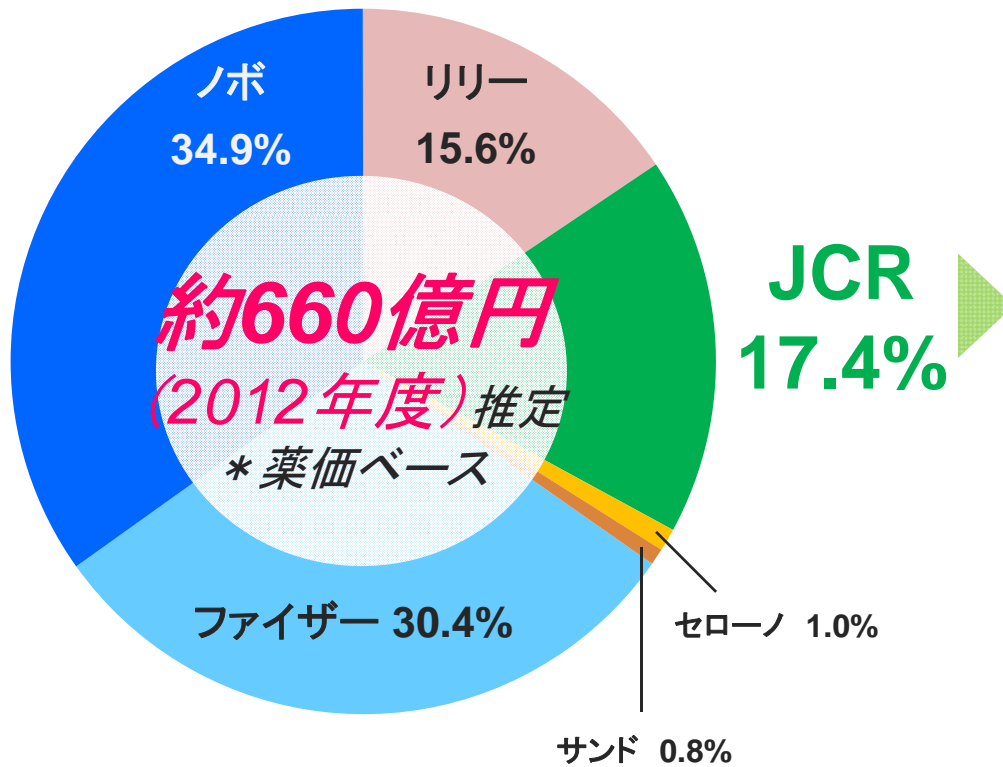
既存製品の拡販・今後の戦略



独自の技術を利用した
希少疾病治療薬の開発

遺伝子組換え成長ホルモン製剤 グロウジェクト®

成長ホルモン市場規模



■ グロウジェクト®



■ 専用注入器



電動式
注入器



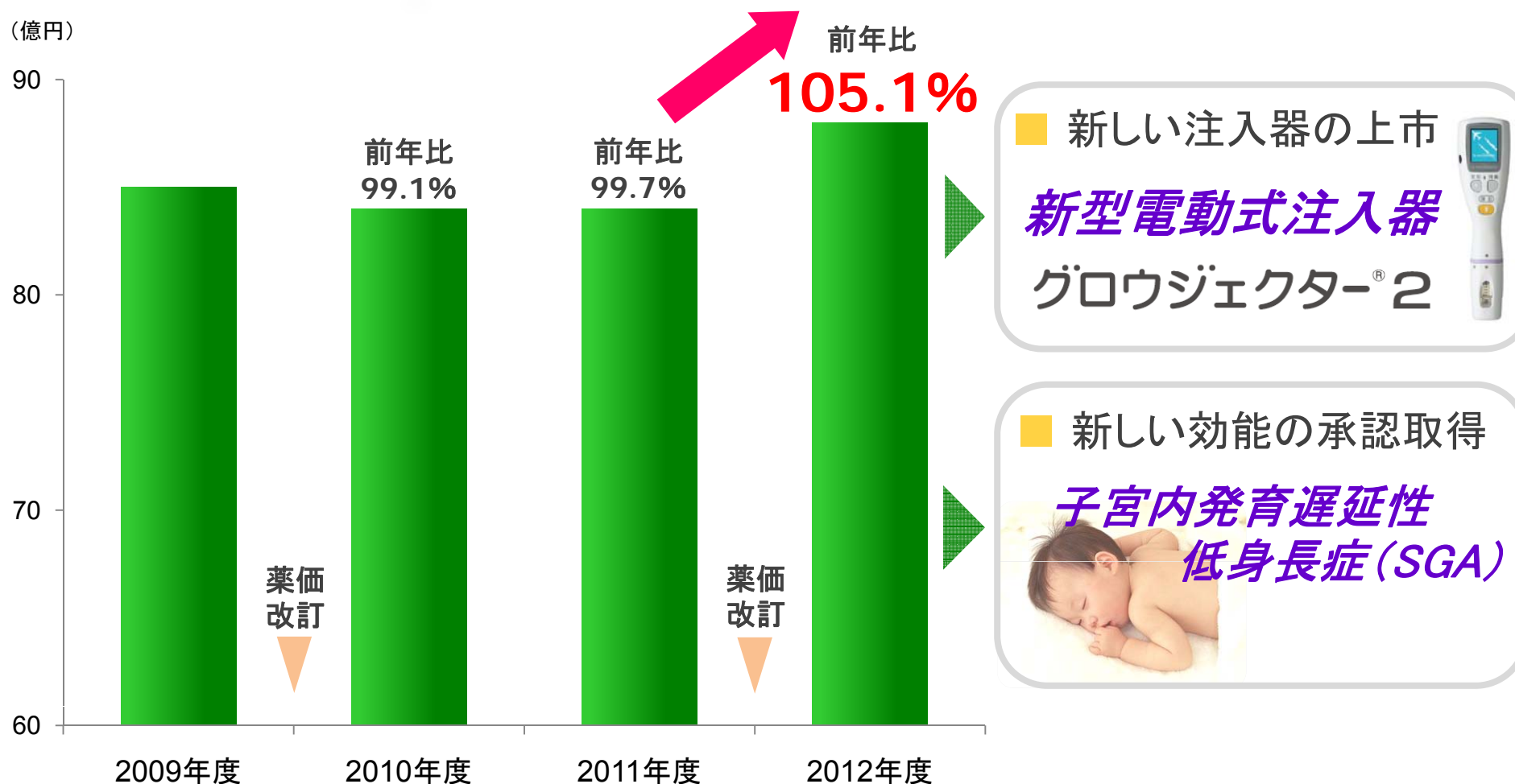
針なし
注入器



マニュアル
注入器

遺伝子組換え成長ホルモン製剤 グロウジェクト®

■ グロウジェクト®売上高推移



子宮内発育遅延(SGA)性低身長症とは？

- 遺伝的要因、妊婦の喫煙・飲酒等、何らかの原因で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で生まれた子どものうち、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。



遺伝子組換え成長ホルモン製剤 グロウジェクト®

■ グロウジェクト®売上推移予測

(億円)

100

✓ グロウジェクター2の貢献

✓ SGAの拡販

90

80

2012年度(実績)

2013年度

2014年度

2015年度

....

新たな剤型

次世代注入器

効能拡大

ESA市場規模

約1,160億円

(2012年度)推定

* 薬価ベース

■ 競合製品

協和発酵キリン

- ・ ネスプ
- ・ エスポー

中外製薬

- ・ ミルセラ
- ・ エポジン

■ エポエチンアルファBS注JCR



✓ 国産初のバイオ後続品

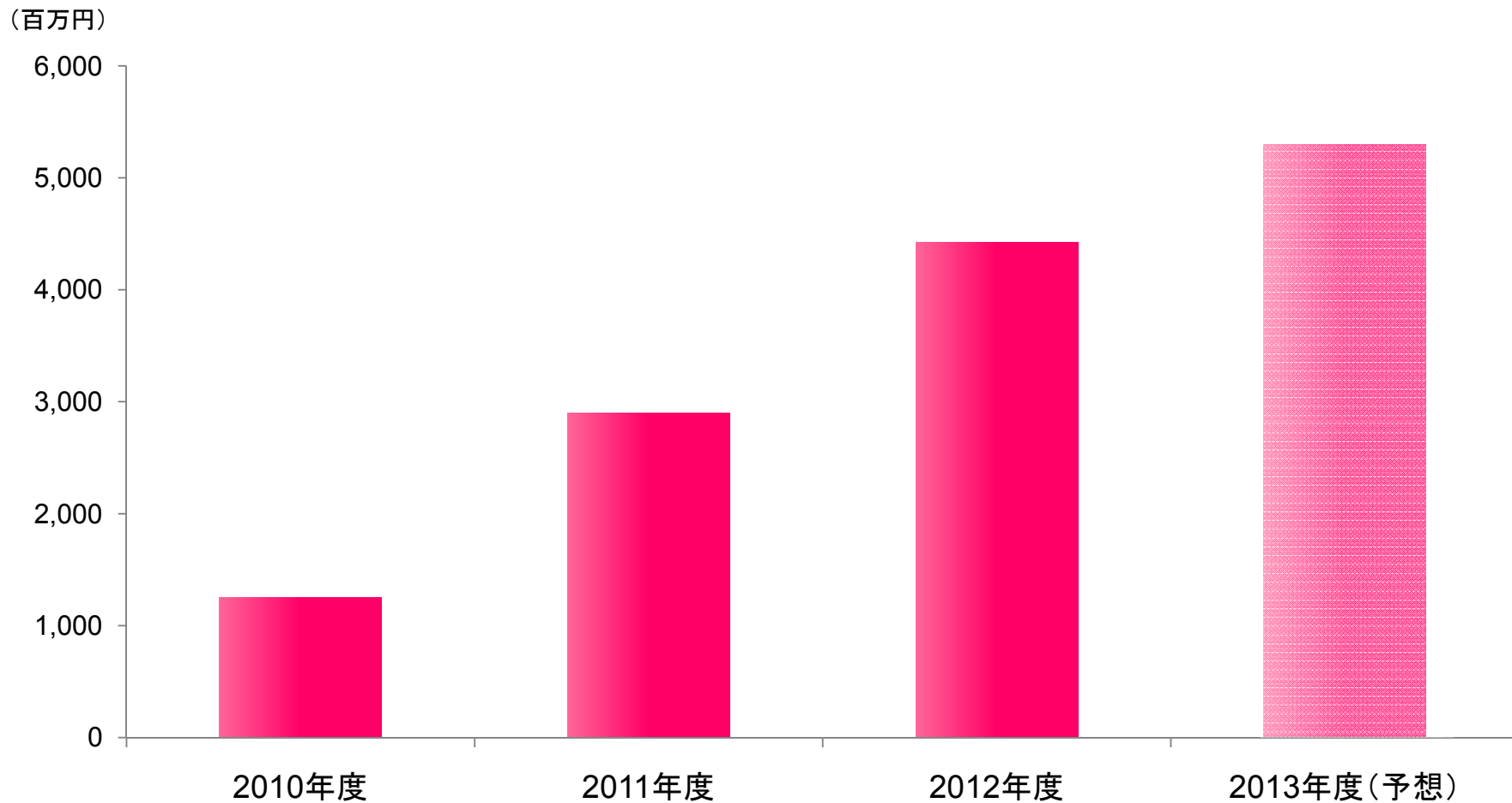
✓ 2010年5月に販売開始

* キッセイ薬品工業と
コ・プロモーション

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BS注JCR

■ エポエチンアルファBS注JCR売上高推移

(出典:キッセイ薬品 決算短信)



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BS注JCR

製剤ラインナップの拡充

■ 国内ESA市場



保存期・腹膜透析

高単位製剤の開発

2014年 上市目標



さらなる市場進出として、

海外展開・次世代治療薬開発も視野に入れる

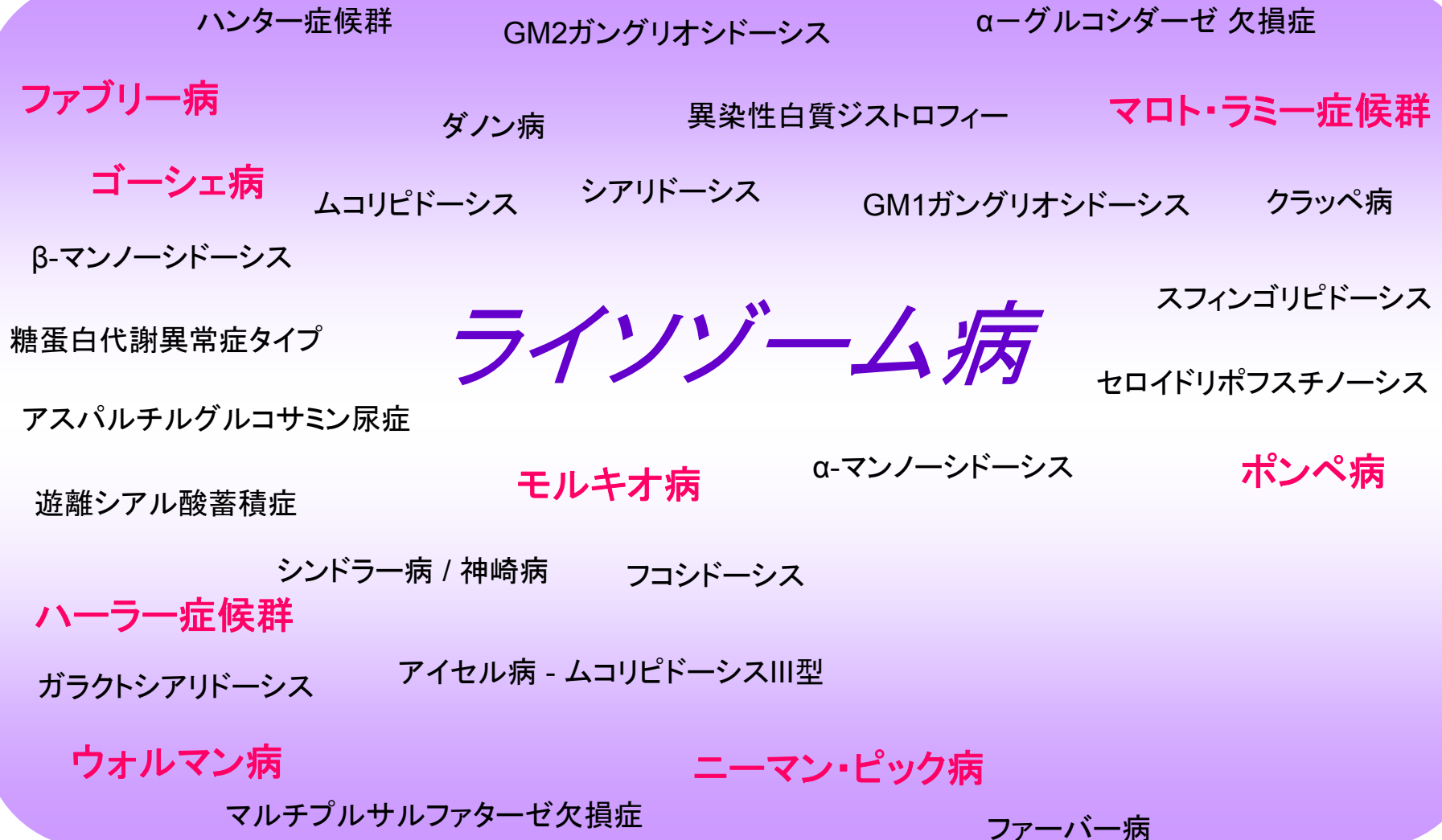


既存製品の拡販・今後の戦略



独自の技術を利用した
希少疾病治療薬の開発

ライソゾーム病治療薬の開発



ライソゾーム病治療薬の開発

ファブリー病治療薬：JR-051

ファブリー病

α -ガラクトシダーゼA酵素欠損

- (症状)
- ・ 腎不全・心不全
 - ・ 四肢疼痛
 - ・ 消化器症状
 - ・ 角膜混濁 など...

■ 市場規模(2012年)

- ・ 日本：**160億円**
- ・ グローバル：**800億円**

■ 先発品

Genzyme ファブラザイム

Shire リプレガル

開発スケジュール



COLLABORATION



✓ 2012年末：治験薬製造

✓ 2013年：FDA / EMEA / PMDA 相談

✓ 2013年秋：グローバル治験開始

ライソゾーム病治療薬の開発

独自のターゲティング技術

- ✓ 血液脳関門通過技術による
中枢神経症状の改善
- ✓ 標的化技術による
筋肉・骨への効率的なデリバリー
- ✓ 酵素－シャペロン技術による
障害臓器への効率的なデリバリー



独自技術を活用し
高付加価値の新薬を開発

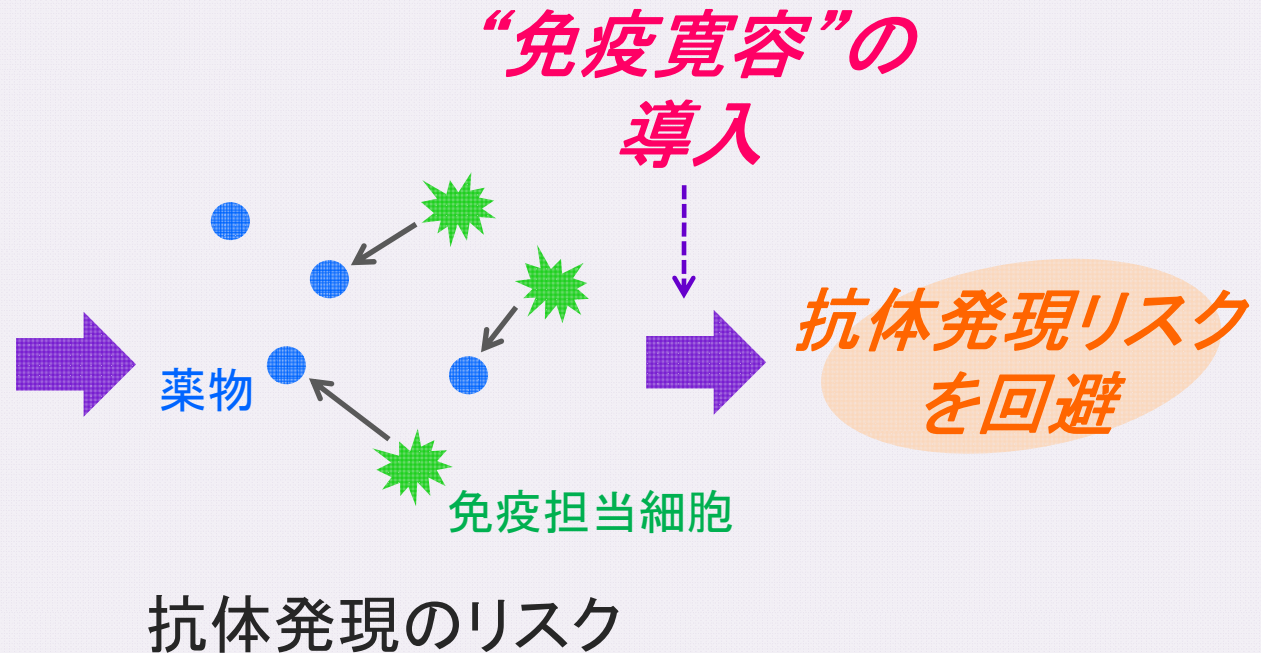
ライゾーム病治療薬の開発

免疫寛容 導入技術

酵素補充療法

隔週(または毎週)で
高用量の
酵素を点滴補充

0.5mg~20mg/kg



酵素補充療法の問題点を解決する技術も検討

ライソゾーム病治療薬の開発

新バイオ医薬製造施設

■ 神戸原薬工場

- ✓ グローバル品質保証体制
- ✓ GSKのノウハウ
- ✓ 2000Lバイオリアクター
最大3基収容

2013年5月に完成



世界基準の品質保証体制のもと、
JCRのバイオ医薬品をグローバル展開

ライソゾーム病治療薬の開発

関西イノベーション国際戦略総合特区の
計画事業として認定

- ✓ アライアンスによる研究開発
- ✓ 国際戦略事業としての評価



■ 研究所

2013年4月:
関西6自治体より認定

細胞・再生医療

間葉系幹細胞(MSC): JR-031

GVHD(移植片対宿主病):

- ・ 骨髄移植後の重篤な合併症
- ・ コントロールは困難、予後不良

■ MSCの特性

- ・ 骨髄由来幹細胞
- ・ 炎症部位に集積し、
免疫を調整

日本初の
他家細胞医薬品
ユニバーサル

開発の経緯

- ・ 2007年: 確認申請の指針適合確認
- ・ 2007年-2010年: 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)

細胞・再生医療

間葉系幹細胞 (MSC) : JR-031

ステロイド抵抗性の GVHD グレード III/IV (重症型)

- 第II/III相試験 症例エントリー終了

⇒ 重症例で、かつ標準治療に反応しない

患者においても、MSCの反応性が認められた

2014年:承認申請、2015年:上市を目指す

- 細胞医薬品特有の流通システム

⇒  メディパルの物流力を生かした、

MSCの配送システムを構築

細胞・再生医療

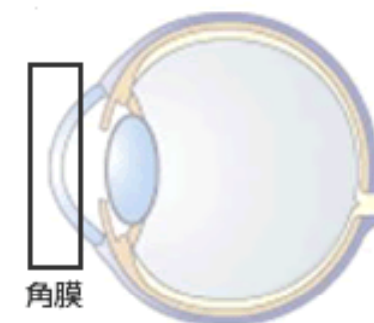
重症角膜疾患

角膜内皮細胞の培養技術の確立

- 適応症：水疱性角膜症 ▶ 有効な治療法が存在しない
難治性疾患

文部科学省採択プロジェクトに、
産学連携企業として参画

- ✓ 2013年3月：ヒト幹細胞を用いる
臨床研究に関する指針への適合性が承認
- ✓ 2013年10月：角膜内皮細胞治療の臨床研究を開始予定



世界初

角膜内皮再生医療の実用化を目指す

商号変更のお知らせ



- 新商号

JCRファーマ株式会社

JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.

(英文標記は、現行と変更ありません)

- 変更予定日

2014年1月1日





Thank you for your attention

研究開発状況



医薬品

開発番号(一般名)	開発段階	適応症	備考
JR-041 (遺伝子組換え卵胞刺激ホルモン)	臨床 第Ⅱ/Ⅲ相試験 準備中	不妊治療	完全無血清培養技術による生産 あすか製薬㈱へ導出
JR-013-sc (遺伝子組換えエリスロポエチン)	臨床 第Ⅰ相試験	腎性貧血、自己血貯血	高単位製剤 キッセイ薬品工業㈱と共同開発
JR-032 (遺伝子組換えイズロネート2スルファターゼ)	国際共同治験 準備中	ハンター症候群 (ライソゾーム病)	酵素補充療法 完全無血清培養技術による生産 グラクソ・スミスクライン・グループと共同開発
JR-051 (遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA)	国際共同治験 準備中	ファブリー病 (ライソゾーム病)	JR-051とミガラスト塩酸塩 (米アマカス・セラピューティクス社)との配合剤 グラクソ・スミスクライン・グループと共同開発
JR-121 (遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA +ミガラスト塩酸塩)	前臨床	ファブリー病 (ライソゾーム病)	JR-051とミガラスト塩酸塩 (米アマカス・セラピューティクス社)との配合剤 グラクソ・スミスクライン・グループと共同開発
JR-101 (遺伝子組換えグルコセレブロシダーゼ)	前臨床	ゴーシェ病 (ライソゾーム病)	酵素補充療法 完全無血清培養技術による生産 グラクソ・スミスクライン・グループと共同開発

細胞性医薬品

開発番号(利用細胞名)	開発段階	適応症	備考
JR-031 (ヒト間葉系幹細胞)	臨床 第Ⅱ/Ⅲ相試験	骨髄移植に代表される造血幹細胞 移植時の合併症である移植片対宿 主病(GVHD)の抑制	米国オサイリス社より技術導入 他家由来ヒト間葉系幹細胞の利用