

















第44期 決算説明会 研究開発

2019年5月16日
J C R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	PhI/II	PhIII	申請	承認	備考
JR-141	ハンター症候群  						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-162	ポンペ病						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-171	ハーラー症候群						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-441	サンフィリップ症候群A型						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-131	腎性貧血						キッセイ薬品工業(株)と 共同開発 バイオ後続品
JR-401X	SHOX異常症						グロウジエクト®適応拡大
JR-142	成長障害						遺伝子組換え持続型成長ホルモン J-MIG System® 採用
JR-041	不妊治療						あすか製薬(株)に導出
JR-031EB	表皮水疱症						テムセル®HS注 適応拡大
JTR161/JR-161	急性期脳梗塞						帝人(株)と共同開発

- 2018年 ○ 11月28日 : **アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」** 薬価収載・販売開始のお知らせ
- 12月21日 : **JR-141** 第I/II相臨床試験結果の論文掲載 (Molecular Therapy) についてのお知らせ
- 12月28日 : **JR-141** 第III相臨床試験の患者登録完了に関するお知らせ 
- 2019年 ○ 2月6日 : **JTR-161** 第I/II臨床試験で投与開始のお知らせ
- 2月12日 : **JR-171** 15th Annual *WORLD Symposium*TM 2019で発表 
- 2月28日 : **JR-141** ブラジルでの第II相臨床試験の患者登録完了に関するお知らせ 
- 2月28日 : **JR-141** 欧州医薬品庁よりオーファンドラッグ指定のお知らせ 
- 3月22日 : **JR-031EB** 製造販売承認申請のお知らせ
- 4月1日 : **JR-142** 第I相臨床試験治験届受理のお知らせ
- 5月10日 : **ペプチドリームとJCRファーマの共同研究**において
血液脳関門通過性を付与するキャリアペプチド創製のお知らせ

	品目名	開発段階	適応症
ライソゾーム病	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)	日本:第III相臨床試験 ブラジル:第II相臨床試験	ハンター症候群
ライソゾーム病	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	JR-441 (血液脳関門通過型遺伝子組換え ヘパランN-スルファターゼ)	前臨床	サンフィリッポ症候群A型
ライソゾーム病	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
再生医療等製品	JR-031EB (ヒト間葉系幹細胞)	製造販売承認申請	表皮水疱症
再生医療等製品	JTR-161/JR-161 (ヒト歯髓由来幹細胞)	第I/II相臨床試験	急性期脳梗塞
バイオ後続品	JR-131 (遺伝子組換えダルベポエチンアルファ)	製造販売承認申請	腎性貧血
成長ホルモン	JR-142 (遺伝子組換え持続型成長ホルモン)	第I/II相臨床試験 治験届受理	成長障害

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**

適応症

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250名** (日本)、**約7,800名** (WW) *当社調べ
- 市場規模* : **約80億円** (2018年/日本)、**約910億円** (2018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**

現在の治療は血液脳関門を通過せず、**中枢神経症状に効果がない**

JR-141

血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症

ハンター症候群（ムコ多糖症II型）

厚生労働省指定難病



- 2019年2月に欧州医薬品庁よりオーファンドラッグに指定



- 2018年3月に厚生労働省より、「先駆け審査指定制度」の対象品目に指定
- 2018年8月から第III相臨床試験実施中
⇒全被験者への投与開始済み



米国
JCR USA, Inc.

- 2018年10月に米国食品医薬品局よりオーファンドラッグに指定



ブラジル

- 2018年6月から第II相臨床試験実施中
⇒全被験者への投与開始済み


2020年度中に
日本での製造販売承認申請を目指す

JR-441**血液脳関門通過型 遺伝子組換えヘパランN-スルファターゼ**

適応症

サンフィリップ症候群A型（ムコ多糖症IIIA型）

厚生労働省指定難病

- 患者数*： **約60名**（日本）、**約6,900名**（WW） * A型B型患者総数（当社調べ）
- 症状： 中枢神経症状、睡眠障害、肝脾腫、痙攣発作
- 原因： ライソゾーム内のヘパランN-スルファターゼが生まれつき不足、または欠損
- 治療法： **現在有効な治療法はない**  **画期的な治療薬の開発が切望されている**

- 動物試験にて、脳への薬剤移行や脳内に蓄積したヘパラン硫酸の減少効果において良好な結果

2020年度中の臨床試験開始を目指す

JR-162 J-Brain Cargo®適用 遺伝子組換え酸性α-グルコシダーゼ

適応症

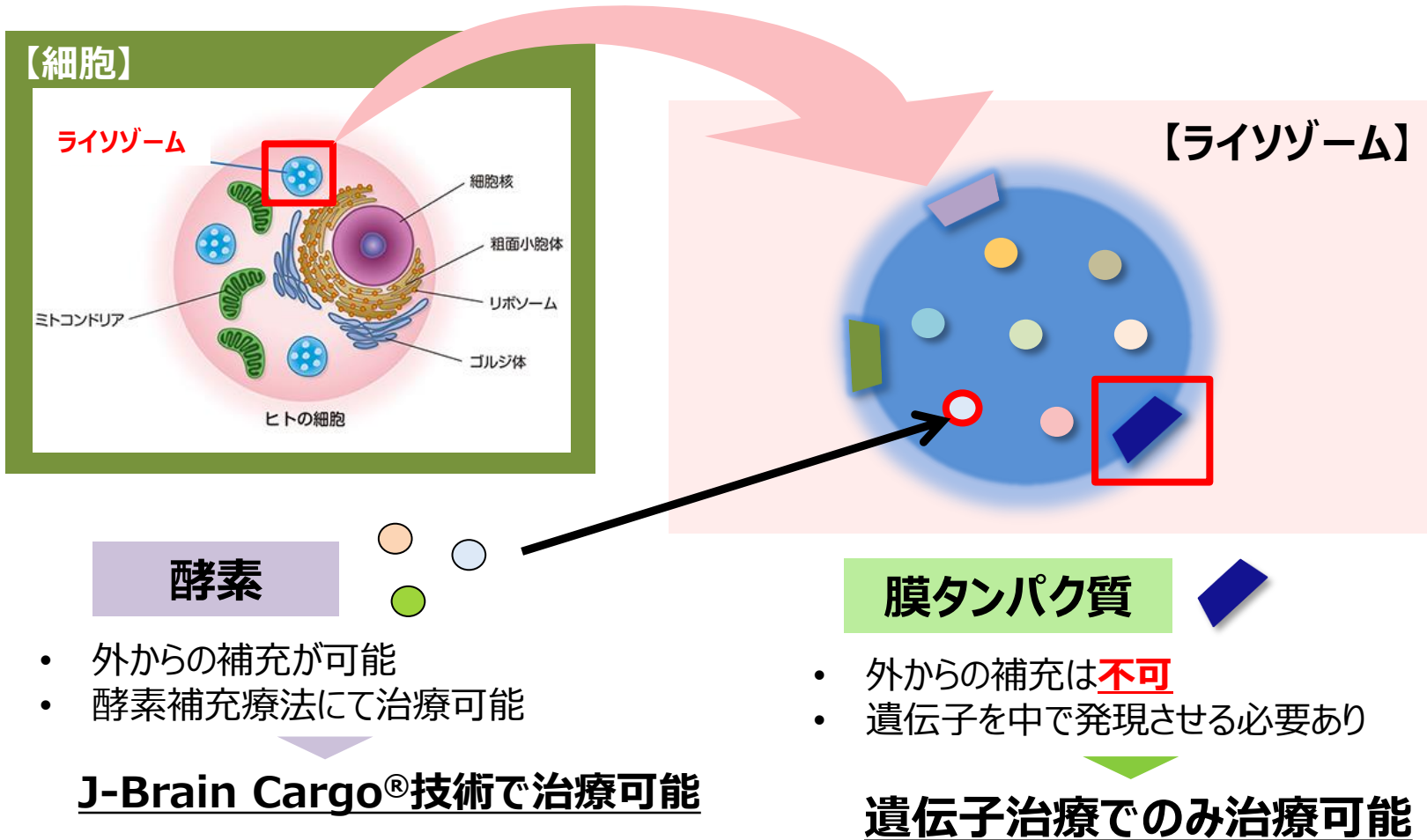
ポンペ病

厚生労働省指定難病

- 患者数* : 約80名 (日本)、約10,600名 (WW) *当社調べ
- 市場規模* : 約30億円 (2018年/日本)、約990億円 (2018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

骨格筋・呼吸筋・心筋のみならず
中枢神経系組織においても良好な薬効を確認

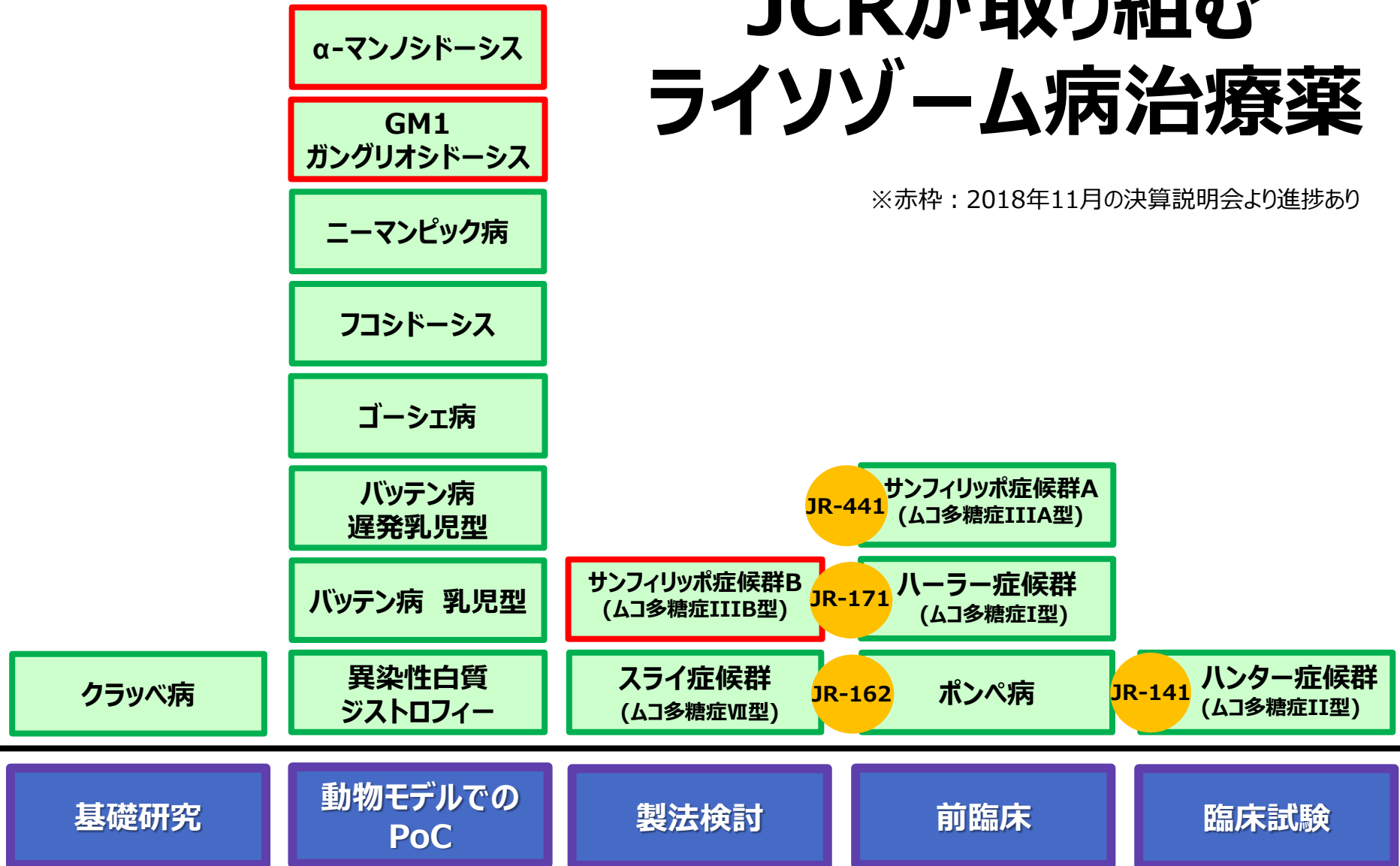
遺伝子治療 Gene Therapy



2021年度中の臨床試験開始を目指す

JCRが取り組む ライソゾーム病治療薬

※赤枠：2018年11月の決算説明会より進捗あり



「J-Brain Cargo[®]」の可能性

他社との協業

ペプチドリーム株式会社

J-Brain Cargo[®]



2016 ● 共同研究契約を締結

2019 ● 血液脳関門通過性を付与する
キャリアペプチドの創製に成功



現在有効な治療薬が存在しない
様々な中枢神経系疾患等への応用が可能

	品目名	開発段階	適応症
ライソゾーム病	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)	日本:第III相臨床試験 ブラジル:第II相臨床試験	ハンター症候群
ライソゾーム病	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	JR-441 (血液脳関門通過型遺伝子組換え ヘパランN-スルファターゼ)	前臨床	サンフィリッポ症候群A型
ライソゾーム病	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
再生医療等製品	JR-031EB (ヒト間葉系幹細胞)	製造販売承認申請	表皮水疱症
再生医療等製品	JTR-161/JR-161 (ヒト歯髓由来幹細胞)	第I/II相臨床試験	急性期脳梗塞
バイオ後続品	JR-131 (遺伝子組換えダルベポエチンアルファ)	製造販売承認申請	腎性貧血
成長ホルモン	JR-142 (遺伝子組換え持続型成長ホルモン)	第I/II相臨床試験 治験届受理	成長障害

JR-031EB

テムセル適応拡大 ヒト間葉系幹細胞



適応症

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*：約500-640名（日本）※治療対象は重症度の高い300名程度

*当社調べ

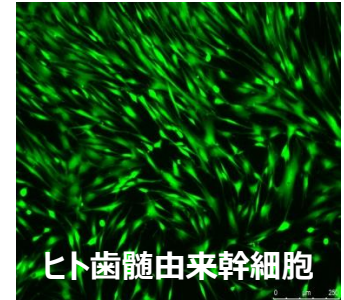
- 2018年：希少疾病用再生医療等製品に指定

2019年3月：製造販売承認申請

2019年度中に承認予定

JTR-161/JR-161

ヒト歯髄由来幹細胞



適応症

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

TEIJIN

2017年7月 :
帝人株式会社と急性期脳梗塞を適応症とした
共同開発契約・実施許諾契約を締結

2019年2月 : 第I/II相臨床試験にて患者投与開始

	品目名	開発段階	適応症
ライソゾーム病	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)	日本:第III相臨床試験 ブラジル:第II相臨床試験	ハンター症候群
ライソゾーム病	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	JR-441 (血液脳関門通過型遺伝子組換え ヘパランN-スルファターゼ)	前臨床	サンフィリッポ症候群A型
ライソゾーム病	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
再生医療等製品	JR-031EB (ヒト間葉系幹細胞)	製造販売承認申請	表皮水疱症
再生医療等製品	JTR-161/JR-161 (ヒト歯髄由来幹細胞)	第I/II相臨床試験	急性期脳梗塞
バイオ後続品	JR-131 (遺伝子組換えダルベポエチンアルファ)	製造販売承認申請	腎性貧血
成長ホルモン	JR-142 (遺伝子組換え持続型成長ホルモン)	第I/II相臨床試験 治験届受理	成長障害

JR-131

遺伝子組換えダルベポエチンアルファ



適応症

腎性貧血

- 2013年9月：キッセイ薬品工業株式会社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III相臨床試験：有効性の同等性検証/安全性の比較検討
 - ・有効性主要評価項目の同等性検証
 - ・安全性プロファイルの類似性確認

2018年9月：製造販売承認申請

2019年中に製造販売承認取得予定

JR-142

遺伝子組換え持続型成長ホルモン

適応症

小児成長ホルモン分泌不全性低身長症

特許出願済

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

● 2019年4月：第I相臨床試験治験届受理

試験デザイン

- 対象：健康な成人男性31名
- 評価項目：安全性、薬物動態

2019年5月：臨床試験開始予定

開発番号	適応症	前臨床	PhI/II	PhIII	申請	承認	備考
JR-141	ハンター症候群  						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-162	ポンペ病						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-171	ハーラー症候群						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-441	サンフィリップ症候群A型						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-131	腎性貧血						キッセイ薬品工業(株)と 共同開発 バイオ後続品
JR-401X	SHOX異常症						グロウジエクト®適応拡大
JR-142	成長障害						遺伝子組換え持続型成長ホルモン J-MIG System® 採用
JR-041	不妊治療						あすか製薬(株)に導出
JR-031EB	表皮水疱症						テムセル®HS注 適応拡大
JTR161/JR-161	急性期脳梗塞						帝人(株)と共同開発

一歩先を行く、
独自の研究開発技術で
日本発・世界初の新薬を創製



バイオ医薬品
Bio Drug

希少疾病・難病

細胞治療
再生医療
Cell Therapy

遺伝子治療
Gene Therapy



– JCR Biotech for a New Tomorrow –

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。