



# 第42期 中間決算説明会 (研究開発)

2016年11月2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。

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 $\alpha$ -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)	<ul style="list-style-type: none"> <li>・酵素補充療法</li> <li>・グラクソ・スミスクライン・グループと共同開発</li> </ul>
<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 III 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)	<ul style="list-style-type: none"> <li>・酵素補充療法</li> <li>・糖鎖コントロール技術「J-GlycoM<sup>®</sup>」採用</li> </ul>
<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)	<ul style="list-style-type: none"> <li>・酵素補充療法</li> <li>・血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo<sup>®</sup>」採用</li> </ul>
<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	<ul style="list-style-type: none"> <li>・持続型成長ホルモン製剤</li> <li>・改変型アルブミンを用いた技術</li> <li>・CHO細胞高発現技術「J-MIG System<sup>®</sup>」採用</li> </ul>

# 1. JCR Proprietary Technologies

- J-Brain Cargo®

- 細胞治療・再生医療技術 - 新たな取り組み -

# 2. Development Pipeline

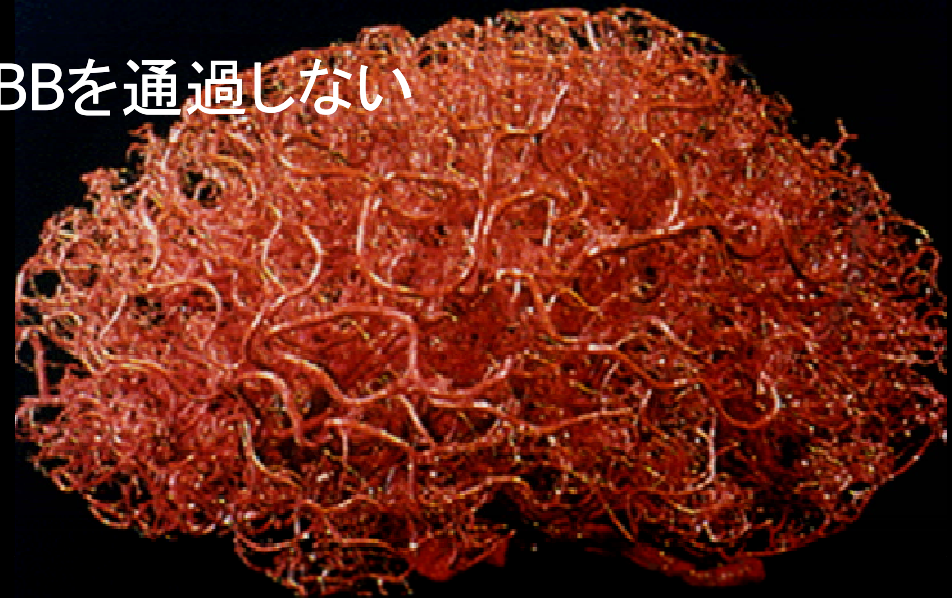
## ■ 血液脳関門 (Blood Brain Barrier : BBB)

- 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

血液脳関門通過技術は、

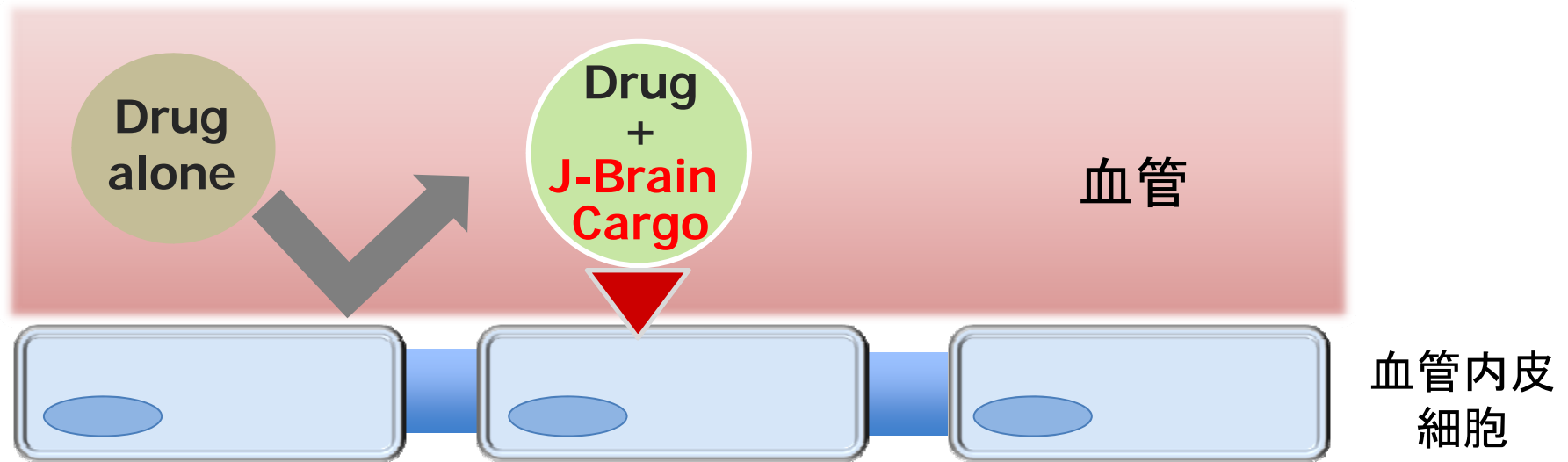
脳疾患治療の道を開く

**J-Brain Cargo®**



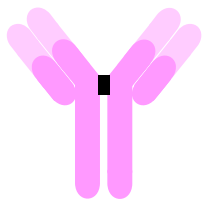
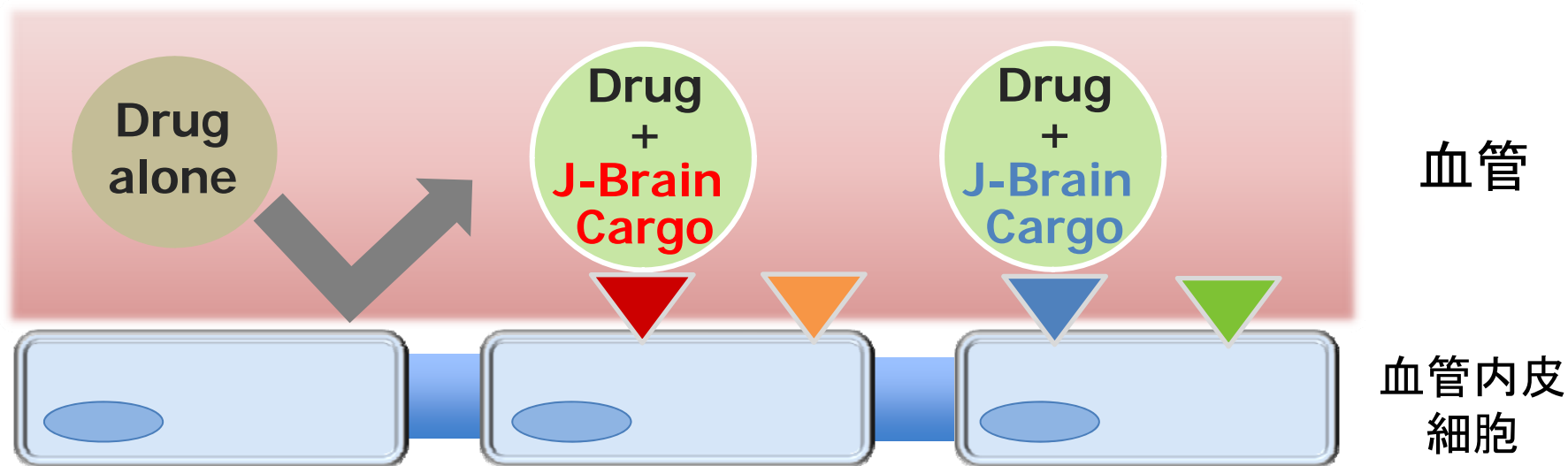
# J-Brain Cargo<sup>®</sup> (血液脳関門通過技術)

特許出願済



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

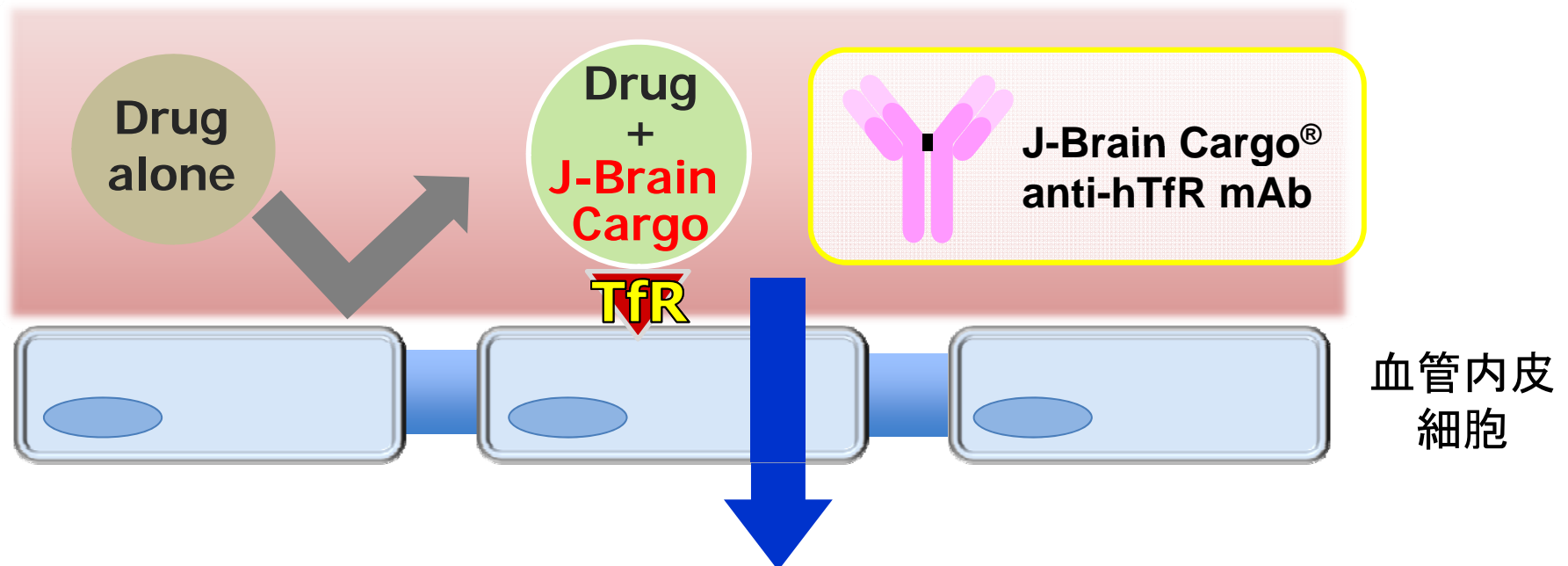
特許出願済



"抗体ベースの組織ターゲティング技術"

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

特許出願済

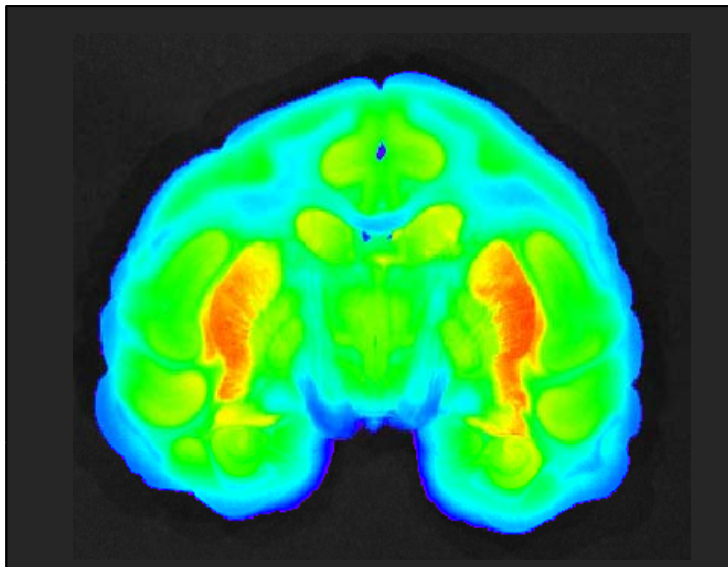
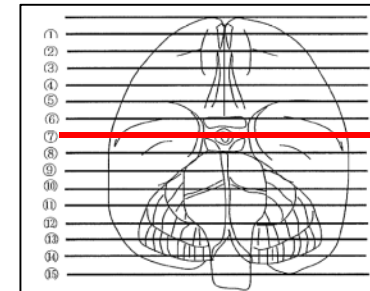


低分子から酵素、抗体といった高分子まで応用可能

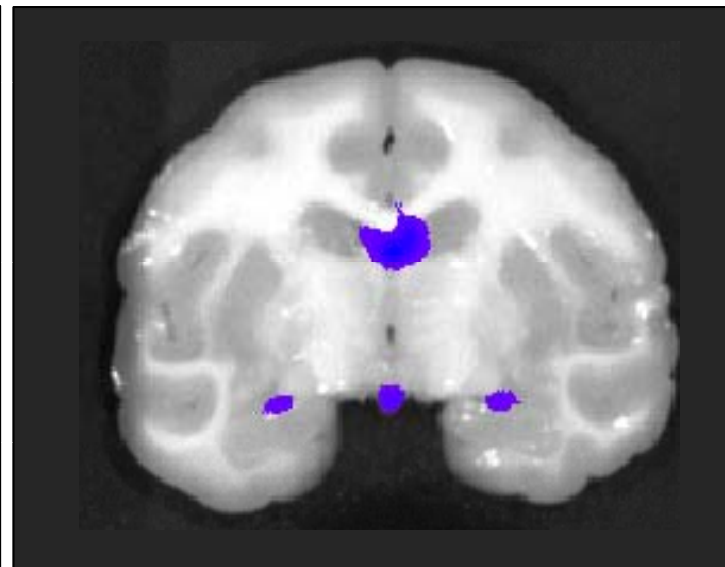
中枢神経疾患へ適応できる可能性大

## サル試験（脳断面IVISイメージング解析）

Group	Test Articles	Dose Level (mg/kg)	Route	Sacrifice time
1	J-Brain Cargo®	4.0	i.v. bolus	24 hours
2	Control			

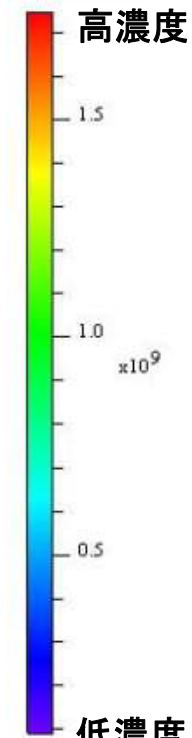


**J-Brain Cargo®**



**Control**

Epi-fluorescence



Radiant Efficiency  
 $\frac{\text{p/sec/cm}^2/\text{sr}}{\mu\text{W/cm}^2}$

Color Scale  
 Min = 9.00e7  
 Max = 1.75e9

**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

**2017年3月に第I/II相試験開始予定**

## 治験薬製造センター(CTMC) 2016年4月竣工

➤ JR-141等のバイオ医薬品の治験薬の製造施設

シングルユース技術を用いた機器を導入し多品目製造へ対応



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



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

# 1. JCR Proprietary Technologies

- J-Brain Cargo<sup>®</sup>

- 細胞治療・再生医療技術 - 新たな取り組み -

# 2. Development Pipeline

## 細胞治療・再生医療技術

「テムセル®HS注」の実績に基づく「再生医療等製品」開発に必要なノウハウの蓄積

研究開発、非臨床、臨床、薬事から生産に至るまで、「再生医療等製品」開発の他社にない知識・技術

**新たな再生医療等製品を開発**

**テムセル®HS注  
適応拡大の可能性**

**歯髓由来幹細胞  
(Dental Pulp-derived Stem Cell)**

## テムセル<sup>®</sup>HS注の適応拡大の可能性

「テムセル<sup>®</sup> HS注」(ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞)は、抗炎症作用・免疫調節作用を有することから、種々の疾患治療への応用を検討中

### 1. 表皮水疱症 (Epidermolysis bullosa: EB)

- 原因: 皮膚基底膜領域における接着構造制御蛋白の遺伝子異常
- 症状: 日常生活の軽微な外力で表皮が基底膜レベルで剥離して全身熱傷様の水疱、潰瘍を形成
- 治療法: 基本的になく、ガーゼやワセリン等での潰瘍部保護程度
- 患者数(日本): 推定500-640人(治療対象は重症度の高い300人程度)

10月30日:



大阪大学附属病院と「再生医療等製品テムセル<sup>®</sup>HS注を使用する医師主導治験に係わる契約」を締結

## 2. 新生児低酸素性虚血性脳症 (Hypoxic ischemic encephalopathy :HIE)

- 原因: 妊娠中又は出産時の脳血流の減少に伴う胎児脳への酸素供給不足
- 症状: 脳神経障害 (脳性麻痺の主な原因)
- 治療法: 脳低体温療法
- 患者数: 正期産出生数1,000人に対し2.5人\*

\*Am J Obstet Gynecol. 2008 Dec;199(6):587-95.

## 3. その他検討中の疾患

- 脳性麻痺
- 脳室周囲白質軟化症 等

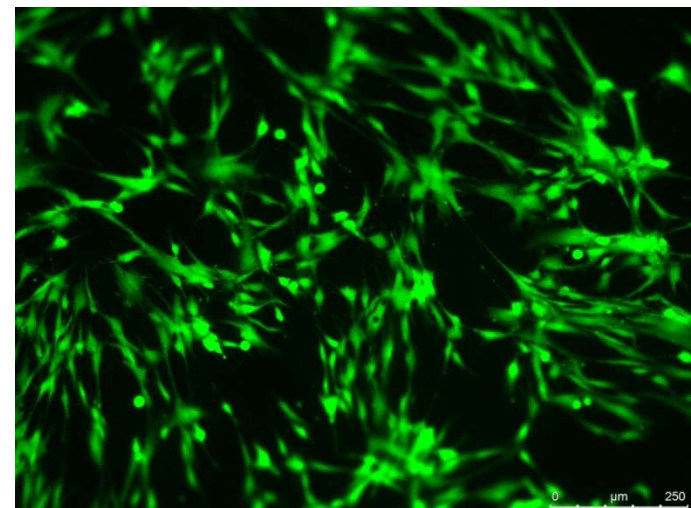


## 細胞治療・再生医療技術

### 歯髓由来幹細胞

(Dental Pulp-derived Stem Cell: DPC)

- JCR独自の技術(自社で基礎研究を実施)
- 様々な適応症の開発を検討中



# 1. JCR Proprietary Technologies

- J-Brain Cargo<sup>®</sup>
- 細胞治療・再生医療技術 - 新たな取り組み -

## 2. Development Pipeline

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

- ✓ 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

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	
■ 症状：	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 皮膚：被角血管腫、下肢リンパ浮腫</li> <li>- 循環器：心筋肥大、弁膜症、不整脈</li> <li>- 消化器：腹痛、下痢、虚血性腸炎</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 腎臓：腎不全、蛋白尿</li> <li>- 神経：四肢疼痛、低汗症</li> <li>- 眼：角膜混濁</li> </ul>
■ 市場規模*：	約 <b>200</b> 億円 (2015年度 / 日本)	
■ 患者数*：	300名 (日本)、8,000名 (世界)	

\*当社調べ

現在、第Ⅱ/Ⅲ相試験実施中

10月：患者登録終了

**2017年度上期中に申請予定**



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」を活用し、  
複雑な糖鎖構造をクリア

特許出願済

- ・ 第 I 相試験 : 薬物動態の同等性/同質性を検証



生物学的な同等性および安全性を確認

- ・ 第 III 相試験: 2016年8月 開始

開発番号（品目名）	第41期 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 $\alpha$ -ガラクトシダーゼA)	臨床 第Ⅱ/Ⅲ相試験		<b>製造販売 承認申請</b>
<b>JR-032</b> (遺伝子組換えイズロネート2スルファターゼ)			
<b>JR-131</b> (遺伝子組換えダルベポエチン)		<b>臨床 第Ⅲ相試験</b>	
<b>JR-101</b> (遺伝子組換えグルコセレブロシダーゼ)			
<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	<b>臨床試験 開始</b>	
<b>JR-142</b> (持続型遺伝子組換え成長ホルモン)	前臨床		<b>臨床試験 開始</b>

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㈱へ導出しておりますので、記載しておりません。

# 飛躍

新たなステージへ向けて飛躍の時

**JR-141**  
(BBB通過型  
IDS)

**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

日本初の他家由来  
再生医療等製品

テムセル®HS注



国産初のバイオ後続品

エポイチンアルファ  
BS注JCR



- 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

- 完全無血清培養技術の確立

唯一の国産GH製剤

グロウジェクト®



- 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

- 血液脳関門通過技術  
" J-Brain Cargo® "
- 高機能モノクローナル抗体創製技術
- CHO細胞高発現技術
- 糖鎖コントロール技術
- 改変型アルブミンを用いた技術
- 細胞治療・再生医療技術

**基盤** - 1975年の創業以来、常に「一步前に入る」独自の技術開発と製品創製 -

■ 新薬    ■ バイオ後続品

## 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
- 