

中間決算説明会

2014年11月7日

JCRファーマ 株式会社



【証券コード】4552

【問合せ先】経営支援本部 経営戦略部 伊藤・北村

TEL 0797-32-8591

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

- ・再生医療
- ・希少疾病用バイオ医薬
- ・遺伝子治療

発展期(現在)

- ・高付加価値 組換え医薬品
 - BBB通過技術
 - 組織ターゲティング
- ・角膜 再生医療
- ・独自の蛋白質高発現システム

20XX年

- ライソゾーム病領域でのプレゼンス確立 -

JR-051
(ファブリー病)

JR-032
(ハンター症候群)

成長期

- ・蛋白質高度精製技術
- ・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

2014年

- 日本初の細胞性医薬品 -
JR-031
製造販売承認申請

- ESA領域でのプレゼンス確立 -
JR-131 (ダルベポエチンBS)

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

1993年

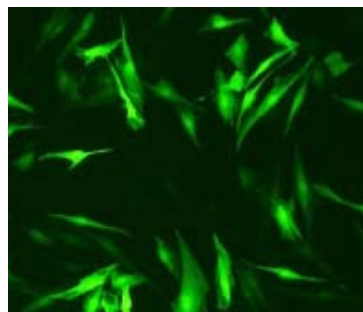
- 唯一の国産GH製剤 -
グロウジェクト発売

1975年

生体由来製品発売
(ウロキナーゼ等)



間葉系幹細胞 (MSC)



9月26日：日本初の細胞性医薬品 (JR-031)
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 (GVHD)

■ MSCの特性

日本初の他家細胞性医薬品

通常の医薬品と同様、不特定多数の患者に投与が可能

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

間葉系幹細胞 (MSC)

■ 製造体制

最新鋭の設備を導入

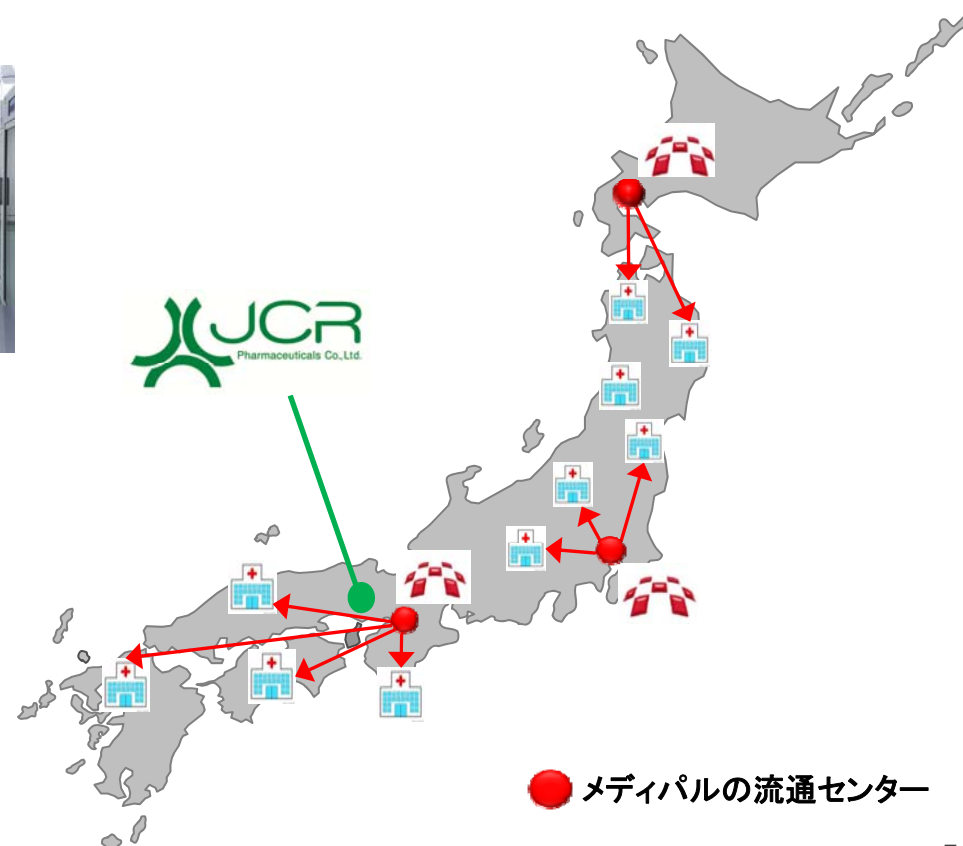
世界最大のインキュベーター20台を保有

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°C以下) 流通配送システムを確立



ファブリー病治療薬 (JR-051)

■ 開発スケジュール



日本を先行し、バイオ後続品として開発

2014年度に治験開始、2017年度に申請予定

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】 2013年(当社調べ)

- ・ 日本 : 170億円 ・ 世界 : 1,060億円

JCRの新規研究テーマの進捗

独自の組織ターゲティング技術
- 血液脳関門(BBB)通過技術

再生医療(角膜内皮及び上皮)

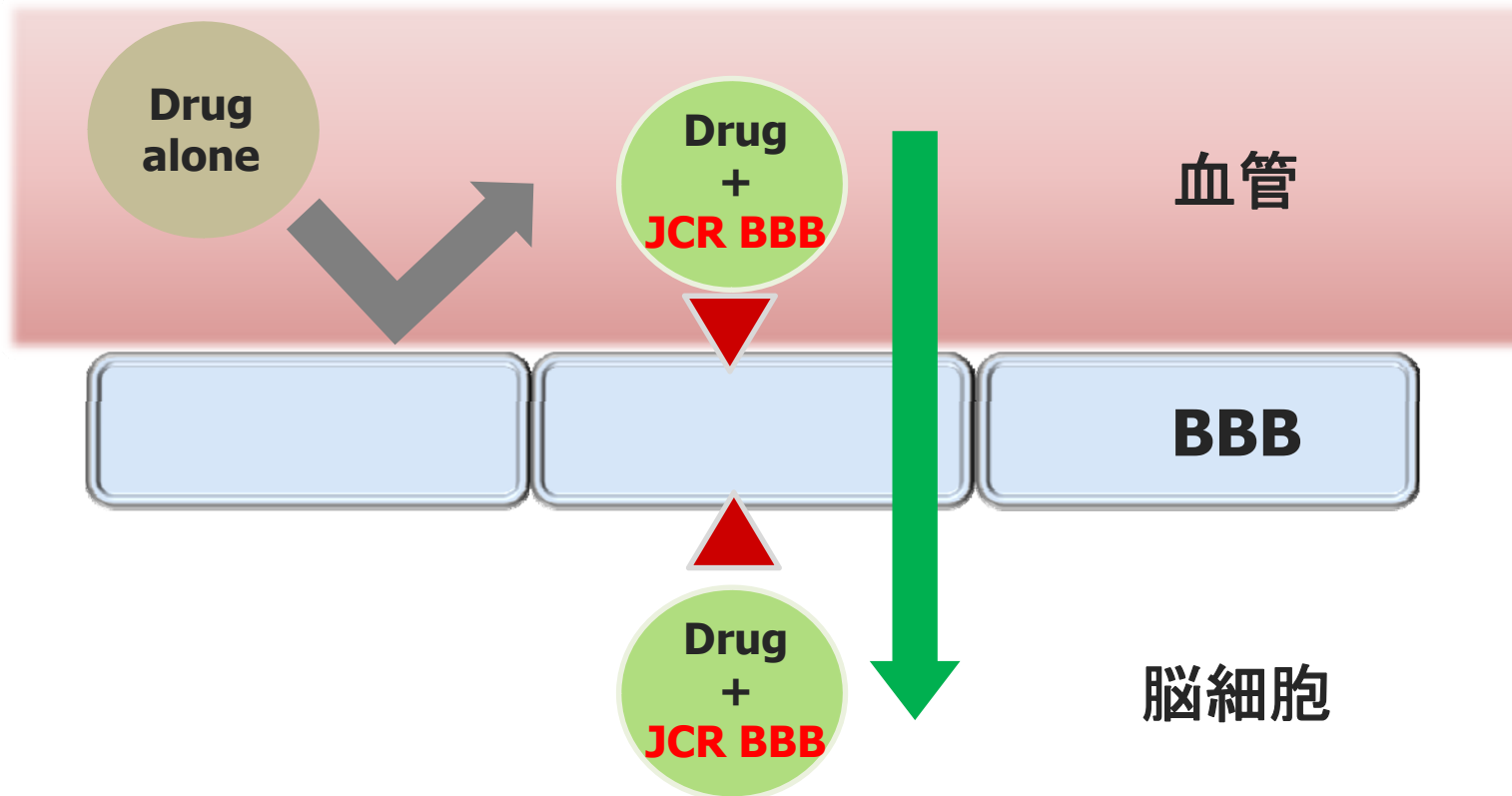
血液脳関門 (Blood Brain Barrier: BBB) 通過技術

脳に対する薬剤開発の障壁



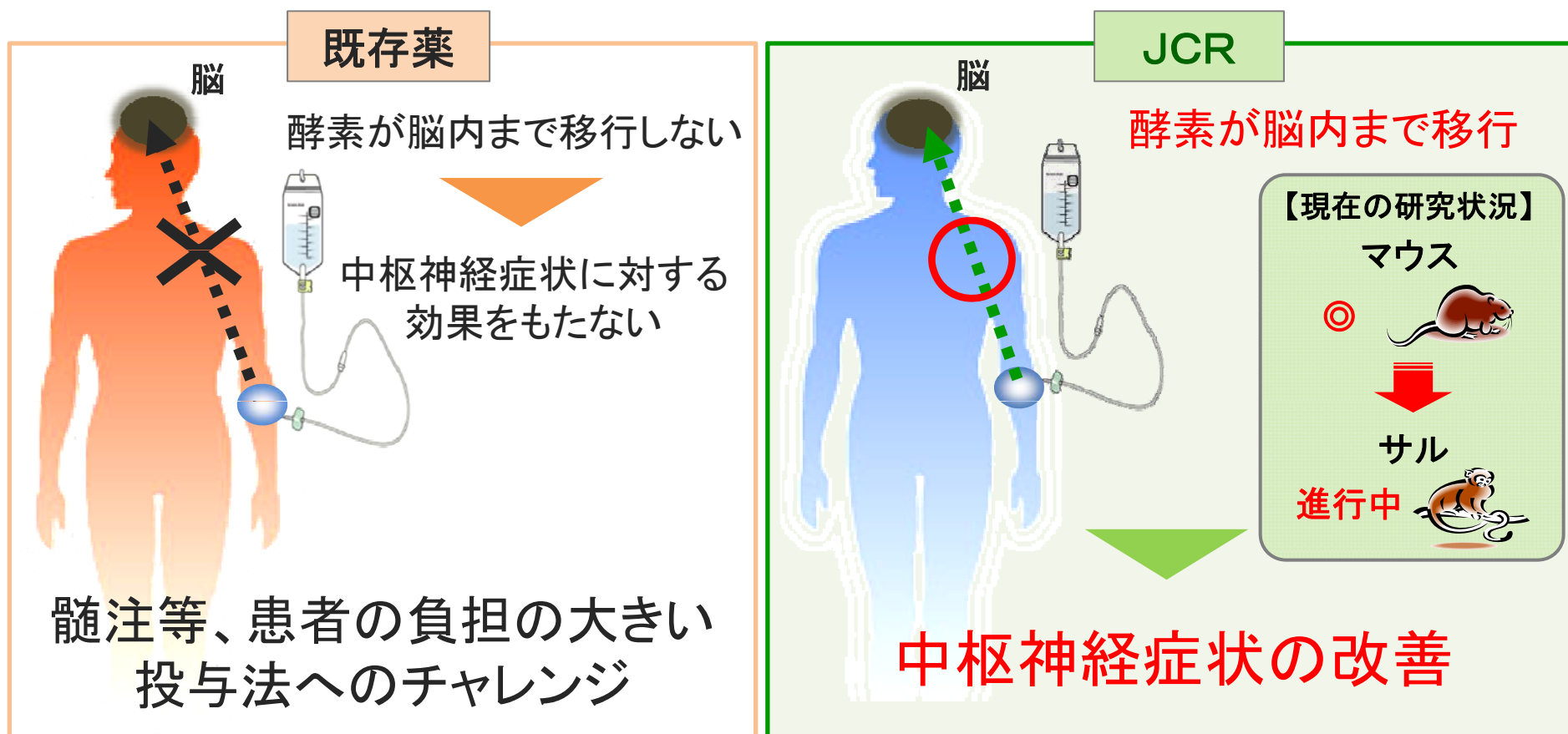
- 薬剤の約95%がBBBを通過しない
- 高分子たん白質の100%がBBBを通過しない

■ JCRのBBB通過技術を活用した
脳へのドラッグデリバリー



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 ゴーシェ病 ニーマンピック病 クラッペ病



他の組織ターゲティングにも応用できる可能性

ポンペ病

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%

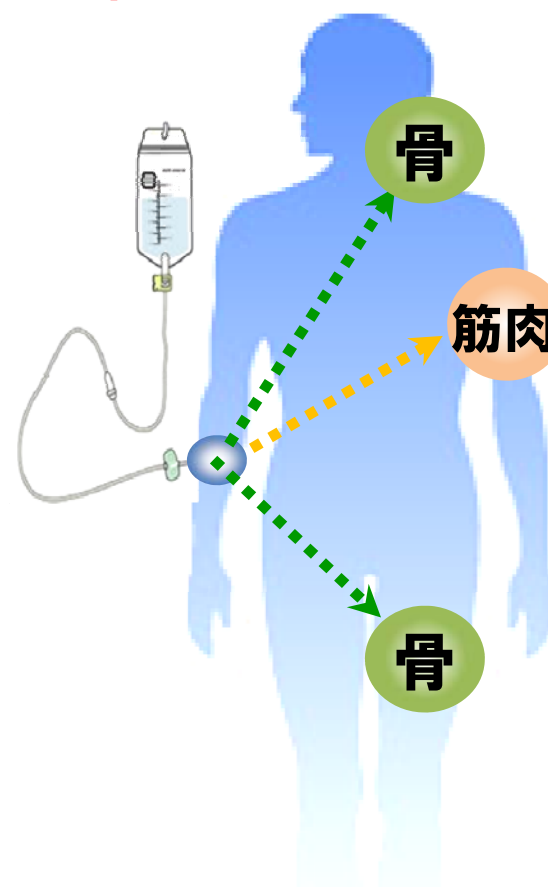
モルキオ症候群

骨への影響

- ・頸椎の病変
- ・四肢や背中の変形

効率的に

薬を筋肉・骨へ運ぶ



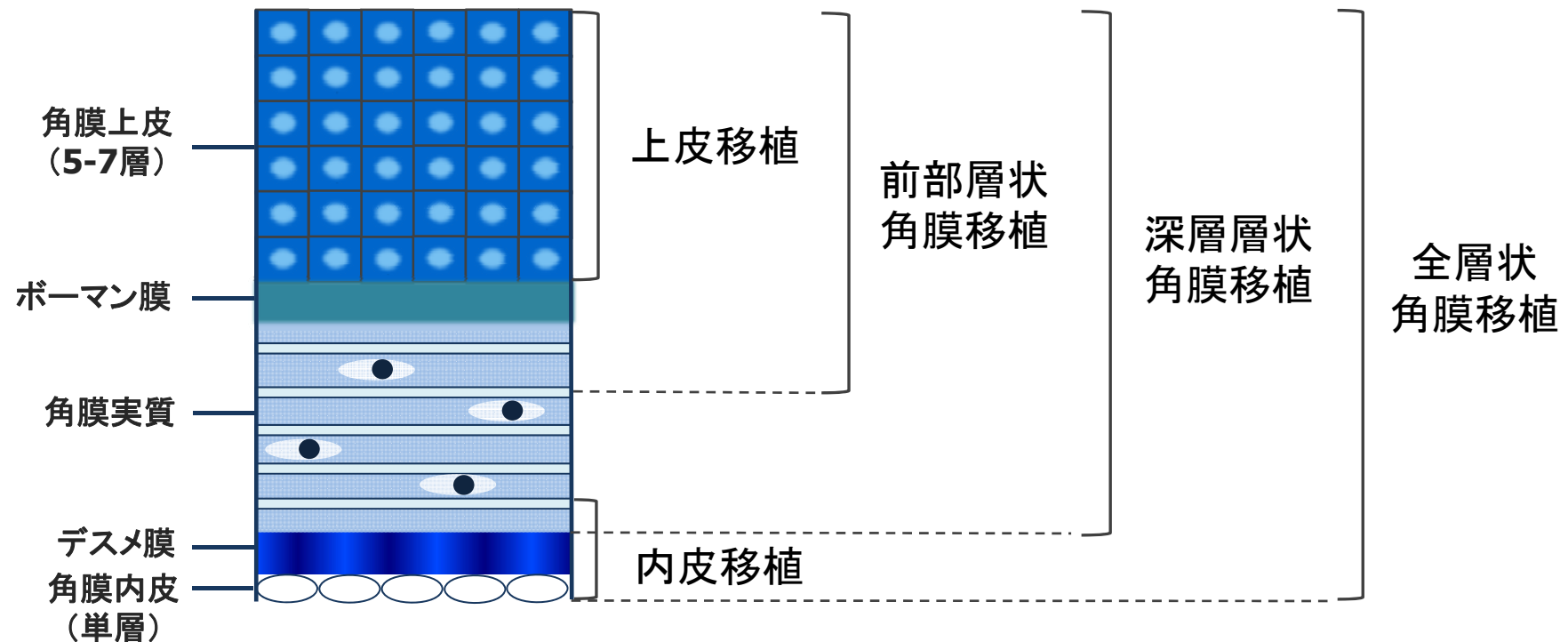
JCRの新規研究テーマの進捗

独自の組織ターゲティング技術
- 血液脳関門(BBB)通過技術

再生医療(角膜内皮及び上皮)

再生医療(角膜内皮・上皮)

■ 角膜の組織学的構造と角膜移植の種類



■ 角膜内皮細胞の培養技術の確立

【適応症】

水疱性角膜症

角膜が混濁し失明に至る疾患であり、
現在有効な治療法が存在せず、唯一の治療法は角膜移植

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12月：角膜内皮細胞治療の
医師主導臨床研究を開始

世界初

角膜内皮再生医療の実用化を目指す

■ 角膜上皮細胞のシート化技術の確立

重度の角膜上皮の障害

- ・ 外傷性
- ・ 感染性
- ・ コンタクトレンズ
- ・ 薬剤性

角膜上皮細胞シートの開発

5～7層の組織を忠実に再現



2眼から最大38枚の外皮シートの生成に成功

その他のJCRの新規研究テーマ

「**modified-IRES-GS系CHO細胞高発現システム**」

2014年9月に米国で開催された

IBC's 10th Annual Cell Line Development & Engineeringにおいて

ポスター発表し、**1st-prize**を獲得

高収率
High-yield

高品質
High-quality



高効率
High-efficiency

独自の**高発現技術**を現在開発中の品目、
または**将来の品目**に活用

今後の学会発表予定

発表年月	学会名	分類
2014年11月	JAACT2014 Kitakyushu wide-spread cell engineering world	高発現 Dnase-I
2014年11月	第56回 日本先天代謝異常学会総会	ライソゾーム病
2014年11月	アジア細胞治療学会	角膜上皮
2015年2月	Lysosomal Disease Network (LDN) 11 th Annual WORLD Symposium 2015	ライソゾーム病
2015年2月	角膜カンファレンス	角膜上皮
2015年3月	日本再生医療学会	角膜上皮

■ 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 I / II 相試験	不妊治療	完全無血清培養技術による生産 あすか製薬(株)へ導出
JR-131 (遺伝子組換えダルベポエチン)	前臨床	腎性貧血	完全無血清培養技術による生産 キッセイ薬品工業(株)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)	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)	臨床試験準備中	ファブリー病 (ライソゾーム病)	
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

■ 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)	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。



JCRの独自技術で、新たな未来を切り拓く

細胞性医薬品
の可能性拡大
の検討

希少疾病治療
研究の加速

再生医療への
取り組み

Thank you for your attention



- JCR Biotech for a New Tomorrow -

- 設立 : 1975年9月13日
芦田 信 (現代表取締役会長兼社長)
- 本社 : 兵庫県芦屋市春日町3番19号
- 上場証券取引所 : 東京証券取引所市場第1部
- 証券コード : 4552
- 主な事業内容 : 医薬品およびその原料の製造、売買ならびに輸出入
医療用機器および実験用機器の売買ならびに輸出入
- 疾患ターゲット : 希少疾病用医薬品
- 研究開発テーマ : バイオ医薬品
- 子会社 : 株式会社ファミリーヘルスレンタル
株式会社クロマテック
株式会社JCRエンジニアリング
河北杰希生物製品有限公司(中国)

1975年 日本ケミカルリサーチ株式会社設立

1976年 ヒト尿由来ウロキナーゼ製造開始

1977年 研究所竣工（神戸市東灘区）

1993年 遺伝子組換えヒト成長ホルモン製剤
「グロウジェクト注4IU」の製造販売承認取得
研究所を拡張移転（神戸市西区）

2000年 神戸工場開設（神戸市西区）

2003年 米国オサイリス・セラピューティクス社と
MSC(ヒト間葉系幹細胞)の技術提携契約締結

2008年 室谷工場開設（神戸市西区）

2009年 グラクソ・スミスクライングループとバイオ医薬品に関する
包括的契約締結

2010年 腎性貧血治療薬「エポエチンアルファBS注JCR」製造販売承認取得
神戸工場新棟開設

2013年 神戸原薬工場開設（神戸市西区）
キッセイ薬品とダルベポエチンバイオシミラーに関する

2014年 **JCRファーマ株式会社へ社名変更** 共同研究開発契約締結
グラクソ・スミスクライングループと研究支援契約締結

● 8拠点の事務所で営業活動を実施

【MR数】 32名(2008年度) ⇒ **88名**(2013年度)

