



第42期 決算説明会 (研究開発)

2017年5月19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 0797-32-1995)

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。

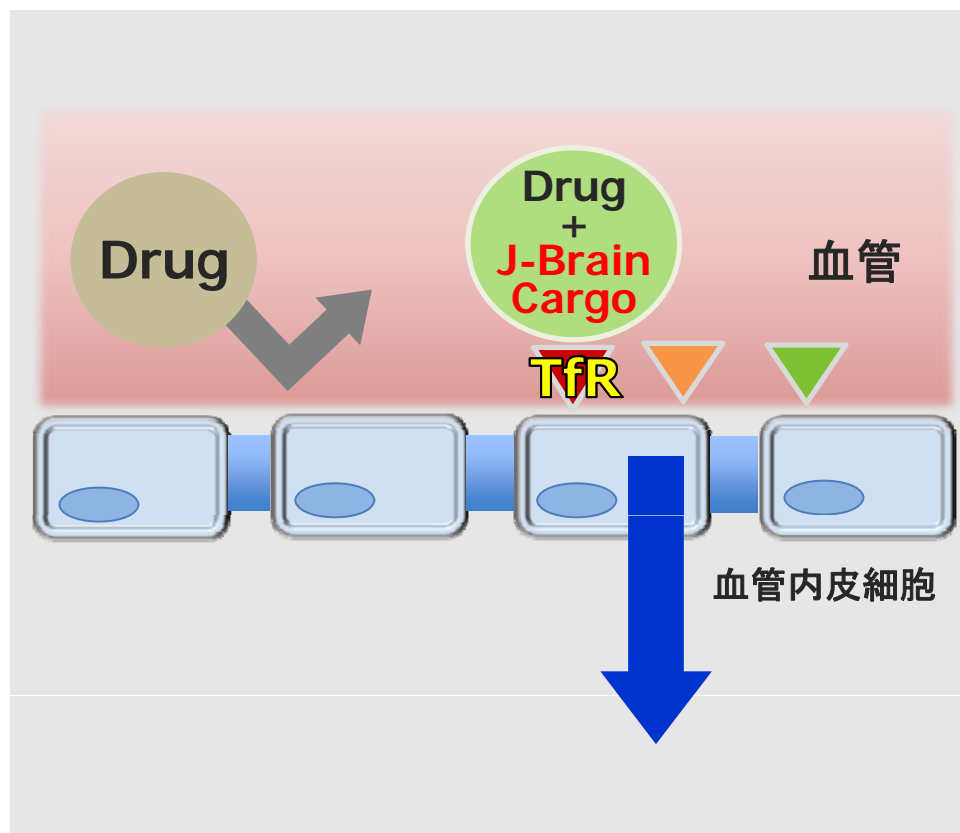
本資料は医薬品（開発中の物を含む）に関する情報が含まれておりますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。また、当社の会社説明・事業説明に関する情報の提供を目的としたものであり、当社が発行する有価証券の投資を勧誘することを目的としたものではありません。

開発番号（品目名）	開発段階	適応症	備考
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)	臨床 第 I / II 相試験	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
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
JR-162 (J-Brain Cargo®適用遺伝子組換え 酸性α-グルコシダーゼ)	前臨床	ポンペ病 (ライソゾーム病)	・酵素補充療法 ・「J-Brain Cargo®」適用
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-131 (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
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 ・グラクソ・スミスクライン・グループと共同開発
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 ・糖鎖コントロール技術「J-GlycoM®」採用
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

	品目名	開発段階	適応症
新薬	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)	臨床 第 I / II 相試験	ハンター症候群 (ライソゾーム病)
新薬	JR-162 (J-Brain Cargo®適用遺伝子組換え 酸性α-グルコシダーゼ)	前臨床	ポンペ病 (ライソゾーム病)
新薬	JR-142 (持続型遺伝子組換え成長ホルモン)	前臨床	成長障害
再生医療等 製品	テムセル®HS注 適応拡大	医師主導治験 実施中	表皮水疱症
再生医療等 製品	歯髄由来幹細胞	前臨床	
Biosimilar	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)
Biosimilar	JR-131 (遺伝子組換えダルベポエチン)	臨床 第 III 相試験	腎性貧血

J-Brain Cargo[®] (血液脳関門通過技術)

特許出願済
(2016年12月特許公開)



- ✓ 抗体ベースの組織ターゲティング技術
- ✓ 血管内皮細胞上にある複数の受容体に合わせた様々なタイプのJ-Brain Cargo[®]を開発
- ✓ 低分子から酵素、抗体といった高分子まで応用が可能

J-Brain Cargo[®]

血液脳関門を通過するだけでなく、

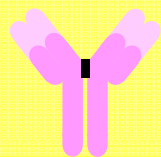
骨格筋にも効果的に薬を運ぶことができる

JR-141

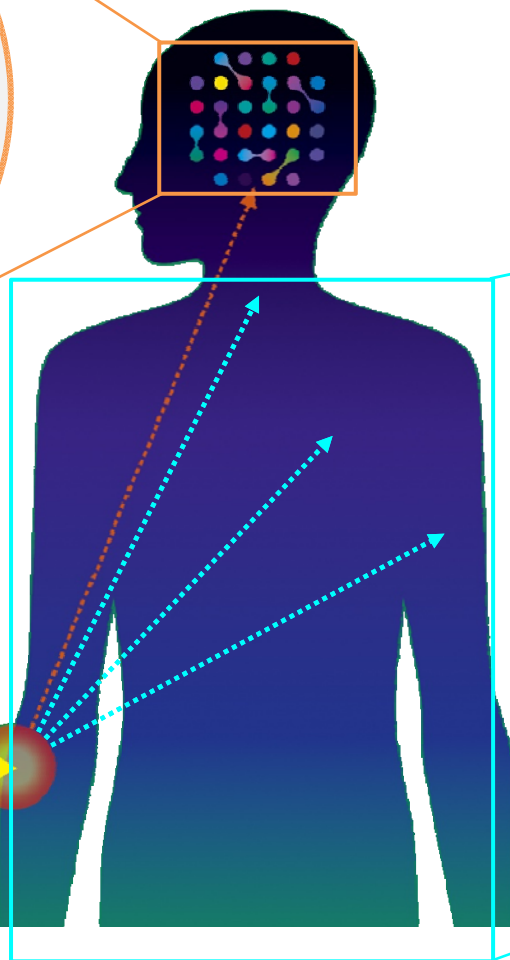
血液脳関門

(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



J-Brain Cargo[®]
anti-hTfR mAb



JR-162

骨格筋

心筋・呼吸筋

- 脳にある様な関門はないが、**薬剤が移行しにくい臓器のひとつ**

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）

厚生労働省
指定難病

- 患者数*：100-200名（日本）、2,000名（WW） *当社調べ
- 市場規模*：約80億円（2016年度/日本）、約560億円（2015年/WW）
- 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

JR-141

血液脳関門通過型ハンター症候群治療薬

➤ 第I/II相試験デザイン

- 対象 : ハンター症候群患者 12名
- 試験期間 : 4週間
- 評価項目 : JR-141を静脈内投与したときの
 - 安全性と探索的有効性
 - 患者様の体内における薬物動態

2017年秋にトップラインデータ公表、

2018年中旬に第II/III相試験開始予定

J-Brain Cargo[®]

血液脳関門を通過するだけでなく、

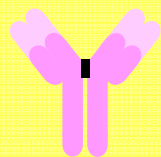
骨格筋にも効果的に薬を運ぶことができる

JR-141

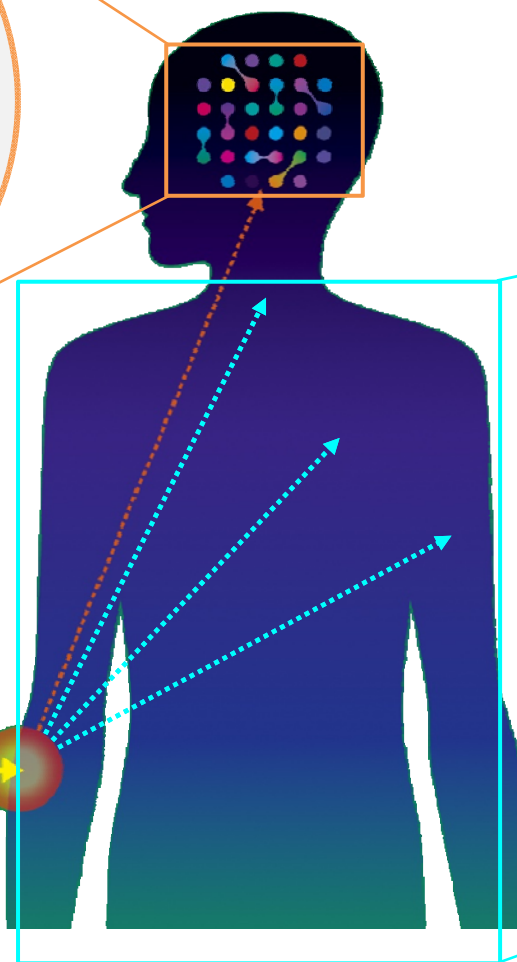
血液脳関門

(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



J-Brain Cargo[®]
anti-hTfR mAb



JR-162

骨格筋

心筋・呼吸筋

- 脳にある様な関門はないが、薬剤が移行しにくい臓器のひとつ

JR-162

J-Brain Cargo[®]適用ポンペ病治療薬

➤ ポンペ病（酸性マルターゼ欠損症）

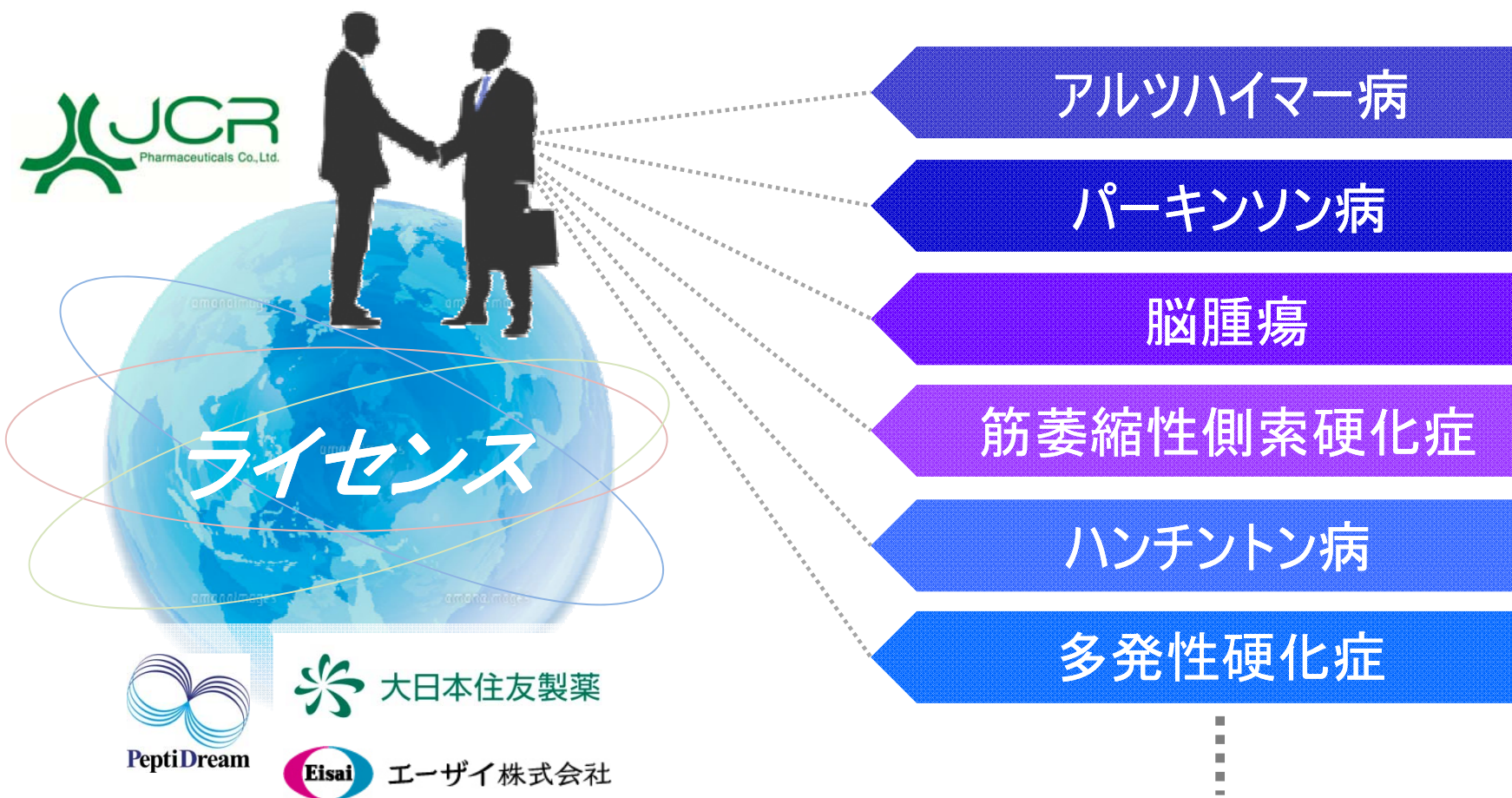
厚生労働省
指定難病

- 患者数*：約10,000名 (WW) *当社調べ
- 市場規模*：約33億円(2016年度/日本)、約800億円(2016年/WW)
- 症状：主に筋組織が侵され、呼吸、運動および心臓の機能障害が起こる
 - 乳児型：心機能障害、筋力の低下、呼吸困難・呼吸器感染症
誤嚥性肺炎、成長の遅れ
 - 小児型・成人型：心機能障害、頭痛、筋力の低下・腰痛
呼吸困難・呼吸器感染症、誤嚥性肺炎
発達の遅れ、栄養不足

2017年2月に開発着手、早期の臨床試験開始を目指す

様々な中枢神経疾患への応用が可能

中枢神経領域治療薬市場〔2020年予測 (日本)〕: 約**6,700**億円*



JR-142

持続型成長ホルモン製剤

特許出願済
(2017年3月特許公開)

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

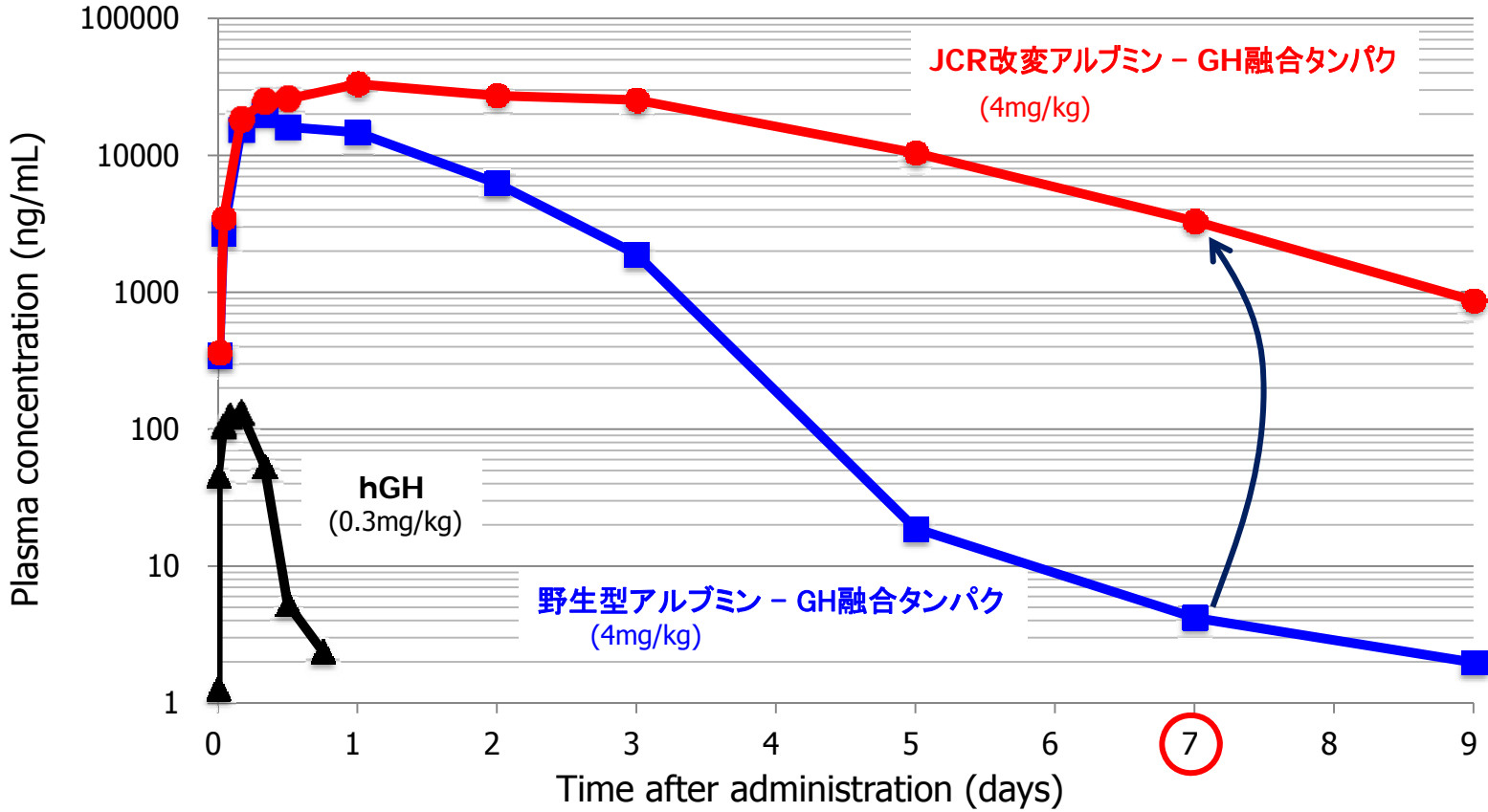
- ✓ 野生型アルブミン融合技術を大幅に凌駕する血中半減期
- ✓ 薬効マーカーの評価結果より、投与頻度、
投与用量も減少させることが可能

2018年度中の臨床試験開始を目指す

JR-142

持続型成長ホルモン製剤

サル試験(血中動態)



野生型アルブミン融合成長ホルモンと比較し、
大幅な血中半減期の延長を実現

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

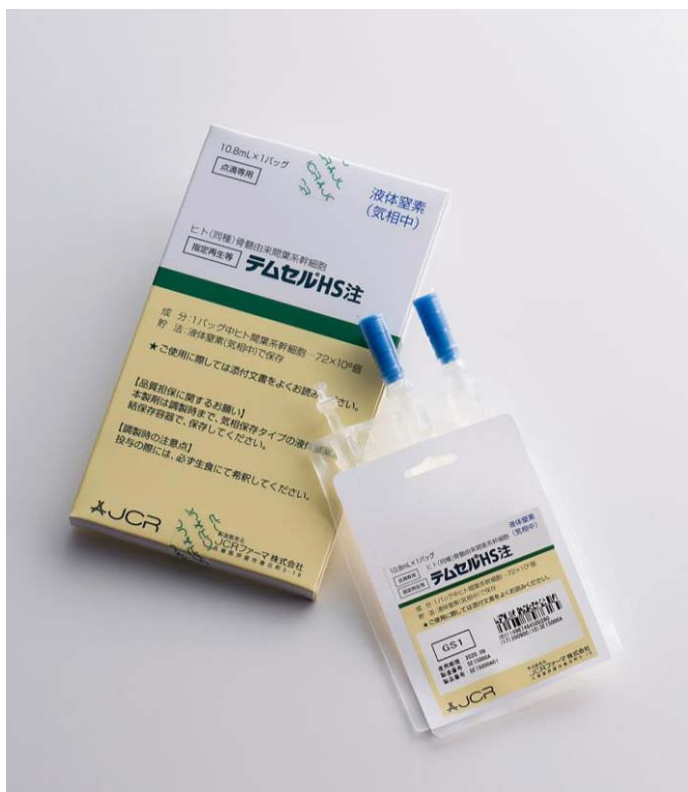
研究開発、非臨床、臨床、薬事から生産に至るまで、「再生医療等製品」開発の他社にない知識・技術

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

ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞 テムセル®HS注



■ 適応症

造血幹細胞移植後の急性移植片対宿主病
(GVHD: Graft versus Host Disease)

- ✓ 世界初 間葉系幹細胞を用いた
移植片対宿主病治療製品
- ✓ 2016年2月に販売開始

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

■ 総投与症例数(2016年2月-2017年3月)

72例(21施設)

テムセル[®]HS注の適応拡大の可能性

「テムセル[®]HS注」の抗炎症作用・免疫調節作用を活用し、種々の疾患治療への応用を検討

表皮水疱症 (Epidermolysis bullosa: EB)

厚生労働省
指定難病

- 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名(治療対象は重症度の高い300名程度)



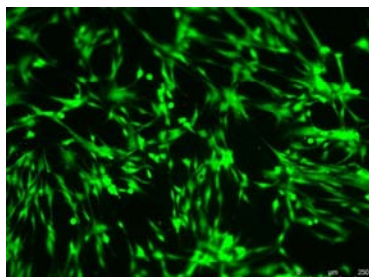
2017年4月:

大阪大学附属病院が医師主導治験を開始

- 表皮水疱症患者を対象とした「テムセル[®]HS注」の有効性と安全性を評価
- 皮膚潰瘍の周囲に約2cm間隔で「テムセル[®]HS注」を皮下投与

歯髓由来幹細胞

独自の技術開発により、
事業化に向けた大量培養技術を確立



特定の疾患を対象として、
他社と共同開発に向けて協議中
(現在、共同研究中)

	品目名	開発段階	適応症
新薬	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)	臨床 第 I / II 相試験	ハンター症候群 (ライソゾーム病)
新薬	JR-162 (J-Brain Cargo®適用遺伝子組換え 酸性α-グルコシダーゼ)	前臨床	ポンペ病 (ライソゾーム病)
新薬	JR-142 (持続型遺伝子組換え成長ホルモン)	前臨床	成長障害
再生医療等 製品	テムセル®HS注 適応拡大	医師主導治験 実施中	表皮水疱症
再生医療等 製品	歯髄由来幹細胞	前臨床	
Biosimilar	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)
Biosimilar	JR-131 (遺伝子組換えダルベポエチン)	臨床 第 III 相試験	腎性貧血

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)

厚生労働省
指定難病

- | | | |
|-----------|--|--|
| ■ 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 | |
| ■ 症状 : | <ul style="list-style-type: none"> - 皮膚 : 被角血管腫、下肢リンパ浮腫 - 腎臓 : 腎不全、蛋白尿 - 循環器 : 心筋肥大、弁膜症、不整脈 - 神経 : 四肢疼痛、低汗症 - 消化器 : 腹痛、下痢、虚血性腸炎 - 眼 : 角膜混濁 | |
| ■ 市場規模* : | 約220億円 (2016年度 / 日本)、約1,200億円 (2015年/WW) | |
| ■ 患者数* : | 300名 (日本)、8,000名 (WW) | |

*当社調べ

現在、第Ⅱ/Ⅲ相試験実施中

2017年8月に申請予定



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42期 2016年度	第43期予定 2017年度	第44期予定 2018年度
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	製造販売 承認申請	上市
JR-032 (遺伝子組換えイズロネート2スルファターゼ)			
JR-131 (遺伝子組換えダルベポエチン)	臨床 第Ⅲ相試験		製造販売 承認申請
JR-101 (遺伝子組換えグルコセレブロシダーゼ)			
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)	臨床 第Ⅰ/Ⅱ相試験		臨床 第Ⅱ/Ⅲ相試験
JR-142 (持続型遺伝子組換え成長ホルモン)	前臨床		臨床試験 開始
JR-162 (J-Brain Cargo®適用遺伝子組換え 酸性α-グルコシダーゼ)	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)へ導出しておりません。

飛躍

新たなステージへ向けて飛躍の時

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



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

- 完全無血清培養技術の確立

- 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

- 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

JR-162
(J-Brain Cargo
適用GAA)

JR-141
(J-Brain Cargo
適用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

基盤

- 1975年の創業以来、常に「一歩前に出る」独自の技術開発と製品創製 -

■ 新薬 ■ バイオ後続品

Thank you for your attention.



– JCR Biotech for a New Tomorrow –