



第41期 中間決算説明会

- JCR Biotech for a New Tomorrow -

2015年11月4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”
 - 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

2015年

- 日本初の他家由来 再生医療等製品 -

テムセル®HS注
製造販売承認取得

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)



■ 医薬品

開発番号（品目名）	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	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 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
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)	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
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
JR-141 (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 ・自社血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo」採用
JR-142 (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

■ 再生医療等製品

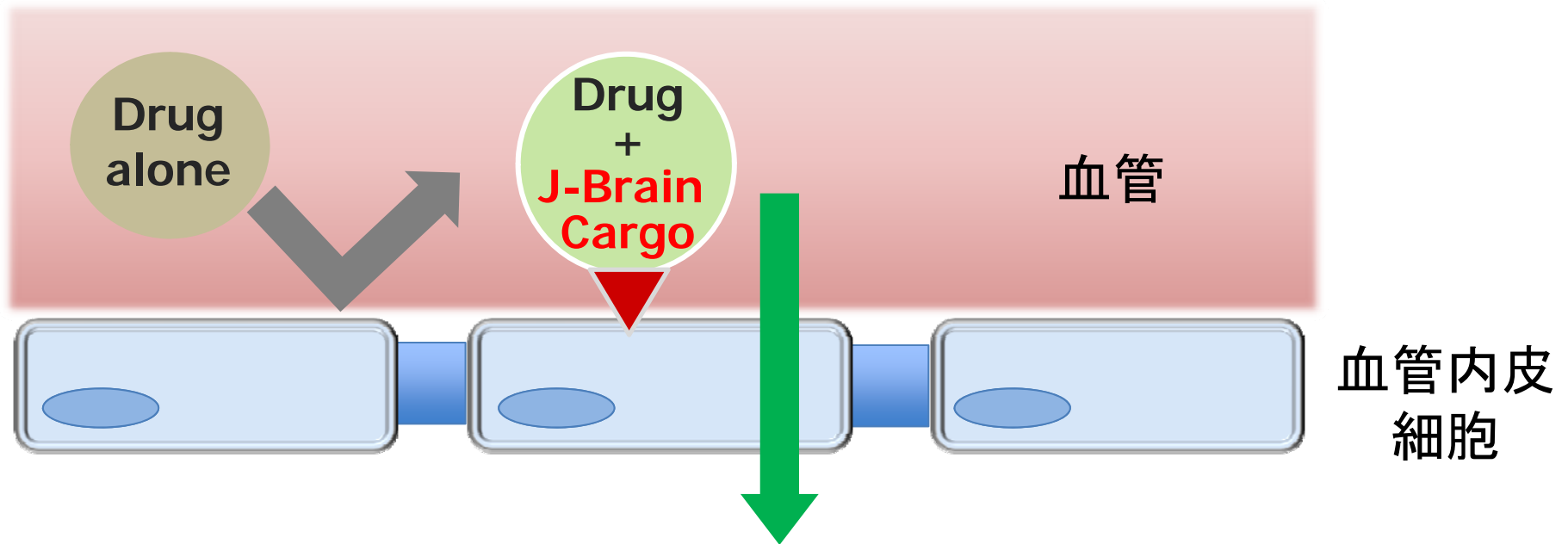
製品名（利用細胞名）	開発段階	適応症	備考
テムセル [®] HS注 (ヒト間葉系幹細胞)	製造販売承認取得	造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病(急性GVHD)	メゾプラスト社(豪)※より技術導入

※2013年10月に旧ライセンサーである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。 4

1. Hot Topics

2. R&D Pipeline

J-Brain Cargo (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

その他中枢神経疾患へ適応できる可能性大

J-Brain Cargo (血液脳関門通過技術) 特許出願済

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)、1,300名 (世界) *当社調べ
- 市場規模* (2014年度 / 日本) : 約75億円
(エラプレース/ジェンザイム社)
- 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

2016年度 臨床試験開始を目指す

J-Brain Cargo (血液脳関門通過技術)

特許出願済

その他中枢神経疾患

様々な中枢神経疾患へ応用が可能

アルツハイマー病

脳腫瘍

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): *出典: 富士経済HP

約5,000億円* (2011年)

筋萎縮性
側索硬化症

統合失調症

てんかん

脳卒中

ハンチントン病

など...

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

7月

エーザイ(株)と
フィージビリティ試験契約を締結

グローバルなビジネスチャンスの拡大

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

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	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

野生型アルブミン-GHで想定される用量設定(週1回投与)

1回の皮下投与で、通常のGH製剤1回分の
28倍量(=7×4)の皮下投与が必要

- ✓ 短期型を7日分まとめて投与する分子数が必要: 投与モル数は7倍
- ✓ 持続型GHの分子量: 短期型の4倍

改変型アルブミンを用いた技術

- ✓ 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):

2017年度中の臨床試験開始を目指す

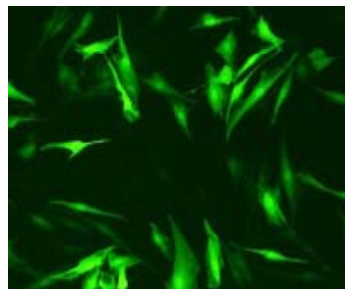
▶ 本技術の今後の展開:

様々なバイオ医薬品との組合せを検討

1. Hot Topics

2. R&D Pipeline

ヒト間葉系幹細胞 (MSC)



9月18日:「テムセル[®]HS注」製造販売承認取得
日本初の他家由来 再生医療等製品
(適応症: 造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病)

■ 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

テムセル[®]HS注

■ 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

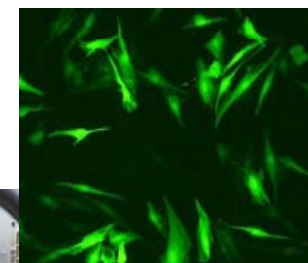
2007 ● 確認申請の指針適合確認
第I/II相試験開始

2011 ● 第II/III相試験開始

2013 ● 希少疾病用医薬品に指定

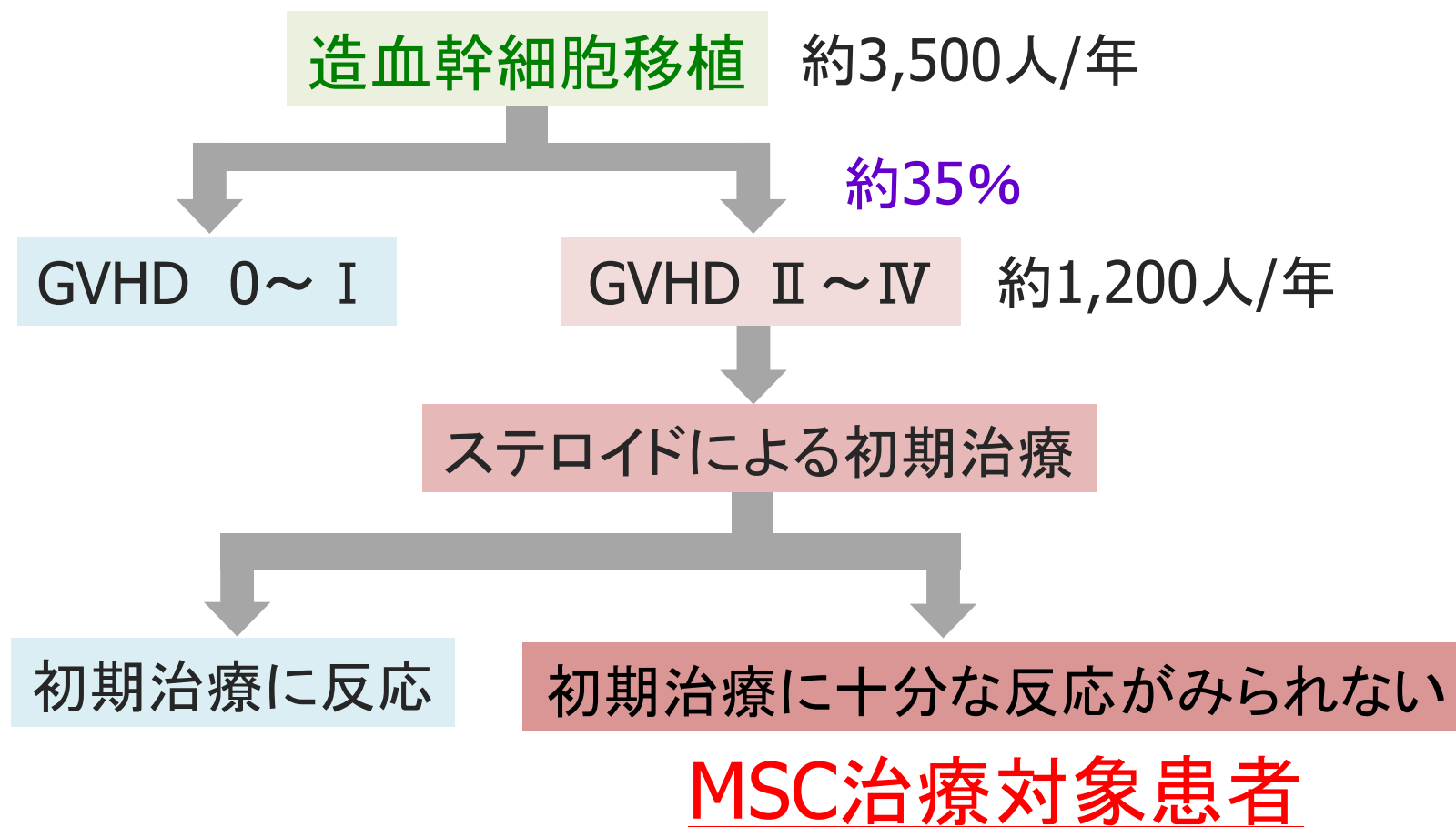
2014 ● 製造販売承認申請

2015 ● **9月18日：製造販売承認取得**



テムセル[®]HS注

■ MSC治療の市場規模



参考：日本造血細胞移植学会2013年度全国調査報告書

テムセル[®]HS注

■ 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

メディパ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

神戸物流センター
(神戸市西区)



● メディパルの流通センター

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 (2014年度 / 日本)

当社調べ

約190億円

- 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

2015年2月 : 臨床試験開始

生物学的同等性試験を実施し、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

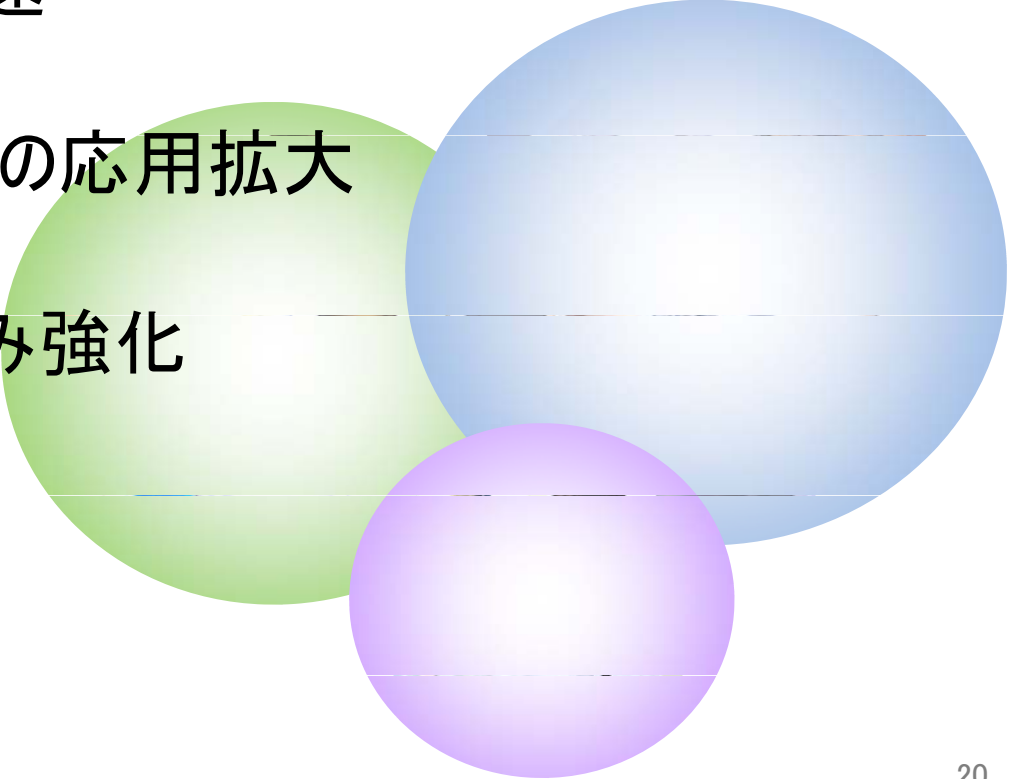


持続型製剤市場に参入し、
透析に関連する貧血治療薬領域でのプレゼンスを確立

臨床第I相試験 実施中

* 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

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 –