



# 第41期 決算説明会 (研究開発)

2016年5月20日

JCRファーマ株式会社

【証券コード】4552

【問合せ先】経営企画本部 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® ”
  - 改変型アルブミンを用いた技術
  - 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**  
「ファブラザイム」  
バイオ後続品

**JR-131**  
「ネスプ」バイオ  
後続品

## 成長期

- ・ 完全無血清培養技術の確立

2016年

- ・ 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

- 日本初の他家由来 再生医療等製品 -

テムセル®HS注  
発売



2010年

- 国産初のバイオ後続品 -

エポイチンアルファ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)



開発番号（品目名）	開発段階	適応症	備 考
<b>JR-041</b> (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	あすか製薬(株)へ導出
<b>JR-051</b> (遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA)	臨床 第 II / III 相試験	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
<b>JR-032</b> (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)	 
<b>JR-131</b> (遺伝子組換えダルベポエチン)	臨床 第 I 相試験	腎性貧血	キッセイ薬品工業(株)と共同開発
<b>JR-101</b> (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 ・糖鎖コントロール技術「J-GlycoM®」採用
<b>JR-141</b> (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)	・酵素補充療法 ・血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」採用
<b>JR-142</b> (持続型遺伝子組換え成長ホルモン)	前臨床	成長障害	・持続型成長ホルモン製剤 ・改変型アルブミンを用いた技術 ・CHO細胞高発現技術「J-MIG System®」採用

# 1. JCR Proprietary Technologies

## 2. R&D Pipeline

長年培ってきた  
遺伝子組換え技術

バイオ医薬品開発の  
経験から得た技術

高機能モノクローナル抗体  
創製技術  
J-Mab System<sup>®</sup>

CHO細胞高発現技術  
J-MIG System<sup>®</sup>

糖鎖コントロール技術  
J-GlycoM<sup>®</sup> J-GlycoS<sup>®</sup>

技術プラットフォーム

完全無血清培養技術

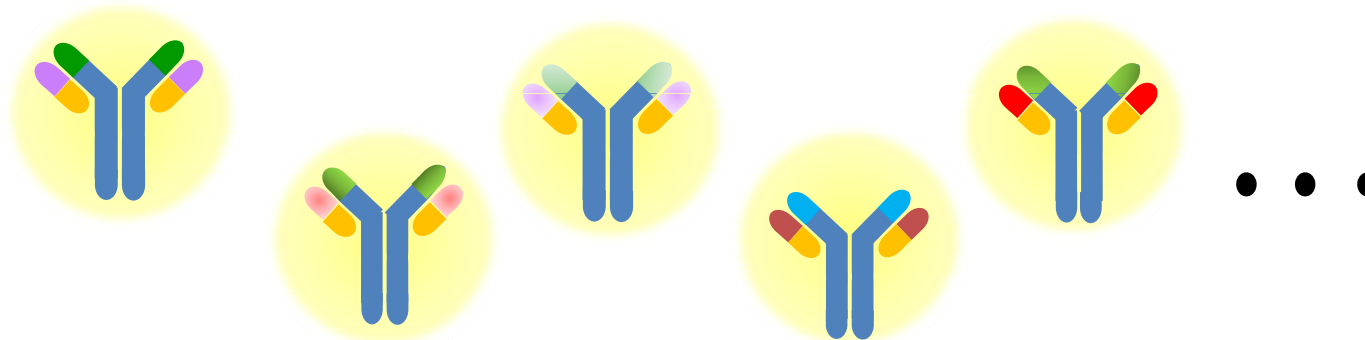
シングルユース  
バイオリアクター

生産プラットフォーム

# 高機能モノクローナル抗体創製技術 J-Mab System<sup>®</sup>

特許出願済

- ✓ 最適化された免疫プロトコール
- ✓ 免疫原性の弱い抗原に対しても高い親和性
- ✓ JCR独自のハイスループットスクリーニング系
- ✓ 抗体工学のノウハウ、実績



# CHO細胞高発現技術 J-MIG System<sup>®</sup> 特許出願済

CHO細胞に導入した目的遺伝子を選択的に強く増幅させ、  
遺伝子組換えタンパク質を効率よく発現させることに成功

**modified-IRES-GS系**

薬剤耐性遺伝子と共に、目的遺伝子とGS遺伝子を改変型内部リボソーム  
進入部位(modified-IRES)で連結させた新規発現ベクターシステム

2014年9月、米国で開催されたIBC's 10th Annual Cell Line  
Development & Engineeringにおいて、1<sup>st</sup>-prizeを獲得

## 糖鎖コントロール技術

特許出願済

### J-GlycoM<sup>®</sup>

昆虫由来の糖鎖トリミング酵素をCHO細胞に導入することで、全ての糖鎖が高マンノース型となった糖タンパク質を発現させる技術

### J-GlycoS<sup>®</sup>

培地成分として、ヘキソサミン生合成およびシアル酸付加に関わる複数の生体内物質を添加することにより、高度にシアル酸修飾された糖タンパク質を発現させる技術

高収率  
高品質  
高効率

下記技術を活用し、  
他社との差別化を図る

高機能モノクローナル抗体  
創製技術  
J-Mab System®

CHO細胞高発現技術  
J-MIG System®

糖鎖コントロール技術  
J-GlycoM® J-GlycoS®

技術プラットフォーム

完全無血清培養技術

シングルユース  
バイリアクター

生産プラットフォーム

# 1. JCR Proprietary Technologies

## 2. R&D Pipeline

## ■ 血液脳関門 (Blood Brain Barrier : BBB)

### 脳に対する薬剤開発の障壁



- 低分子薬剤の約95%がBBBを通過しない
- タンパク質製剤の約100%がBBBを通過しない

Crossing the final frontier, the blood brain barrier

Posted on December 11, 2014 by Michelle Kearney

*DRUG DELIVERY ACROSS THE BLOOD-BRAIN BARRIER COULD CHANGE THE PARADIGM FOR TREATING BRAIN DISORDERS.*

Aesthetic Medical Practitioner

Closeup  
Crossing the blood-brain barrier



EMBO  
Molecular Medicine

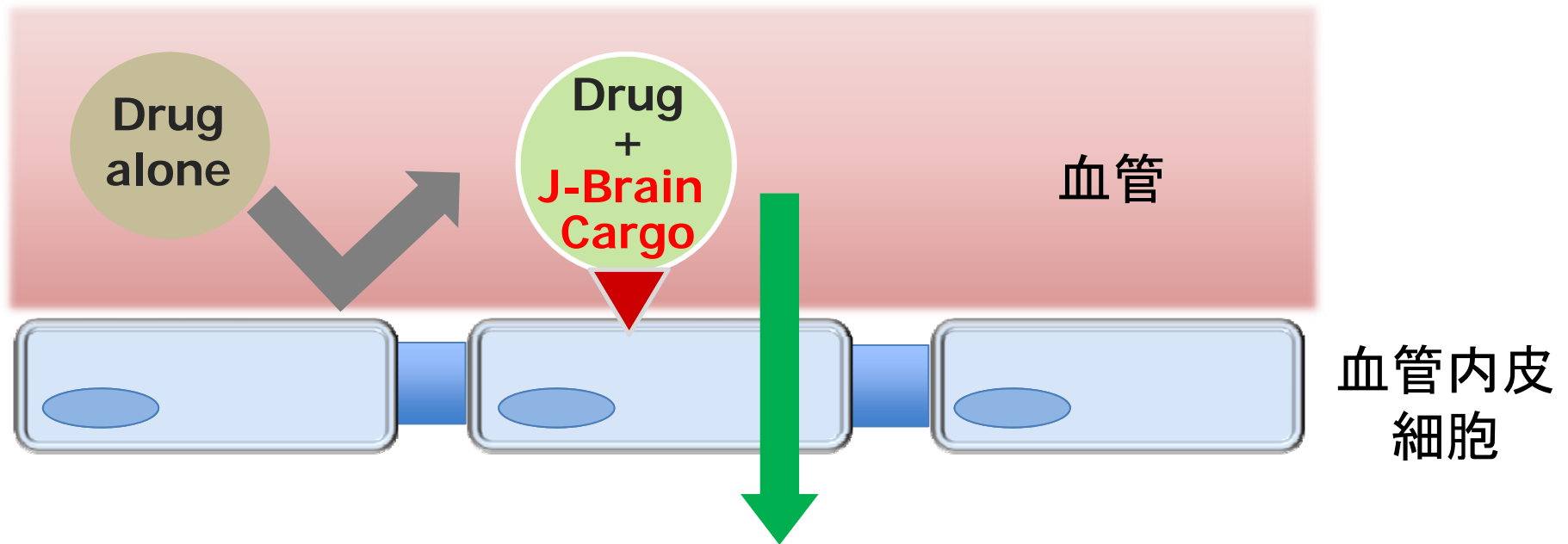
The final frontier – crossing the blood-brain barrier

William S. Sly<sup>1\*</sup>, Carole Vogler<sup>2</sup>

EMBO Molecular Medicine, 5, 655–657, 2013

血液脳関門通過技術は、脳疾患治療の道を開く

# J-Brain Cargo<sup>®</sup> (血液脳関門通過技術) 特許出願済



低分子から酵素、抗体といった高分子まで応用可能

中枢神経疾患へ適応できる可能性大

JR-141

## 血液脳関門通過型ハンター症候群治療薬

### ハンター症候群（ムコ多糖症II型）

- 患者数\*：100-200名（日本）、2,000名（世界） \*当社調べ
- 市場規模\*（2015年度 / 日本）：約80億円
- 症状
  - 骨：特徴的顔貌、骨格変形、関節拘縮
  - 心臓：弁膜肥厚
  - 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

現在の治療は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

■ 開発タイムライン

2015年

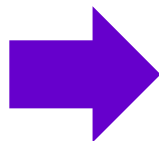
- ・ マウスでの有効性試験
- ・ サルでのPK/予備毒性試験
- ・ Non-GMP製造

2016年

- ・ GLP毒性試験
- ・ GMP製造

2017年

第I/II相試験開始



**NEW** 2016年4月竣工

- 治験薬製造センター (CTMC)
- セルプロセッシングセンター (CPC)

## CPC

- 細胞治療・再生医療等製品の  
治験薬等を製造する専用施設
- 延べ床面積: 200.71平米

## CTMC

- JR-141等のバイオ医薬品の  
治験薬の製造施設
- 延べ床面積: 648.32平米



神戸市西区 研究所敷地内

## その他中枢神経疾患

様々な中枢神経疾患へ応用が可能

\*出典: 富士経済HP

アルツハイマー病

脳腫瘍

脳卒中

多発性硬化症

パーキンソン病

中枢神経領域治療剤市場(日本):

**約5,000億円\*** (2011年)

ハンチントン病

統合失調症

てんかん

筋委縮性側索硬化症

など...

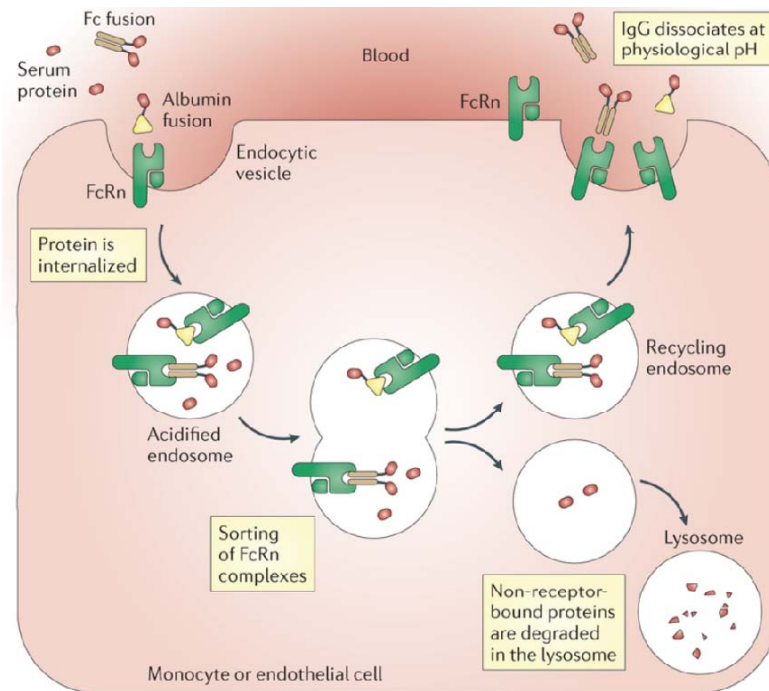
2015年6月 大日本住友製薬(株)とフィージビリティスタディ契約を締結

2015年7月 エーザイ(株)とフィージビリティ試験契約を締結

2016年2月 ペプチドリーム(株)と共同研究契約を締結

## 改変型アルブミンを用いた持続型技術

特許出願済



遺伝子組換え技術を活用し、  
JCR独自の改変型アルブミン  
を融合させることにより、  
バイオ医薬品の血中半減期を  
大幅に延長させる技術を開発

Nature Reviews Drug Discovery  
Vol: 13,655-672 (2014)

- ✓ 野生型アルブミン融合技術を大幅に凌駕する血中半減期
- ✓ 薬効マーカーの評価結果より、投与頻度、  
投与用量も減少させることが可能

## JR-142 持続型成長ホルモン製剤

### ■ 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	適応症	開発ステージ
Novo Nordisk A/S	NNC0195-0092	GHD AGHD	Phase III
Pfizer, Inc.	MOD-4023	AGHD	Phase III
		GHD	Phase II
Versartis, Inc.	Velocity	GHD (US, EU, Canada)	Phase III
	J14vr5	GHD (Japan)	Phase II/III
	Vital	AGHD (US, UK, Australia, Germany)	Phase II

\*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

- ✓ 野生型アルブミン融合技術を大幅に凌駕する血中半減期
- ✓ 薬効マーカーの評価結果より、投与頻度、  
投与用量も減少させることが可能

2017年度中の臨床試験開始を目指す

本技術の今後の展開

様々なバイオ医薬品との組合せを検討

## JR-051

## ファブリー病治療薬

「ファブラザイム」バイオ後続品 ( $\alpha$ -galactosidase A)

- 病因 :  $\alpha$ -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 ( $\alpha$ -galactosidase A)

■ 市場規模 (2015年度 / 日本) **約200億円\***

\* 当社調べ

### 2015年2月: 臨床試験開始

生物学的同等性試験を実施し、2015年8月に先行品との生物学的同等性および安全性を確認

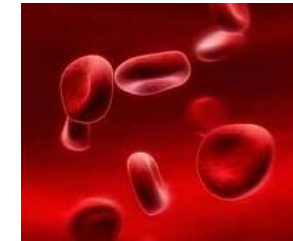


**第II/III相試験実施中、2017年度の申請を目指す**

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



JCR独自の糖鎖コントロール技術

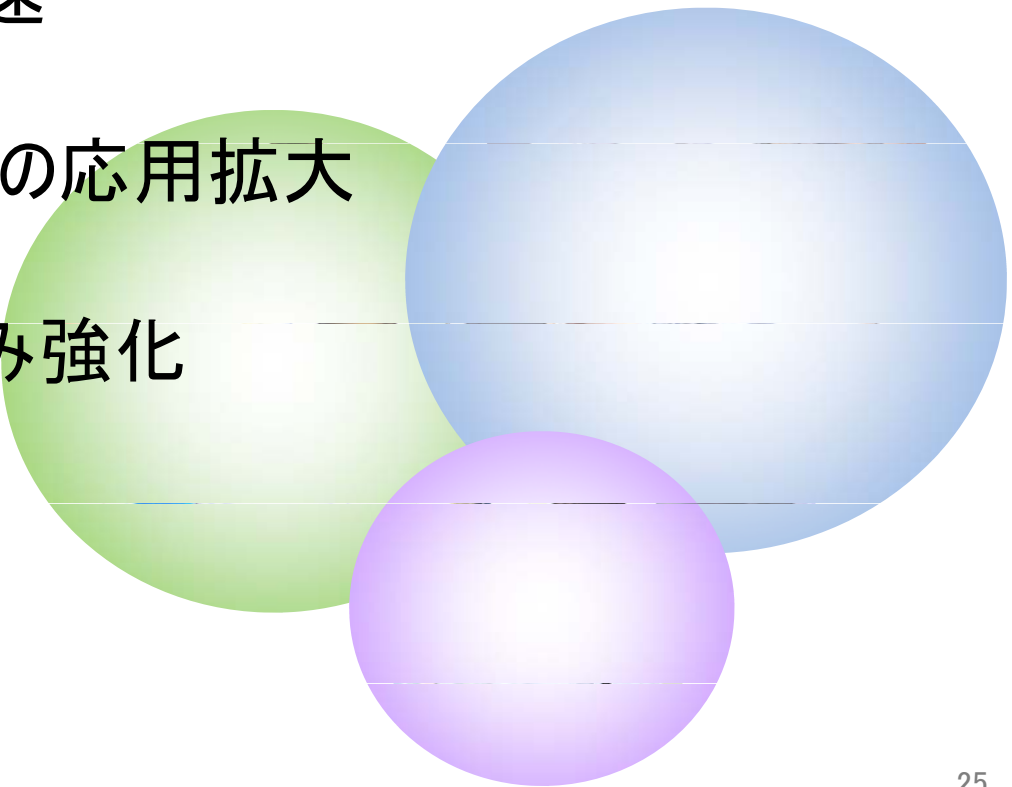
持続型製剤市場に参入し、  
透析に関連する貧血治療薬領域でのプレゼンスを確立

臨床第I相試験 実施中

開発番号 (品目名)	第40期末 2014年度	第41期末 2015年度	第42期予定 2016年度	第43期予定 2017年度
<b>JR-051</b> (遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA)	臨床試験 実施中	臨床 第Ⅱ/Ⅲ相試験		製造販売 承認申請
<b>JR-032</b> (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			
<b>JR-131</b> (遺伝子組換えダルベポエチン)	前臨床	臨床 第Ⅰ相試験	----->	
<b>JR-101</b> (遺伝子組換えグルコセレブロシダーゼ)	前臨床			
<b>JR-141</b> (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)	前臨床開始	前臨床	臨床試験 開始	
<b>JR-142</b> (持続型遺伝子組換え成長ホルモン)	前臨床開始	前臨床		臨床試験 開始

本表における第42期以降は現時点での予定です。  
また、JR-041はあすか製薬(株)へ導出しておりますので、記載しておりません。

## 独自のバイオ技術、細胞治療・再生医療技術により グローバルで存在感のある研究開発型企业へ

- 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 –