








# 第44期 中間決算説明会 (研究開発)

2018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 0797-32-1995)

開発番号	適応症	前臨床	Ph I / II	Ph III	申請	承認	備考	
<b>アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」</b>	ファブリー病						★	酵素補充療法 バイオ後続品
<b>JR-141</b>	ハンター症候群				★			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
				★				
<b>JR-162</b>	ポンペ病							酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
<b>JR-171</b>	ハーラー症候群							酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
<b>JR-441 NEW</b>	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
<b>JR-131</b>	腎性貧血					★		キッセイ薬品工業(株)と 共同開発 バイオ後続品
<b>JR-401X</b>	SHOX異常症				★			グロウジェクト®適応拡大
<b>JR-142</b>	成長障害							遺伝子組換え持続型成長ホルモン J-MIG System® 採用
<b>JR-041</b>	不妊治療							あすか製薬(株)に導出
<b>JR-031EB NEW</b>	表皮水疱症				★			テムセル®HS注 適応拡大
<b>JTR161/JR-161</b>	急性期脳梗塞		★					帝人(株)と共同開発 再生医療等製品

- 5月28日 血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤 (JR-141) ブラジルにおける治験計画届受理のお知らせ 
- 6月1日 血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤 (JR-141) 治験計画届受理および第Ⅲ相臨床試験開始予定のお知らせ 
- 6月29日 血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤 (JR-141) 第Ⅱ相臨床試験開始のお知らせ 
- 7月2日 遺伝子組換えヒト成長ホルモン製剤「グロウジェクト®」への効能追加  
SHOX異常症 (JR-401X) 第Ⅲ相臨床試験開始のお知らせ
- 8月9日 血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤 (JR-141) 第Ⅲ相臨床試験開始のお知らせ 
- 9月14日 J-Brain Cargo®を利用した新薬 (サンフィリップ症候群A型治療酵素製剤) 開発のお知らせ
- 9月21日 ファブリー病治療酵素製剤「アガルシダーゼ ベータBS点滴静注『JCR』」製造販売承認取得に関するお知らせ
- 9月28日 持続型赤血球造血刺激因子製剤 (JR-131) 製造販売承認申請のお知らせ
- 10月19日 血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤 (JR-141)  
米国食品医薬品局よりオーファンドラッグ指定のお知らせ 
- 10月29日 ヒト (同種) 骨髄由来間葉系幹細胞「テムセル®HS注」  
表皮水疱症への適応拡大 (JR-031EB) に向けた開発のお知らせ

	品目名	開発段階	適応症
ライソゾーム病 バイオ後続品	<b>アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」</b> (遺伝子組換え $\alpha$ -ガラクトシダーゼA)	<b>製造販売承認取得</b>	ファブリー病
ライソゾーム病	<b>JR-441</b> (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	サンフィリップ症候群A型
ライソゾーム病	<b>JR-141</b> (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)	<b>日本:第Ⅲ相臨床試験</b> <b>ブラジル:第Ⅱ相臨床試験</b>	ハンター症候群
再生医療等 製品	<b>JR-031EB</b> テムセル®HS注 適応拡大	製造販売承認申請 準備中	表皮水疱症
再生医療等 製品	<b>JTR-161/JR-161</b> (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	<b>JR-131</b> (遺伝子組換えガルベポエチン)	製造販売承認申請	腎性貧血
成長ホルモン	<b>JR-401X</b> グロウジェクト® 適応拡大	第Ⅲ相臨床試験	SHOX異常症
成長ホルモン	<b>JR-142</b> (遺伝子組換え持続型成長ホルモン)	前臨床	成長障害



JCR初のライソゾーム病治療酵素製剤

# アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」

2015

JR-051臨床試験開始

2017

9月：製造販売承認申請

2018

9月：製造販売承認取得



(左) アガルシダーゼ ベータBS点滴静注5mg「JCR」  
(右) アガルシダーゼ ベータBS点滴静注35mg「JCR」

**国産初**  
ライソゾーム病  
治療酵素製剤

国内における  
**無血清培養**での  
高品質製造

先行品と  
同等の  
**有効性と安全性**

## 薬価収載同日発売予定



## JCR初のライソゾーム病治療酵素製剤

# アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」

### ➤ ファブリー病

厚生労働省指定難病

- 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240億円** (2017年度/日本)、 **約1,350億円** (2017年/WW)
- 患者数\* : **約800名** (日本)、 **約18,000名** (WW) \*当社調べ

JR-441

## 血液脳関門通過型 サンフィリッポ症候群A型治療薬 **NEW**

### ➤ サンフィリッポ症候群A型（ムコ多糖症ⅢA型）

厚生労働省指定難病

■ 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

■ 症状： 中枢神経症状、睡眠障害、肝脾腫、痙攣発作

■ 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**

■ 患者数\*： **約60名**（日本）、**約6,890名**（WW）

\* A型B型患者総数（当社調べ）

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

# 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

- 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**

■ 患者数\* : 約100-200名 (日本)、約2,000名 (WW)

■ 市場規模\* : 約80億円 (2017年度/日本)、約650億円 (2017年/WW)

\*当社調べ



「先駆け審査指定制度」  
対象品目に指定

2018年8月：  
第Ⅲ相臨床試験開始



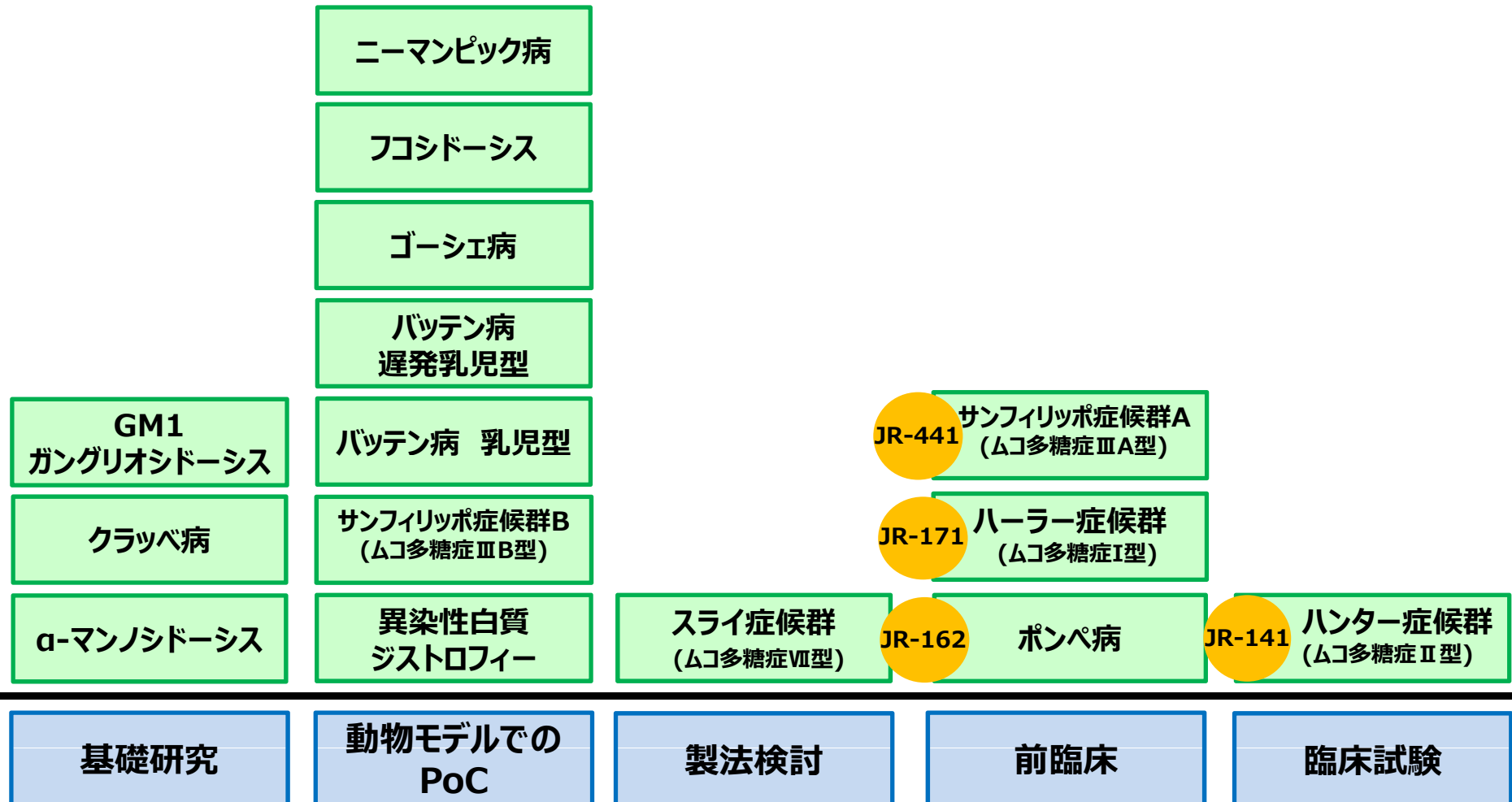
2018年6月：  
第Ⅱ相臨床試験開始



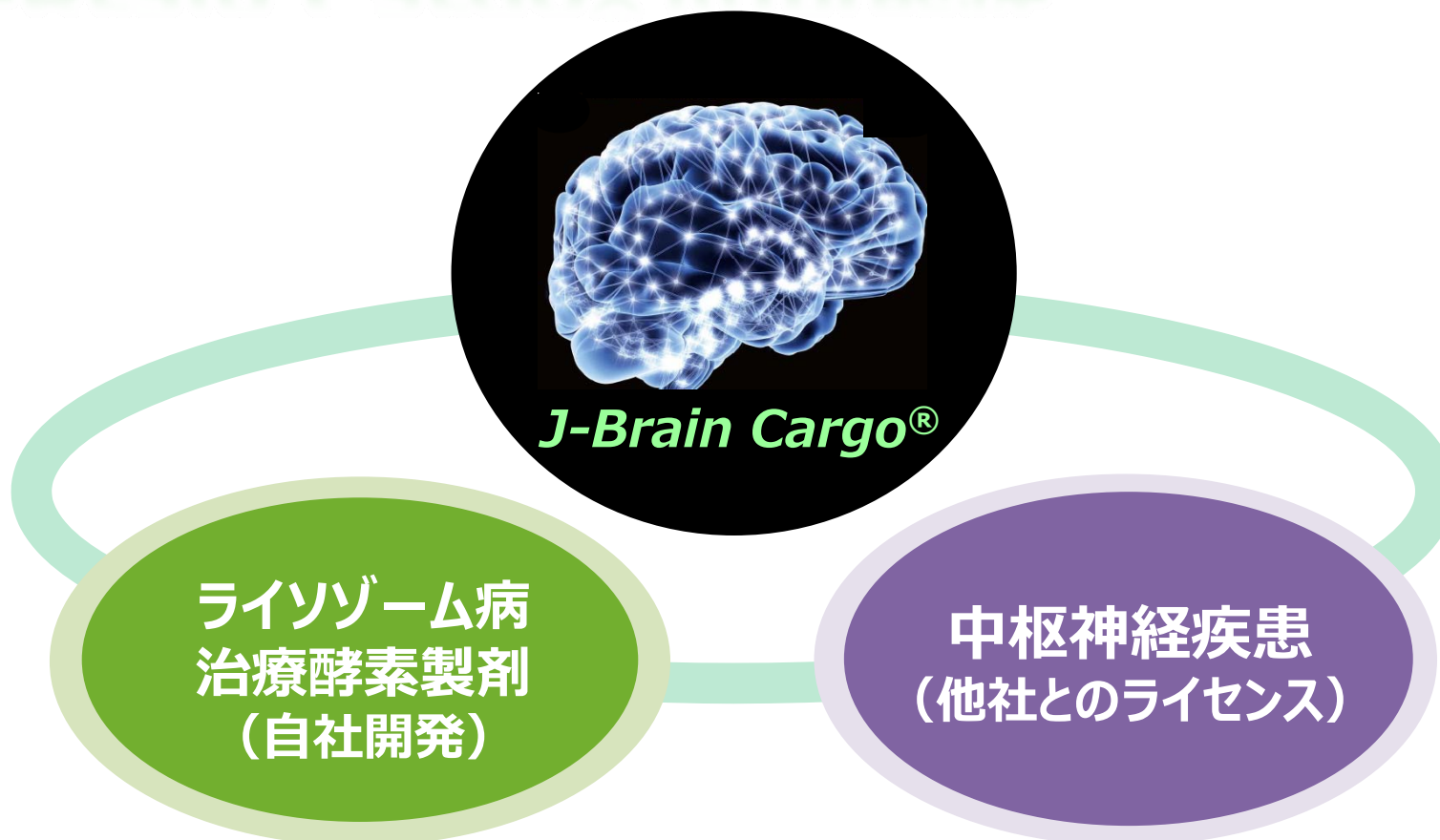
2018年10月：**NEW**  
オーファンドラッグに指定

# グローバル展開に向けて開発を加速

# JCR独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo®」を用いた ライソゾーム病15疾患の治療薬を積極的に開発



# 「J-Brain Cargo<sup>®</sup>」の可能性



様々な疾患への応用が可能

	品目名	開発段階	適応症
ライソゾーム病 バイオ後続品	<b>アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」</b> (遺伝子組換え $\alpha$ -ガラクトシダーゼA)	<b>製造販売承認取得</b>	ファブリー病
ライソゾーム病	<b>JR-441</b> (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	サンフィリップ症候群A型
ライソゾーム病	<b>JR-141</b> (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)	<b>日本: 第Ⅲ相臨床試験</b> <b>ブラジル: 第Ⅱ相臨床試験</b>	ハンター症候群
再生医療等 製品	<b>JR-031EB</b> テムセル®HS注 適応拡大	製造販売承認申請 準備中	表皮水疱症
再生医療等 製品	<b>JTR-161/JR-161</b> (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	<b>JR-131</b> (遺伝子組換えガルベポエチン)	製造販売承認申請	腎性貧血
成長ホルモン	<b>JR-401X</b> グロウジェクト® 適応拡大	第Ⅲ相臨床試験	SHOX異常症
成長ホルモン	<b>JR-142</b> (遺伝子組換え持続型成長ホルモン)	前臨床	成長障害

**JR-031EB**

## テムセル®HS注 適応拡大



2018年10月：

「表皮水疱症」の適応で希少疾病用再生医療等製品に指定

### ➤ 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

- 大阪大学医学部附属病院による医師主導治験：

**目標症例数の投与が完了し、良好な結果を確認**

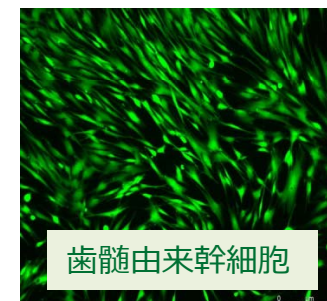
**2018年度内の製造販売承認申請を目指す**

## JTR-161/JR-161 歯髓由来幹細胞

テムセル®HS注に続く、新たな細胞治療・再生医療等製品

**TEIJIN**

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  
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10月より第 I / II 相臨床試験開始**

	品目名	開発段階	適応症
ライソゾーム病 バイオ後続品	<b>アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」</b> (遺伝子組換え $\alpha$ -ガラクトシダーゼA)	<b>製造販売承認取得</b>	ファブリー病
ライソゾーム病	<b>JR-441</b> (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	サンフィリップ症候群A型
ライソゾーム病	<b>JR-141</b> (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)	<b>日本:第Ⅲ相臨床試験</b> <b>ブラジル:第Ⅱ相臨床試験</b>	ハンター症候群
再生医療等 製品	<b>JR-031EB</b> テムセル®HS注 適応拡大	製造販売承認申請 準備中	表皮水疱症
再生医療等 製品	<b>JTR-161/JR-161</b> (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	<b>JR-131</b> (遺伝子組換えガルベポエチン)	製造販売承認申請	腎性貧血
成長ホルモン	<b>JR-401X</b> グロウジェクト® 適応拡大	第Ⅲ相臨床試験	SHOX異常症
成長ホルモン	<b>JR-142</b> (遺伝子組換え持続型成長ホルモン)	前臨床	成長障害

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 (ダルベポエチンアルファ)



- 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

## 成長ホルモン製剤

**JR-401X**

### 遺伝子組換えソマトロピン

成長ホルモン製剤「グロウジェクト®」適応拡大

- 適応症：**SHOX異常症における低身長**

2018年7月：第Ⅲ相臨床試験開始

**JR-142**

### 遺伝子組換え持続型成長ホルモン

- 独自の改変型アルブミン融合によって、  
バイオ医薬品の血中半減期を大幅に延長する技術を開発

臨床試験開始に向けて準備中

開発番号	適応症	前臨床	Ph I / II	Ph III	申請	承認	備考	
<b>アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」</b>	ファブリー病						★	酵素補充療法 バイオ後続品
<b>JR-141</b>	ハンター症候群				★			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
			★					
<b>JR-162</b>	ポンペ病						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用	
<b>JR-171</b>	ハーラー症候群						酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用	
<b>JR-441 NEW</b>	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	
<b>JR-131</b>	腎性貧血					★	キッセイ薬品工業(株)と 共同開発 バイオ後続品	
<b>JR-401X</b>	SHOX異常症				★		グロウジェクト®適応拡大	
<b>JR-142</b>	成長障害						遺伝子組換え持続型成長ホルモン J-MIG System® 採用	
<b>JR-041</b>	不妊治療						あすか製薬(株)に導出	
<b>JR-031EB NEW</b>	表皮水疱症				★		テムセル®HS注 適応拡大	
<b>JTR161/JR-161</b>	急性期脳梗塞			★			帝人(株)と共同開発 再生医療等製品	



– 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。