



第43期 中間決算説明会 (研究開発)

2017年11月1日

JCRファーマ株式会社

【証券コード】4552

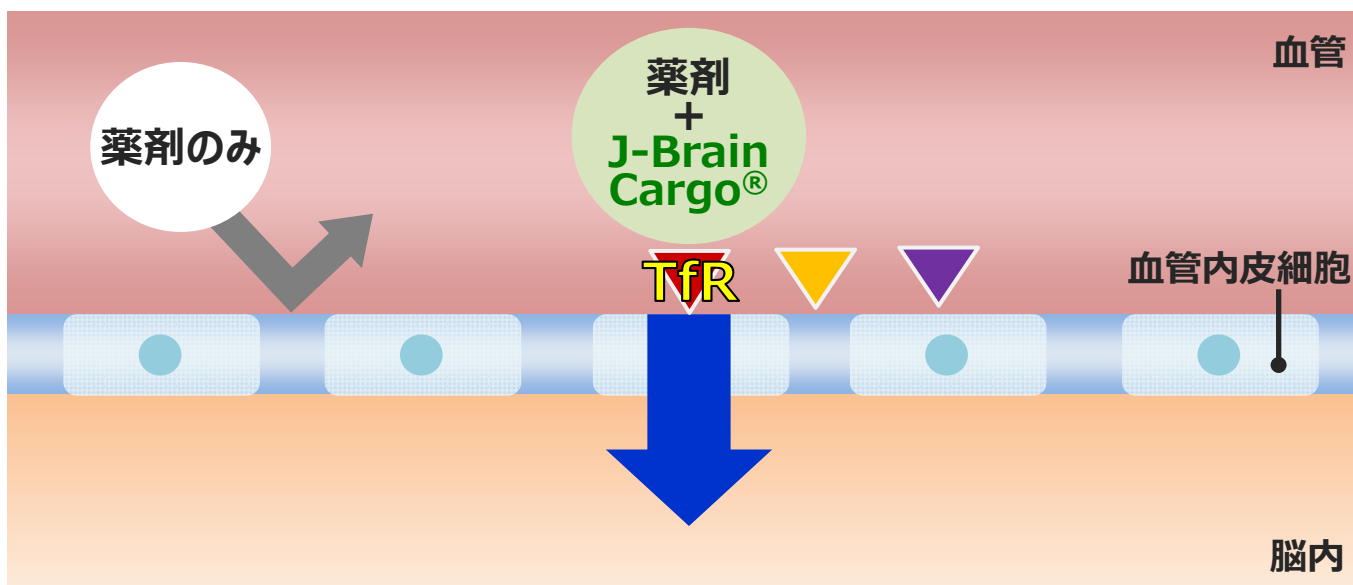
【問合せ先】経営企画本部 本多・北村
(TEL 0797-32-1995)

| 開発番号 | 適応症 | 前臨床 | Ph I / II | Ph III | 承認申請 | 備考 |
|-------------------------------|----------------------|-----|-----------|--------|------|---|
| JR-051 | ファブリー病 (ライソゾーム病) | | | | | 酵素補充療法 |
| JR-141 | ハンター症候群 (ライソゾーム病) | | | | | 酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 |
| JR-162 | ポンペ病 (ライソゾーム病) | | | | | 酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用 |
| JR-171 <i>NEW</i> | ハーラー症候群 (ライソゾーム病) | | | | | 酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 |
| JR-032 | ハンター症候群 (ライソゾーム病) | | | | | 酵素補充療法 |
| JR-101 | ゴーシェ病 (ライソゾーム病) | | | | | 酵素補充療法 J-GlycoM® 採用 |
| JR-131 | 腎性貧血 | | | | | キッセイ薬品工業(株)と 共同開発 |
| JR-142 | 成長障害 | | | | | 持続型GH製剤 J-MIG System® 採用 |
| JR-041 | 不妊治療 | | | | | あすか製薬(株)に導出 |
| JTR-161/ JR-161 <i>NEW</i> | 急性期脳梗塞 | | | | | 帝人(株)と共同開発 再生医療等製品 |

■ ライソゾーム病 ■ その他バイオ医薬品 ■ 再生医療等製品

| | 品目名 | 開発段階 | 適応症 |
|----------------|--|--------------------|----------------------|
| J-Brain Cargo® | JR-141 (血液脳関門通過型遺伝子組換え イズロン酸-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) |
| J-Brain Cargo® | 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) |
| J-Brain Cargo® | JR-171 (血液脳関門通過型遺伝子組換え α-L-イズロニダーゼ) | 前臨床 | ハーラー症候群 (ライソゾーム病) |
| 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 | JTR-161/JR-161 (歯髄由来幹細胞) | 前臨床 | 急性期脳梗塞 |
| Biosimilar | JR-051 (遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA) | 製造販売 承認申請中 | 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 |
| 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 |

J-Brain Cargo® (血液脳関門通過技術)



抗体ベースの
組織ターゲティング技術、
複数の受容体に合わせた
様々なタイプを開発

低分子から酵素、抗体など
高分子まで応用が可能

血液脳関門だけでなく、
骨格筋にも効果的に
薬を運ぶことが可能

※血液脳関門 (Blood Brain Barrier : BBB)

J-Brain Cargo[®]



ライソゾーム病治療酵素製剤 (自社開発)

JR-141
ハンター
症候群

JR-162
ポンペ病

JR-171
ハーラー
症候群

中枢神経疾患 (他社とのライセンス)

アルツハイマー

脳腫瘍

多発性硬化症

パーキンソン病

脳卒中

ハンチントン病

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* : 約100-200名 (日本)、約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

JR-141で、全身症状と中枢神経症状の両面の改善を目指す

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（2017年3月 試験開始）

- ・ 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



対象患者への投与が完了し、
良好な安全性と忍容性および臨床活性を示唆する結果

JR-162

J-Brain Cargo[®]適用ポンペ病治療薬

➤ **ポンペ病（酸性α-グルコシダーゼ欠損症）**

厚生労働省指定難病

- 患者数*： 約80名（日本）、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、誤嚥性肺炎
呼吸困難、呼吸器感染症、発達の遅れ、栄養不足



**JR-162で、骨格筋への原因物質の蓄積に対して
効率的な改善を目指す**

JR-171

血液脳関門通過型ハーラー症候群治療薬

➤ ハーラー症候群（ムコ多糖症I型）

厚生労働省指定難病

■ 患者数* : 約50名 (日本)、約3,000名 (WW)

*当社調べ

■ 市場規模* : 約15億円 (2016年度/日本)、約200億円 (2016年/WW)

- 症状
 - 骨 : 特徴的顔貌、骨格変形、関節拘縮
 - 眼 : 角膜混濁
 - 心臓 : 心弁膜症
 - 軟組織 : 厚い皮膚、多毛、巨舌
 - 肝臓 : 肝脾腫
 - 中枢神経 : **中枢神経障害**

2017年9月：
株式会社メディカルホールディングスと業務資本提携を締結

物流力・販売力



創薬力

Japan

USA
合併会社設立

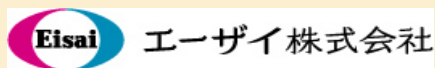
両社の強みを効果的、有効的に活かして
JR-141、JR-162、JR-171 の海外展開を推進

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*



2015年6月：フィージビリティスタディ契約を締結



2015年7月：フィージビリティ試験契約を締結



2016年2月：共同研究契約を締結

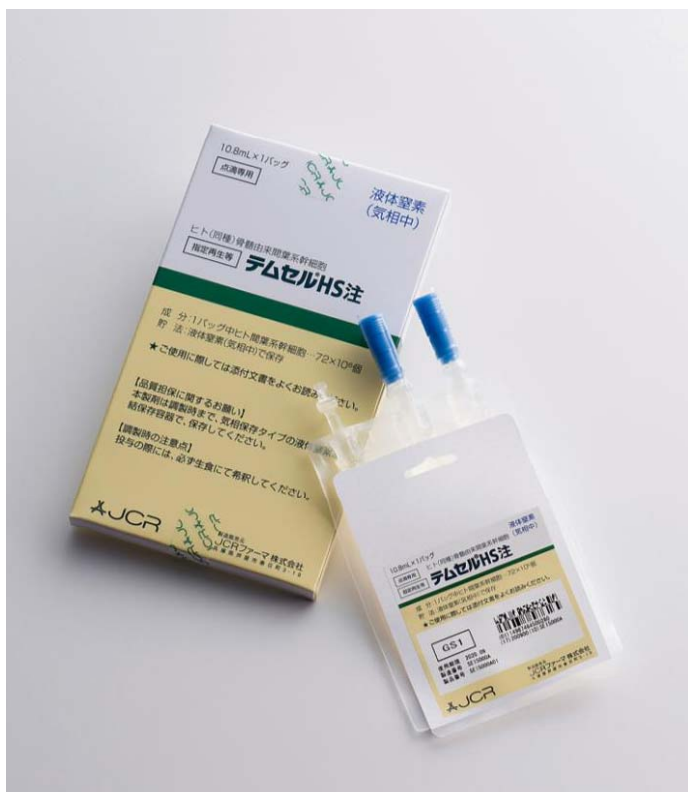
NEW  **NanoCarrier**[®]

2017年10月：
ナノキャリア株式会社と核酸等を対象とした
脳内デリバリー創薬に関する共同研究契約を締結



| | 品目名 | 開発段階 | 適応症 |
|----------------|--|--------------------|----------------------|
| J-Brain Cargo® | JR-141 (血液脳関門通過型遺伝子組換え イズロン酸-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) |
| J-Brain Cargo® | 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) |
| J-Brain Cargo® | JR-171 (血液脳関門通過型遺伝子組換え α-L-イズロニダーゼ) | 前臨床 | ハーラー症候群 (ライソゾーム病) |
| 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 | JTR-161/JR-161 (歯髄由来幹細胞) | 前臨床 | 急性期脳梗塞 |
| Biosimilar | JR-051 (遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA) | 製造販売 承認申請中 | 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 |
| 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 |

ヒト(同種)骨髓由来間葉系幹細胞 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



■ 総投与症例数 **131**例

| | | |
|------------------|----------------------|---------------------|
| 販売開始 ~2016年9月 | 2016年10月 ~2017年3月 | 2017年4月 ~2017年9月 |
|------------------|----------------------|---------------------|

35例 → **38**例 → **58**例

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

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）



大阪大学
OSAKA UNIVERSITY

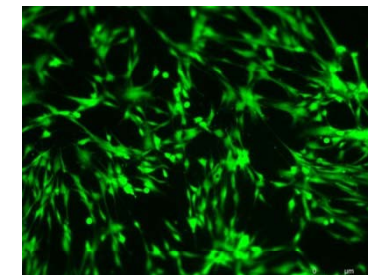
2017年4月：

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

目標症例数のエントリー並びに初回投与完了

歯髓由来幹細胞



TEIJIN
Human Chemistry, Human Solutions

2017年7月：

帝人株式会社と共同開発契約・実施許諾契約を締結

開発番号：JTR-161（適応症：急性期脳梗塞）

急性期脳梗塞（acute cerebral infarction）

- 原因：高血圧、高脂血症、糖尿病、肥満など生活習慣病や心臓病など生活習慣病や喫煙は、脳梗塞の下地となる動脈硬化を促進
- 年間発症者数*：約30万名（日本） *当社調べ
- 治療法：発症数時間以内に「血栓溶解療法」、「抗血小板療法」、「抗凝固療法」、「脳保護療法」が行われる

2018年度中に臨床試験開始予定

| | 品目名 | 開発段階 | 適応症 |
|----------------|--|--------------------|----------------------|
| J-Brain Cargo® | JR-141 (血液脳関門通過型遺伝子組換え イズロン酸-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) |
| J-Brain Cargo® | 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) |
| J-Brain Cargo® | JR-171 (血液脳関門通過型遺伝子組換え α-L-イズロニダーゼ) | 前臨床 | ハーラー症候群 (ライソゾーム病) |
| 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 | JTR-161/JR-161 (歯髄由来幹細胞) | 前臨床 | 急性期脳梗塞 |
| Biosimilar | JR-051 (遺伝子組換えα-ガラクトシダーゼA) | 製造販売 承認申請中 | 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 |
| 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 |

JR-051

ファブリー病治療薬

厚生労働省指定難病

「ファブラザイム」バイオ後続品 (α -galactosidase A)

2017年9月に製造販売承認申請済

- 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 :
 - 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* : 約600名 (日本)、約8,000名 (WW) *当社調べ

国産初のライソゾーム病治療酵素製剤として2018年内に上市予定

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

2018年度中に製造販売承認申請予定

JR-142 持続型成長ホルモン製剤

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

現在、製造プロセスを開発中、
2018年度中に臨床試験開始予定

| 開発番号 | 適応症 | 第42期 2016年度 | 第43期予定 2017年度 | 第44期予定 2018年度 |
|--------------------|----------------------|----------------|-----------------------|-----------------------|
| JR-051 | ファブリー病 (ライソゾーム病) | 臨床 第Ⅱ/Ⅲ相試験 | 製造販売 承認申請済 | 上市 |
| JR-141 | ハンター症候群 (ライソゾーム病) | 臨床 第Ⅰ/Ⅱ相試験 | | 臨床 第Ⅱ/Ⅲ相試験 |
| JR-162 | ポンペ病 (ライソゾーム病) | 前臨床 | | 臨床試験 開始 |
| JR-171 | ハーラー症候群 (ライソゾーム病) | | 前臨床 | |
| JR-032 | ハンター症候群 (ライソゾーム病) | | | |
| JR-101 | ゴーシエ病 (ライソゾーム病) | | | |
| JR-131 | 腎性貧血 | 臨床 第Ⅲ相試験 | | 製造販売 承認申請 |
| JR-142 | 成長障害 | 前臨床 | | 臨床試験 開始 |
| JTR-161/ JR-161 | 急性期脳梗塞 | | 前臨床 | 臨床試験 開始 |

本表における第43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。

飛躍

新たなステージへ向けて飛躍の時

- JR-141(J-Brain Cargo[®]適用IDS)
- JR-162(J-Brain Cargo[®]適用GAA)
- JR-142(持続型成長ホルモン)
- JR-171(J-Brain Cargo[®]適用IDUA)
- JTR-161(歯髄由来幹細胞)
- JR-051「ファブラザイム」バイオ後続品
- JR-131「ネスブ」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



- 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
- 遺伝子治療

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品

- 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

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 ■ 再生医療等製品

Thank you for your attention.



– JCR Biotech for a New Tomorrow –