



第40期 決算説明会

- JCR Biotech for a New Tomorrow -

2015年5月22日

JCRファーマ株式会社

【証券コード】4552

【問合せ先】経営戦略部 本多・北村

(TEL 0797-32-8591)

Copyright © JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.

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。

飛躍期

- ・ 高付加価値 組換え医薬品
 - 血液脳関門通過技術 -
 - “ J-Brain Cargo ”
 - 組織ターゲティング技術
- ・ 遺伝子治療

発展期 (現在)

- ・ 独自のタンパク質高発現システム
- ・ 再生医療等製品
- ・ 希少疾病用のバイオ医薬

JR-141
(血液脳関門通過型
イズロネート-2-
スルファターゼ)

JR-142
(持続型成長ホルモン)

JR-051
(ファブリー病)

JR-131
(ダルベポエチンBS)

2014年

- 日本初の再生医療等製品 -

JR-031
製造販売承認申請

2010年

- 国産初のバイオ後続品 -

エポエチンアルファBS注JCR発売



成長期

- ・ タンパク質高度精製技術
- ・ 組換え医薬品
 - 実用化スケールアップ
- ・ 糖鎖付加コントロール

・ 完全無血清培養技術の確立

1993年

- 唯一の国産GH製剤 -



グロウジェクト発売

1975年

生体由来製品発売
(ウロキナーゼ等)



■ 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 / 相試験	不妊治療	あすか製薬(株)へ導出
JR-051 (遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA)	臨床試験実施中	ファブリー病 (ライソゾーム病)	酵素補充療法 グラクソ・スミスクライン・グループと共同開発
JR-032 (遺伝子組換えイズロネート2スルファターゼ)	臨床試験準備中	ハンター症候群 (ライソゾーム病)	 
JR-131 (遺伝子組換えダルベポエチン)	前臨床	腎性貧血	キッセイ薬品工業(株)と共同開発
JR-101 (遺伝子組換えグルコセブロシダーゼ)	前臨床	ゴーシェ病 (ライソゾーム病)	酵素補充療法
JR-141 <i>NEW</i> (血液脳関門通過型遺伝子組換え イズロネート-2-スルファターゼ)	前臨床	ハンター症候群 (ライソゾーム病)	<ul style="list-style-type: none"> ・酵素補充療法 ・自社血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo」採用 ・CHO細胞高発現技術「J-MIG System」採用
JR-142 <i>NEW</i> (持続型遺伝子組換えソマトロピン)	前臨床	成長障害	<ul style="list-style-type: none"> ・持続型成長ホルモン製剤 ・CHO細胞高発現技術「J-MIG System」採用

■ 再生医療等製品

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)	申請中	造血幹細胞移植後の急性移植片対 宿主病(急性GVHD)	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

2013年10月オサイリス社がヒト間葉系幹細胞に関する権利をメゾプラスト社(豪)に譲渡したため、当社の保有する権利のライセンサーも同社に変わっております。

1. Hot Topics

2. R&D Pipeline

JR-141 : 血液脳関門通過型ハンター-症候群治療薬

■ 血液脳関門 (Blood Brain Barrier : BBB)

脳に対する薬剤開発の障壁



- 薬剤の約95%がBBBを通過しない
- 高分子たん白質の100%がBBBを通過しない



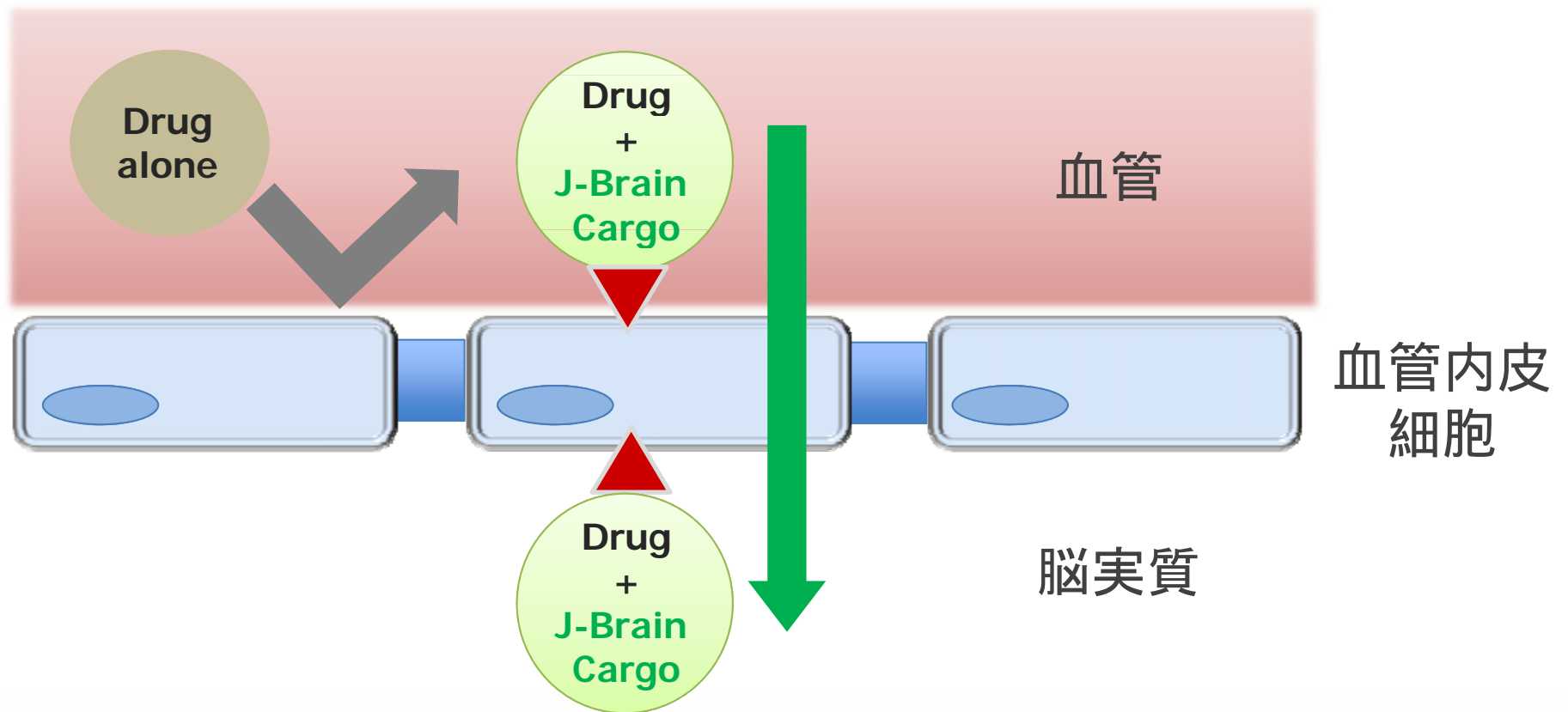
EMBO Molecular Medicine, 5, 655–657, 2013

Aesthetic Medical Practitioner

血液脳関門通過技術は、脳疾患治療の道を開く

J-Brain Cargo

JCR独自の血液脳関門通過技術



ハンター症候群 (ムコ多糖症II型)

- 病因 : イズロン酸サルファターゼ酵素活性低下による
グルコサミノグルカンの蓄積
- 遺伝形式 : X連鎖劣性遺伝
- 患者数* : 270名 (日本)、1,300名 (世界) *当社調べ
- 症状
 - 骨 : 特徴的顔貌、骨格変形、関節拘縮
 - 成長 : 成長障害 (低身長)
 - 心臓 : 弁膜肥厚
 - 呼吸器 : 気道狭窄、反復感染
 - 軟組織 : 厚い皮膚、多毛、巨舌
 - 肝臓 : 肝臓肥大
 - 中枢神経 : 中枢神経障害

ハンター症候群 (ムコ多糖症II型)

- 現在の薬物治療 (酵素補充療法) の問題点

BBBを通過せず、中枢神経症状に効果がない

JR-141

血液脳関門通過型ハンター症候群治療薬

2016年度内の臨床試験開始を目指す

J-Brain Cargo

「BBBを通過する特別な薬剤」ではなく、
「薬剤にBBB通過性を与える」技術

低分子から酵素、抗体といった高分子にまで応用可能



種々の中枢神経疾患へ適応できる可能性大

アルツハイマー病

パーキンソン病

多発性硬化症

脳腫瘍

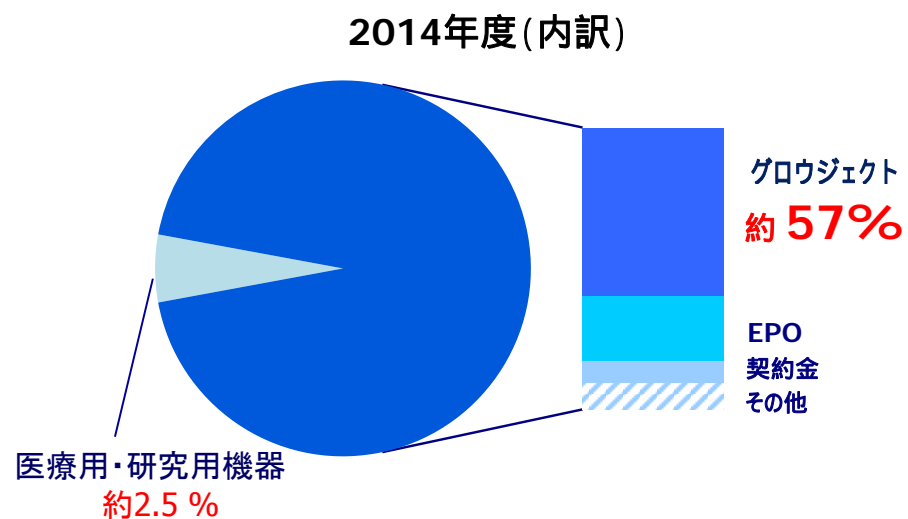
など...

JR-142：持続型成長ホルモン製剤

■ 当社の売上推移と内訳



(事業年度: 4月1日から翌年3月31日)



成長ホルモン事業の重要性

■ 日本における成長ホルモン市場の現状

➤ 市場規模(2014年)：約700億円と推定(薬価基準ベース)
(対前年推定成長率:約5%)

➤ 競合製品および適応症比較



Marketer	Novo Nordisk	Pfizer	Eli Lilly	Merck Serono (Fujifilm Pharma)	Sandoz**	JCR
市場シェア(推定)	36%	30%	14%	1%	1%	18%
* 適応症	成長ホルモン 分泌不全性低身長症	✓	✓	✓	✓	✓
	成人成長ホルモン 分泌不全症	✓	✓	✓	✓	✓
	ターナー症候群	✓	✓	✓		✓
	SGA性低身長症	✓	✓		✓	✓
	プラダー・ウィリー症候群		✓		✓	
	慢性腎不全		✓		✓	
	軟骨異栄養症	✓		✓		

* 成人成長ホルモン分泌不全症を除き、骨端線閉鎖を伴わないこと

** ファイザーのバイオ後続品

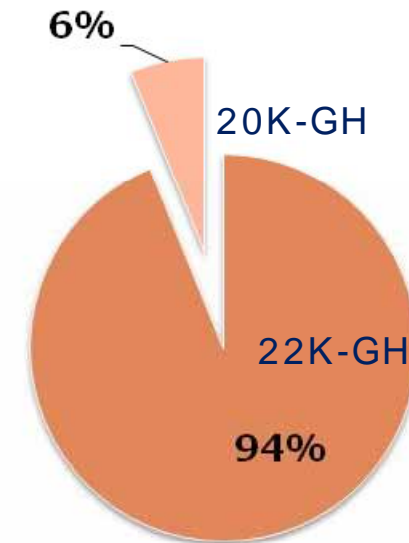
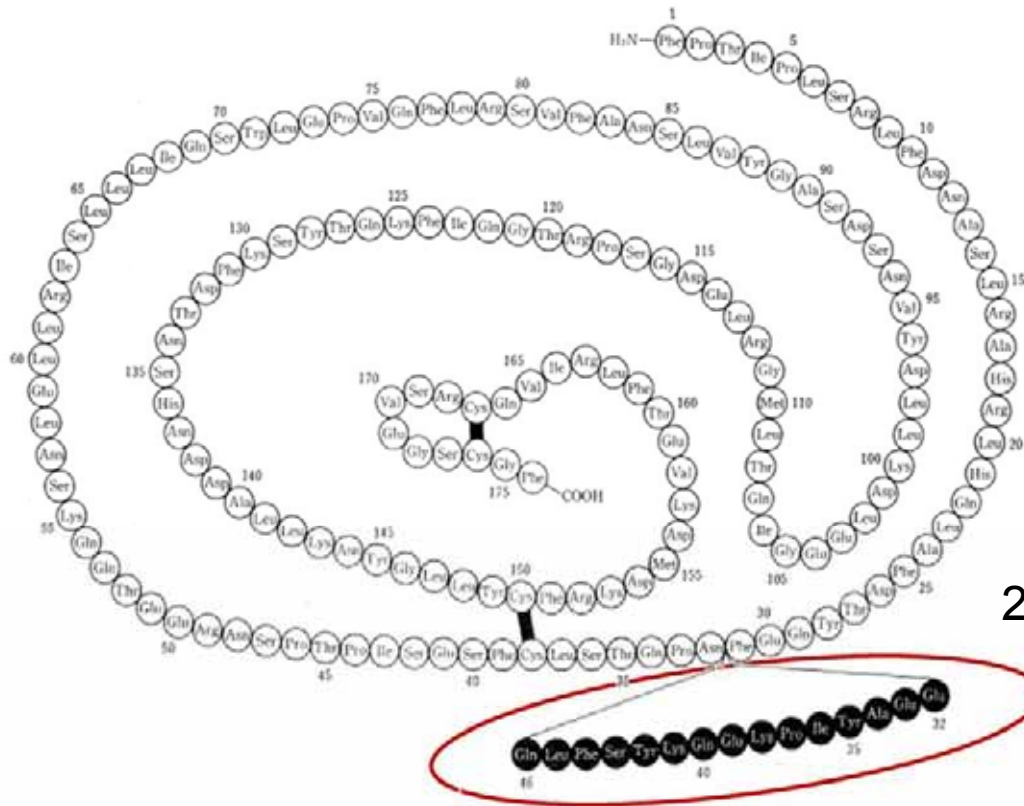
■ 持続型成長ホルモン製剤の他社開発状況*

(各社公表資料より)

開発会社	開発コード	開発ステージ
Novo Nordisk A/S	NNC0195-0092	Phase III in 2015
Teva Pharmaceutical Industries Ltd.	TV-1106	Phase II in 2014
Pfizer, Inc.	MOD-4023	Phase II in 2013
Versartis, Inc.	VRS-317	Phase II/III in 2015

*この表は全ての他社開発状況を掲載していません

JR-142 : 持続型成長ホルモン製剤 (20K-GH HSA Fusion Protein)



20K-GH: アミノ酸残基 (E32-Q46) が欠失している派性形成長ホルモン (分子量: 約20000)

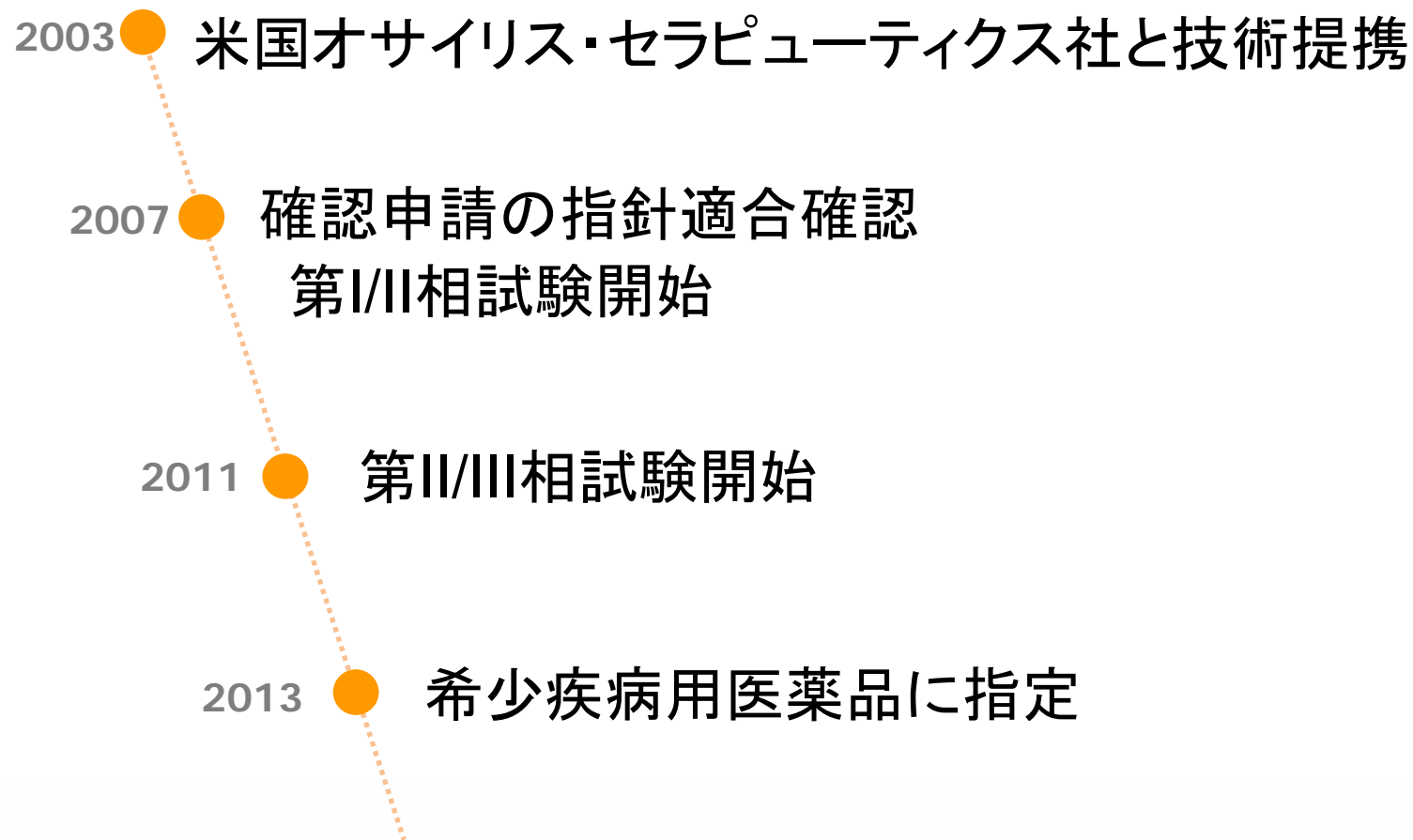
2017年度中の臨床試験開始を目指す

1. Hot Topics

2. R&D Pipeline

JR-031 : ヒト間葉系幹細胞 (MSCs)

■ 開発経緯



JR-031 : ヒト間葉系幹細胞 (MSCs)

2014 ● 9月26日 : 製造販売承認申請

適応症 : 造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病

日本初の再生医療等製品
(他家の間葉系幹細胞を用いて開発)

■ MSCの特性

骨髄由来
間葉系幹細胞

低免疫原性

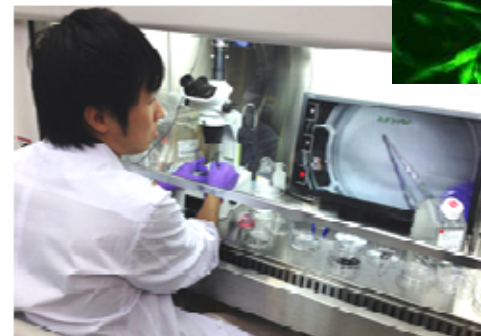
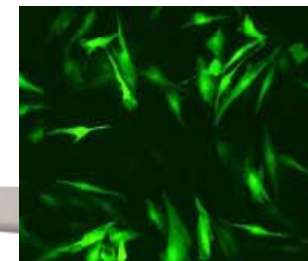
細胞性免疫を
抑制的に調整

GVHDや自己免疫疾患など、
免疫の関与する疾患に臨床応用できる可能性が有る

JR-031 : ヒト間葉系幹細胞 (MSCs)

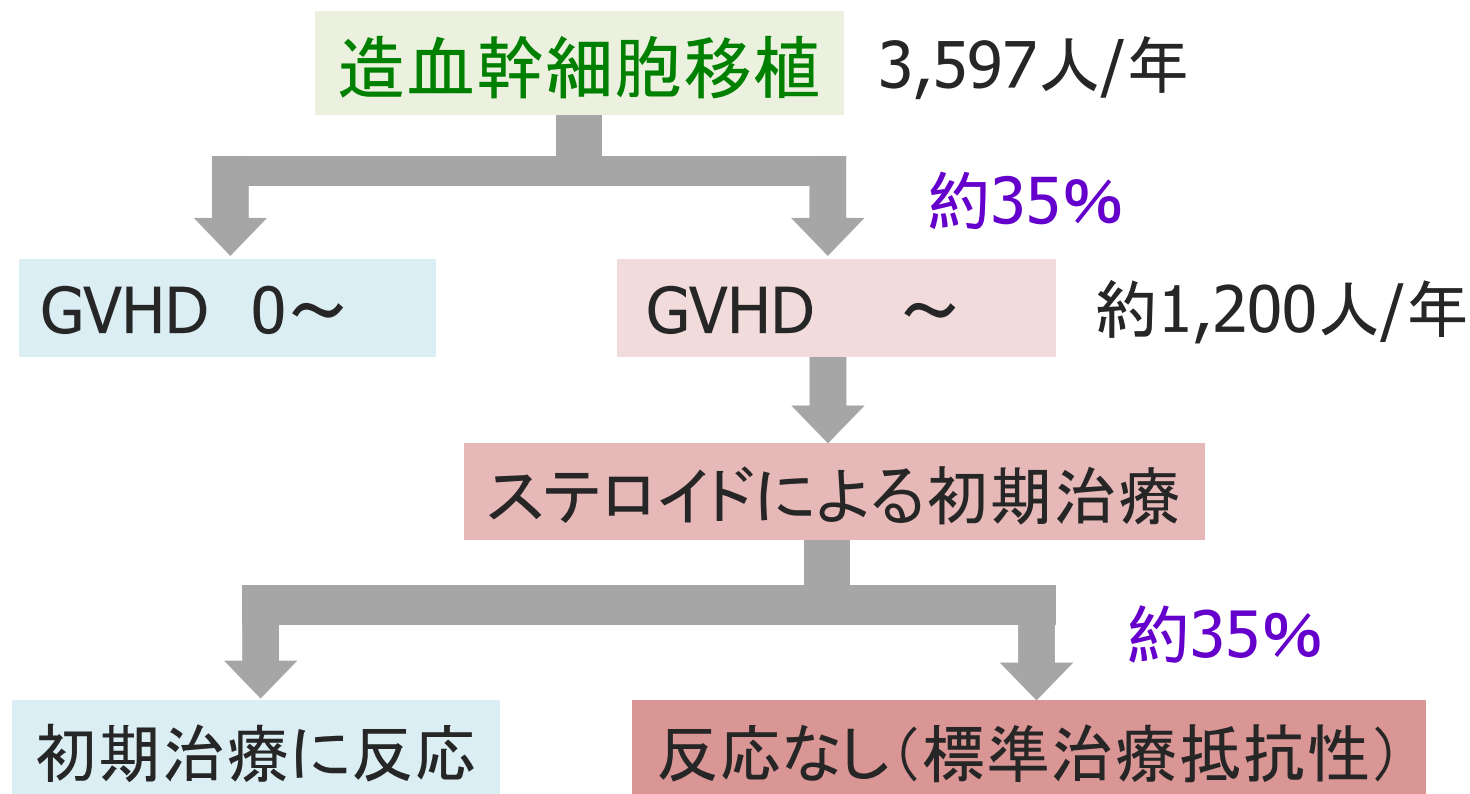
■ 開発経緯

- 2003 ● 米国オサイリス・セラピューティクス社と技術提携
- 2007 ● 確認申請の指針適合確認
第I/II相試験開始
- 2011 ● 第II/III相試験開始
- 2013 ● 希少疾病用医薬品に指定
- 2014 ● 製造販売承認申請
- 2015 ● 製造販売承認取得(予定)



JR-031 : ヒト間葉系幹細胞 (MSCs)

■ MSC治療の市場規模



(MSC治療対象患者数) **推定最大約440人/年**

参考: 日本造血細胞移植学会2012年度全国調査報告書

JR-031 : ヒト間葉系幹細胞 (MSCs)

■ 製造体制

最新鋭の設備を導入

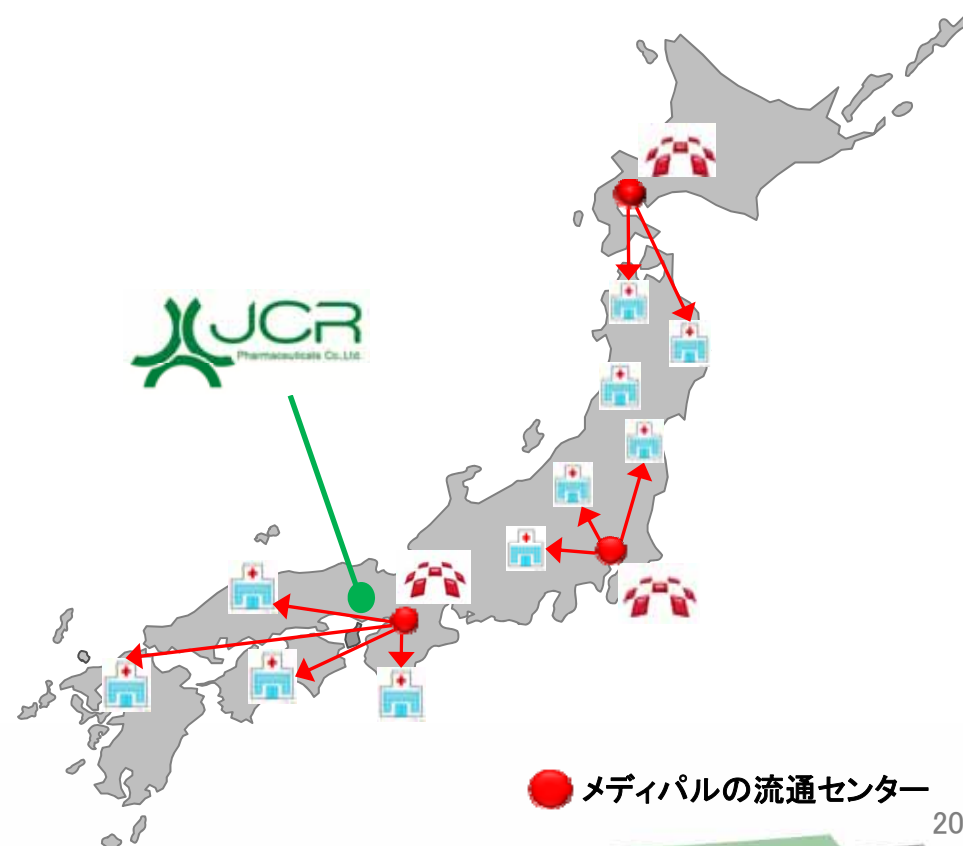
世界最大級のインキュベーター20台を保有

西神工場
(神戸市西区)



■ 流通体制

メディカルホールディングスと共同で
超低温(-130 以下)流通配送システムを確立



JR-051 : ファブリー病治療薬

「ファブラザイム」バイオ後続品 (α -galactosidase A)

- 病因 : α ガラクトシダーゼ欠損による
グロボトリアオシルセラミド (GL-3) の蓄積
- 遺伝形式 : X連鎖劣性遺伝
- 患者数* : 300名 (日本)、8,000名 (世界) *当社調べ
- 症状
 - 皮膚 : 被角血管腫、下肢のリンパ浮腫
 - 循環器 : 心筋肥大、弁膜症、不整脈
 - 眼 : 角膜混濁
 - 消化器 : 腹痛、下痢、虚血性腸炎
 - 腎臓 : 腎不全、蛋白尿
 - 神経 : 四肢疼痛、低汗症

JR-051 : ファブリー病治療薬

「ファブラザイム」バイオ後続品 (α -galactosidase A)

■ 市場規模(日本) 当社調べ

約190億円 (2014年度)

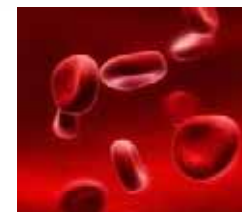
- ファブラザイム (Genzyme社) : 約80億円
- リプレガル (大日本住友製薬) : 約110億円

現在、臨床試験実施中(2015年2月～)

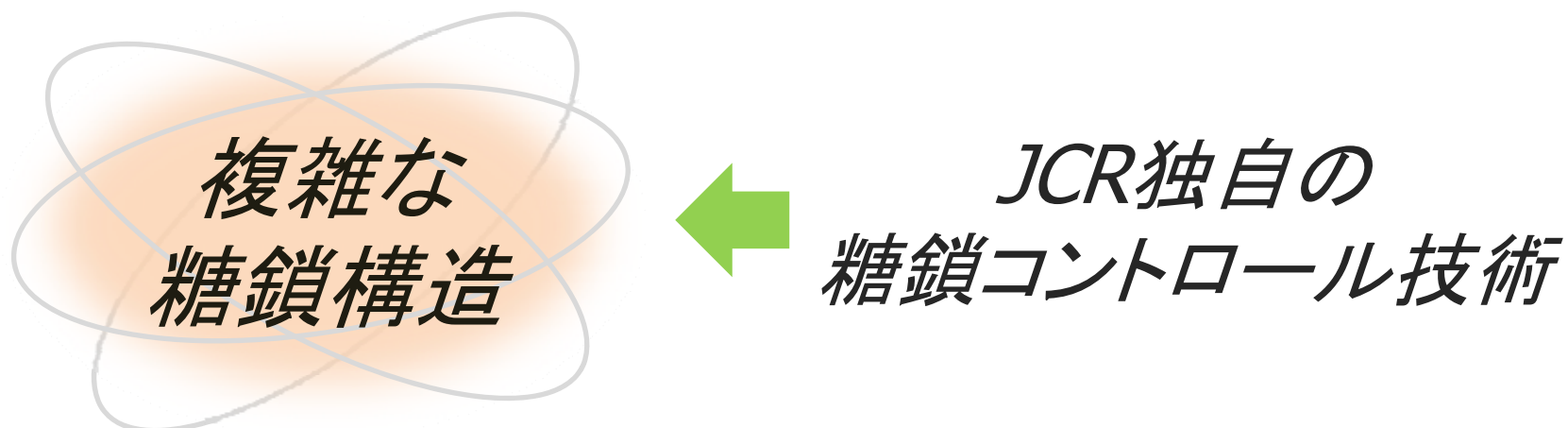
2017年度の申請を目指す



JR-131 : 持続型赤血球造血刺激因子製剤 「ネスプ」バイオ後続品 (Darbepoetin alfa)



- 2013年9月 : キッセイ薬品工業と共同研究開発契約を締結

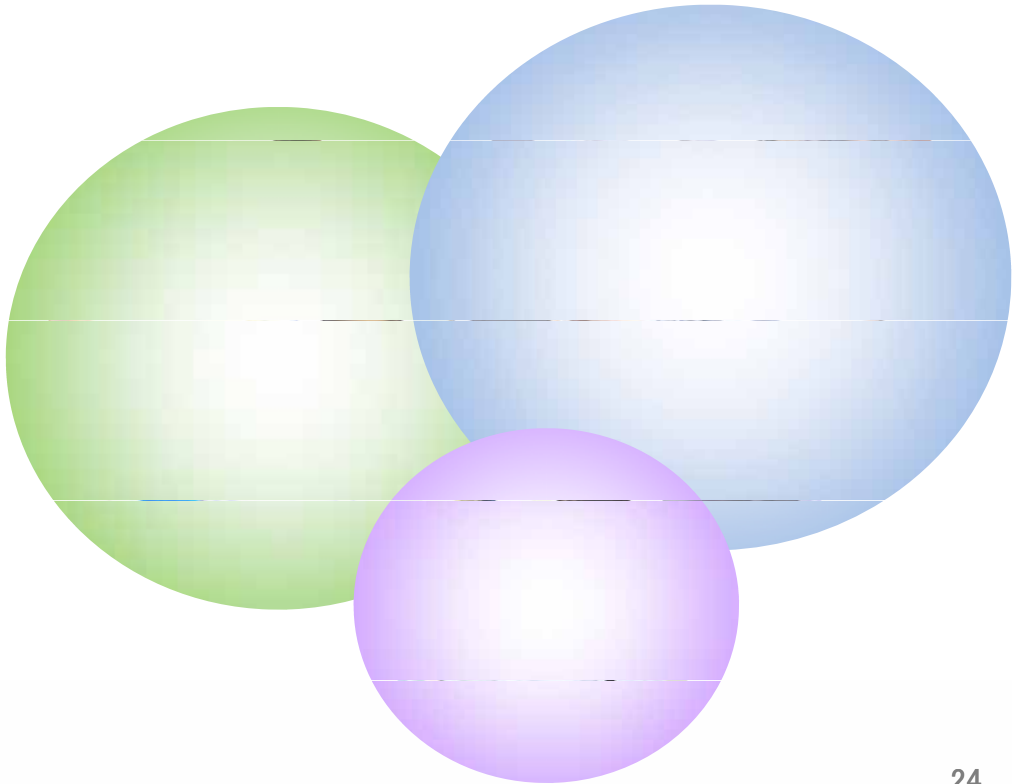


持続型製剤市場に参入し、
透析に関連する貧血治療薬領域でのプレゼンスを確立

2018年度の申請を目指す

JCRの独自技術で、新たな未来を切り拓く

主要製品のポートフォリオ強化

- 希少疾病治療研究の加速
 - JCRのプラットフォーム技術の応用拡大
 - 細胞/再生医療の取り組み強化
- 

Thank you for your attention.



– JCR Biotech for a New Tomorrow –