



希少疾病・難病 - JCRファーマの挑戦 -

2019年3月12日

JCRファーマ株式会社 執行役員 経営企画本部長 本多 裕
(証券コード：4552)



1. JCRの研究開発について
2. 主力製品
3. 会社概要



稀少疾病

難病

希少疾病・難病

Rare Disease

対象患者数が日本において5万人未満

- 厚生労働省 定義 -

希少疾病・難病の現状

- ✓ 患者数が少ない

「100万人に1人」の疾患が多い

- ✓ 重篤

慢性・進行性の疾患が多く、長期治療が必要

- ✓ 病気のメカニズムが複雑

開発企業が少ない

薬が少ない/無い

希少疾病・難病

| | | | |
|----------------------------|--------------|------------|--------------------|
| 球脊髄性筋萎縮症 | 皮膚筋炎／多発性筋炎 | CFC症候群 | レット症候群 |
| 筋萎縮性側索硬化症 | 全身性強皮症 | コステロ症候群 | スタージ・ウェーバー症候群 |
| 脊髄性筋萎縮症 | 混合性結合組織病 | ー症候群 | 結節性硬化症 |
| 原発性側索硬化症 | シェーグレン症候群 | ピリン関連発熱症候群 | 色素性乾皮症 |
| 進行性核上性麻痺 | 成人スチル病 | 製着年性特発性関節炎 | 先天性魚鱗癬 |
| パーキンソン病 | 再発性多発軟骨炎 | 容体関連周期性発熱群 | 家族性良性慢性天疱瘡 |
| 大脳皮質基底核変性症 | パーチエツト病 | 型溶血性尿毒症候群 | 類天疱瘡(後天性表皮水疱症を含む。) |
| ハンチントン病 | 符號性孤張型心筋症 | ワ症候群 | 特発性後天性全身性無汗症 |
| 神経有棘赤血球症 | 肥大型心筋症 | 性オババ | 眼皮膚白皮症 |
| シャルコー・マリー・トゥース病 | 拘束型心筋症 | グレン症候群 | 肥厚性皮膚骨膜炎 |
| 重症筋無力症 | 再生不良性貧血 | 症候群 | 弾性線維性仮性黄色腫 |
| 先天性筋無力症候群 | 自己免疫性溶血性貧血 | 症候群 | マルファン症候群 |
| 多発性硬化症／視神経脊髄炎 | 発作性夜間ヘモグロビン尿 | 症候群 | ユーラス・ダンロス症候群 |
| 慢性炎症性脱髄性多発神経炎／多発性運動ニューロパチー | 特発性血小板減少性紫斑病 | 症候群 | ダングス病 |
| 封入体筋炎 | 血栓性血小板減少症 | 症候群 | オタシビタル・ホーン症候群 |
| クロー・深瀬症候群 | 原発性多発性骨髄腫 | 症候群 | ワイルソン病 |
| 多系統萎縮症 | 加齢性骨髄質減少症 | 症候群 | 低ホスファターゼ症 |
| 脊髄小脳変性症(多系統萎縮症を除く。) | 多発性骨髄質減少症 | 症候群 | WATER症候群 |
| ライソゾーム病 | 寛解性骨髄質減少症 | 症候群 | 那須・ハコフ病 |
| 副腎白質ジストロフィー | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | ワイバ 症候群 |
| ミトコンドリア病 | 好中球性骨髄質減少症 | 症候群 | コフィン・ローリー 症候群 |
| もやもや病 | 好塩基性骨髄質減少症 | 症候群 | 有馬症候群 |
| プリオン病 | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | モック・ウィルソン症候群 |
| 亜急性硬化性全脳炎 | 好中球性骨髄質減少症 | 症候群 | ウィリアムズ症候群 |
| 進行性多巣性白質脳症 | 好塩基性骨髄質減少症 | 症候群 | ATR-X症候群 |
| HTLV-1関連脊髄症 | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | クルーゾン症候群 |
| 特発性基底核石灰化症 | 好中球性骨髄質減少症 | 症候群 | アペール症候群 |
| 全身性アミロイドーシス | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | ファイファー症候群 |
| ウルリッヒ病 | 好塩基性骨髄質減少症 | 症候群 | アントレー・ピクスラー症候群 |
| 遠位型ミオパチー | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | コフィン・シリス症候群 |
| ベスレムミオパチー | 好中球性骨髄質減少症 | 症候群 | ロスモンド・トムソン症候群 |
| 自己食食空胞性ミオパチー | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | 数種症候群 |
| シュワルツ・ヤンヘル症候群 | 好塩基性骨髄質減少症 | 症候群 | 多脚症候群 |
| 神経線維腫症 | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | 無蹄症候群 |
| 天疱瘡 | 好中球性骨髄質減少症 | 症候群 | 鏡耳腎症候群 |
| 表皮水疱症 | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | ウェルナー症候群 |
| 膿疱性乾癬(汎発型) | 好塩基性骨髄質減少症 | 症候群 | コケイン症候群 |
| スティーヴンス・ジョンソン症候群 | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | フラダー・ウィリ症候群 |
| 中毒性表皮壊死症 | 好中球性骨髄質減少症 | 症候群 | ソラス症候群 |
| 高安動脈炎 | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | メーナン症候群 |
| 巨細胞性動脈炎 | 好塩基性骨髄質減少症 | 症候群 | ヤング・シンブソン症候群 |
| 結節性多発動脈炎 | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | 1p36欠失症候群 |
| 顕微鏡的多発血管炎 | 好中球性骨髄質減少症 | 症候群 | 4p欠失症候群 |
| 多発血管炎性肉芽腫症 | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | 5p欠失症候群 |
| 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症 | 好塩基性骨髄質減少症 | 症候群 | 第14番染色体父親性ダイソミー症候群 |
| 悪性関節リウマチ | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | アンジェルマン症候群 |
| パージャー病 | 好中球性骨髄質減少症 | 症候群 | スミス・マガニス症候群 |
| 原発性抗リン脂質抗体症候群 | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | 22q11.2欠失症候群 |
| 全身性エリテマトーデス | 好塩基性骨髄質減少症 | 症候群 | エマヌエル症候群 |
| | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | 脆弱X症候群関連疾患 |
| | 好中球性骨髄質減少症 | 症候群 | 脆弱X症候群 |
| | 好酸球性骨髄質減少症 | 症候群 | 総動脈幹狭窄症 |
| | 好塩基性骨髄質減少症 | 症候群 | 修正大血管転位症 |

約330疾患

難病や希少疾病に立ち向かう人がいる。

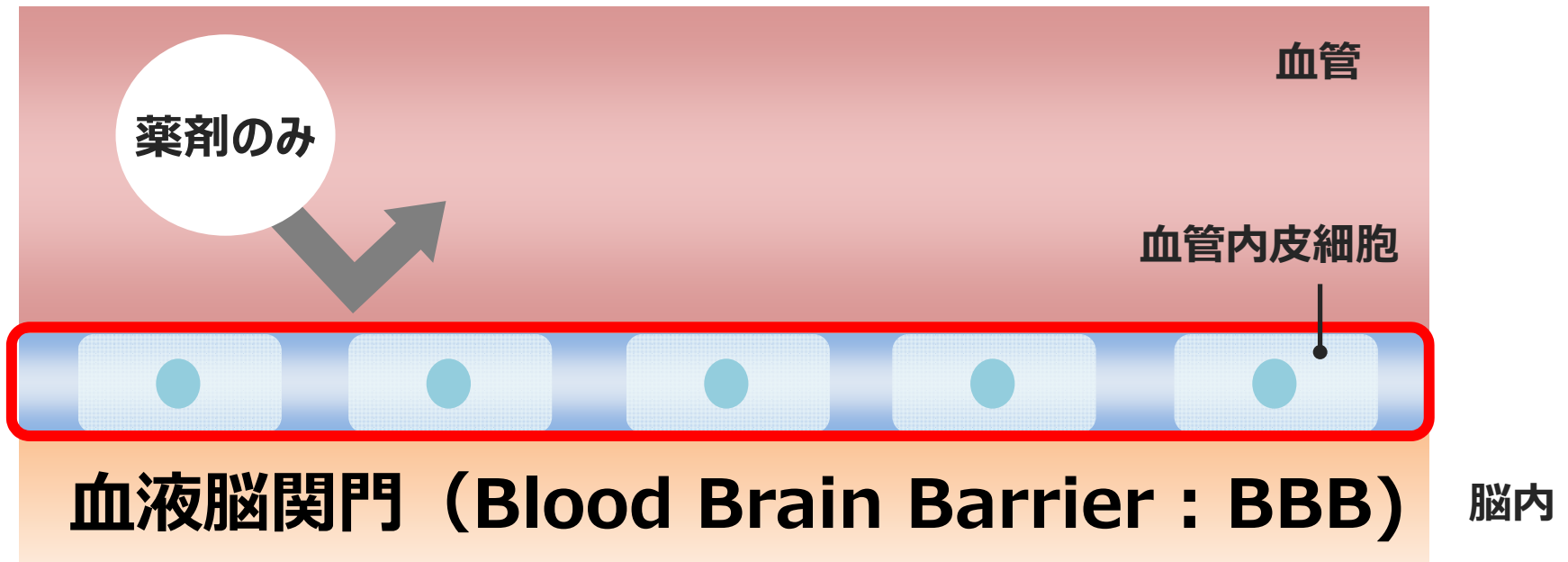
明日につながる新しい薬を待つ人がいる。

世界中から届く小さな声に、期待にこたえたい。

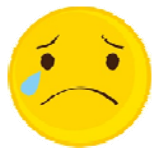
独自技術を利用した 希少疾病への挑戦



脳には多くの血管が張り巡らされている



脳内への物質輸送を制限し、脳の機能を健全に保つ。



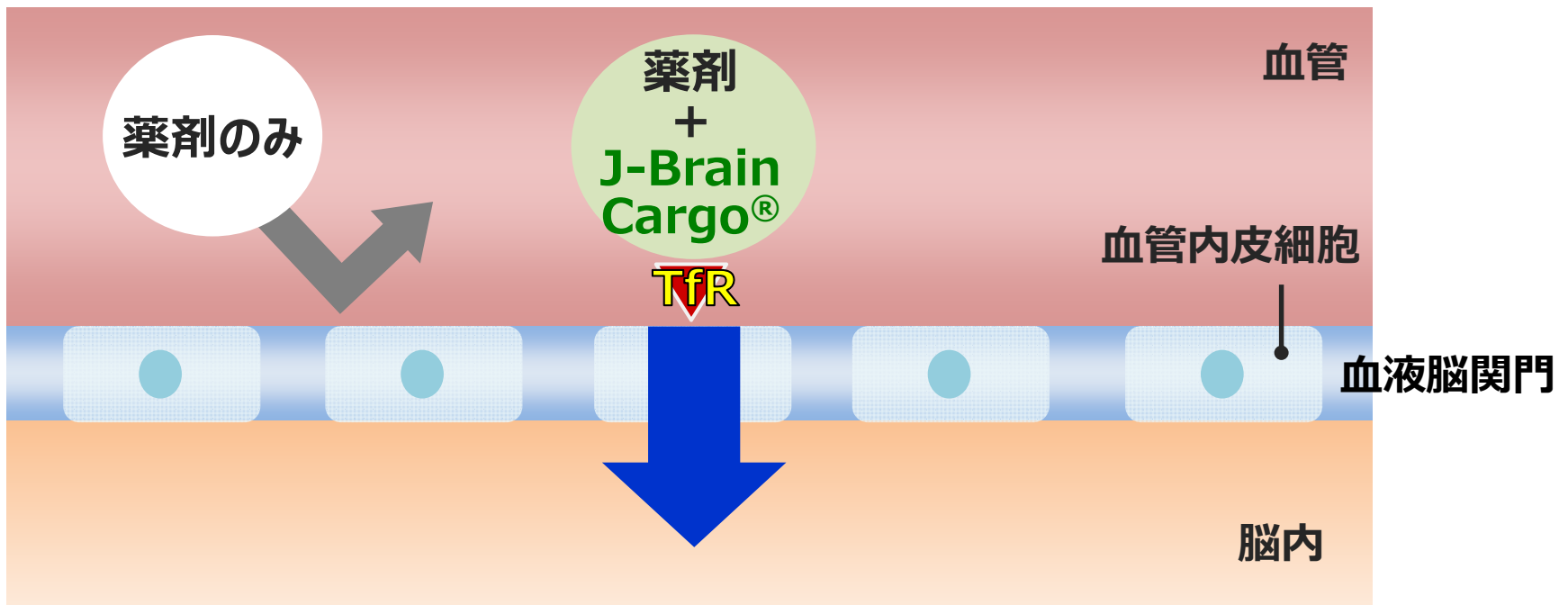
脳の疾患に必要な物質までをもブロック。
治療に向けては大きな障壁！

JCRの独自技術 血液脳関門通過技術

J-Brain Cargo[®]



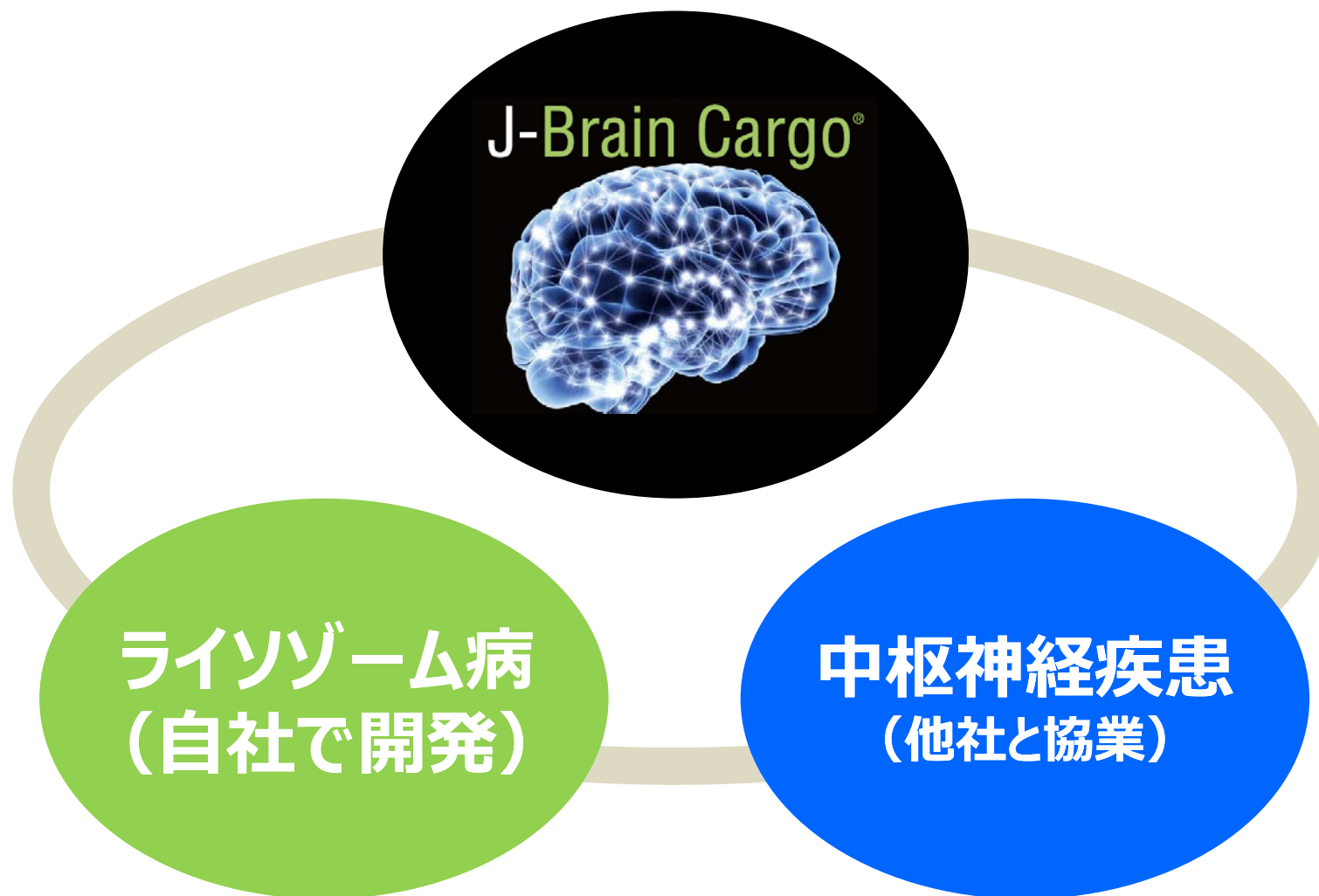
J-Brain Cargo® (血液脳関門通過技術)



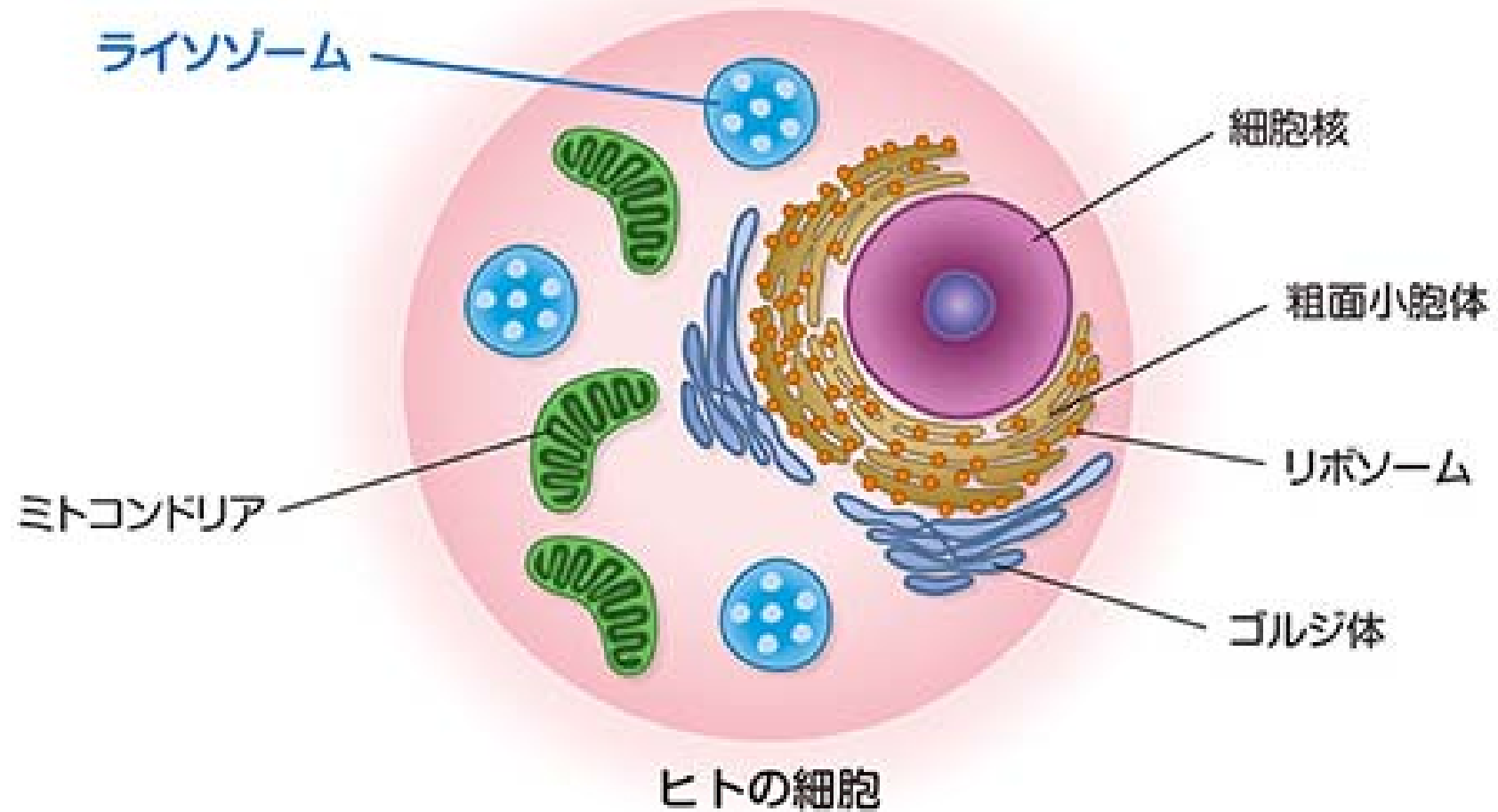
世界初

脳内に薬剤を効率的に
届けることに成功

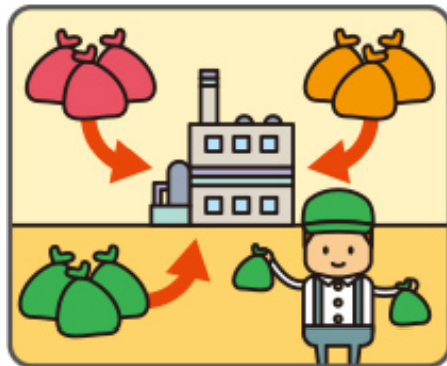
様々な疾患への応用が可能



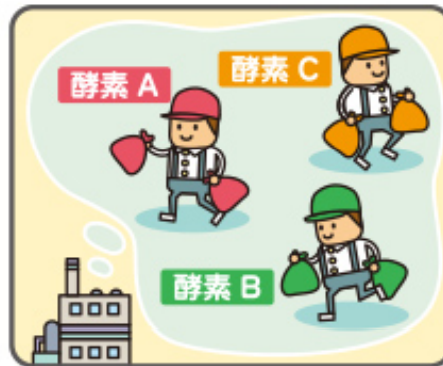
ライソゾーム病



ライソゾームの役割



1 ライソゾームは細胞の中の“ごみ処理工場”



2 細胞の内外の老廃物がこのライソゾームにある「酵素」で分解され、代謝される



3 特定の酵素が生まれつき欠損、または働きが低下していると…



4 老廃物が体内に蓄積し、さまざまな症状を引き起こす

50種類以上のライソゾーム病が知られている

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* : 約100-200名 (日本)、約3,600名 (WW) *当社調べ
- 市場規模* : 約80億円 (2017年度/日本)、約740億円 (2017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

血液脳関門通過型ハンター症候群治療薬

NEW 欧州



2019年2月に
欧州医薬品庁より
オーファン指定

日本



- ・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

2020年の製造販売承認申請を目指す

米国



2018年10月に
米国食品医薬品局より
オーファンドラッグ指定

ブラジル





2018年6月から
第II相臨床試験 実施中

その他の地域への展開も現在検討中

* 当社調べ

** 日本: FY2017 WW: 2017

| 開発番号 | 適応症 | 開発状況 | 患者数* (名) | | 市場規模* (円) | |
|---------------|--------------|---|--------------------|-----------------------|-----------|-------|
| | | | 日本 | WW | 日本** | WW** |
| JR-141 | ハンター症候群 |  第III相試験  第II相試験 | 100-200 | 3,600 | 約80億 | 約740億 |
| JR-162 | ポンペ病 | 前臨床 | 80 | 10,000 | 約33億 | 約900億 |
| JR-171 | ハーラー症候群 | 前臨床 | 50 | 3,000 | 約15億 | 約230億 |
| JR-441 | サンフィリッポ症候群A型 | 前臨床 | 60 (A型B型 総数) | 6,890 (A型B型 総数) | | |

**他にも、上記4疾患を含めライソゾーム病15疾患
の治療薬を積極的に開発**

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

| 開発番号 | 適応症 | 前臨床 | Ph I / II | Ph III | 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 |  | | | | | グロウジェクト®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 |

1. JCRの研究開発について
2. 主力製品
3. 会社概要

遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン製剤
グロウジェクト®



遺伝子組換えヒトエリスロポエチン製剤
エポエチンアルファBS注JCR



ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞
テムセル®HS注



遺伝子組換え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」



遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン製剤

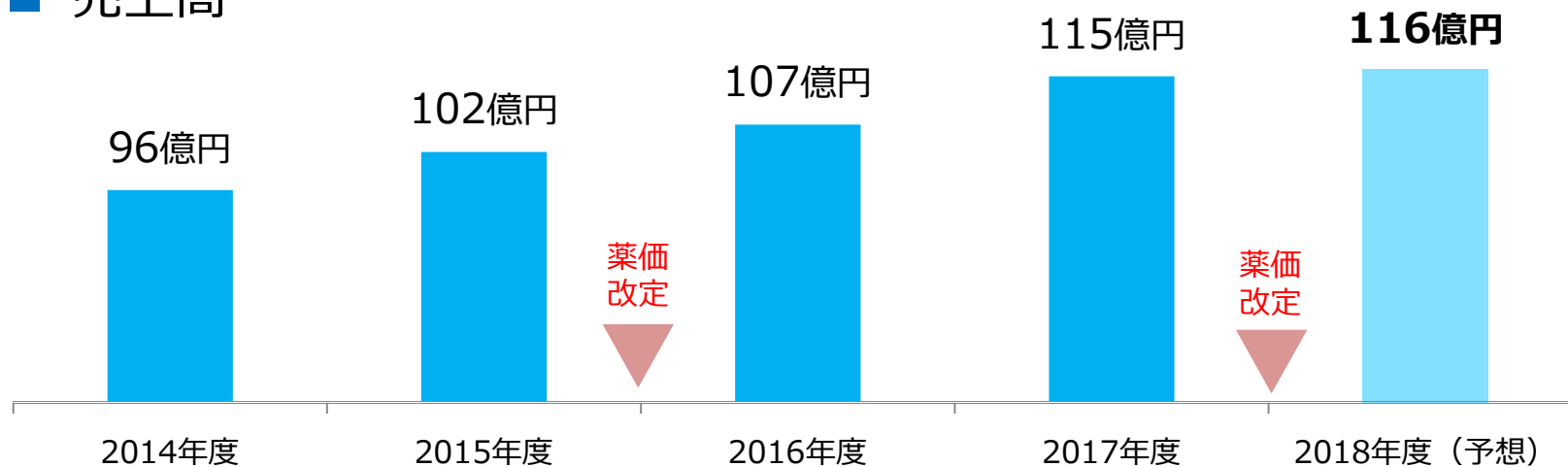
グロウジェクト®

■ 適応症

- 成長ホルモン分泌不全性低身長症
- ターナー症候群
- 成人成長ホルモン分泌不全症
- SGA性低身長症



■ 売上高



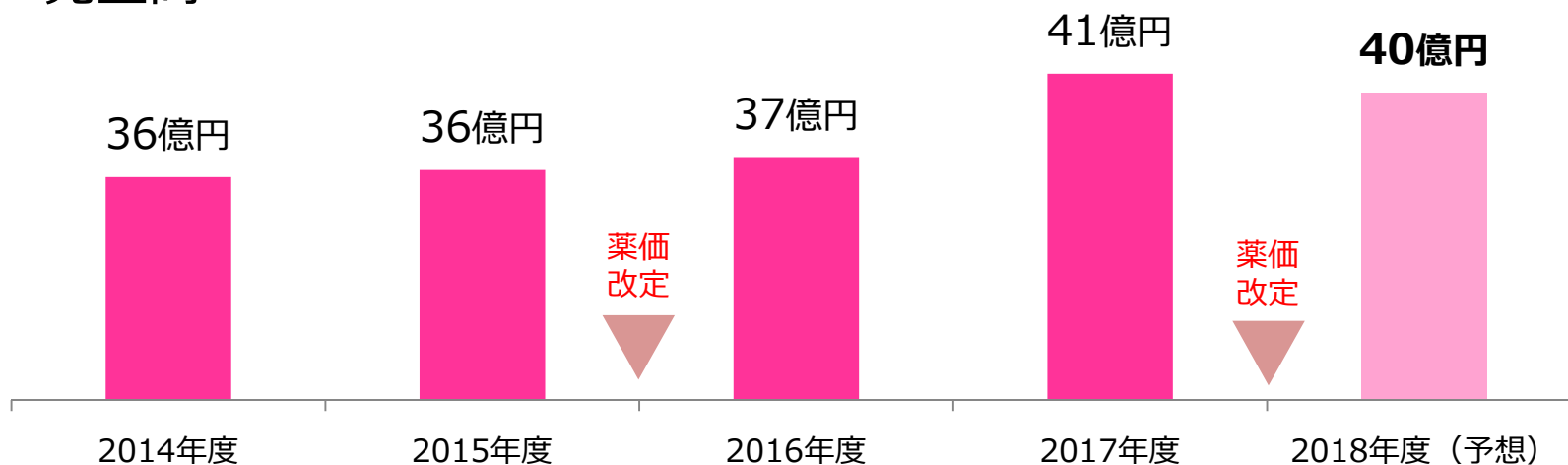
遺伝子組換えヒトエリスロポエチン製剤 エポエチンアルファBS注JCR

■ 適応症

- ・ 透析施行中の腎性貧血
- ・ 未熟児貧血

キッセイ薬品工業と コ・プロモーション

■ 売上高



国産初
バイオ後続品



ヒト体性加工幹細胞加工製品
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



間葉系幹細胞を用いた
移植片対宿主病治療製品

■ 売上高



JCR初のライソゾーム病治療酵素製剤

NEW

遺伝子組換え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」

■ 適応症

ファブリー病（厚生労働省指定難病）

**2018年11月28日
薬価収載・販売開始**

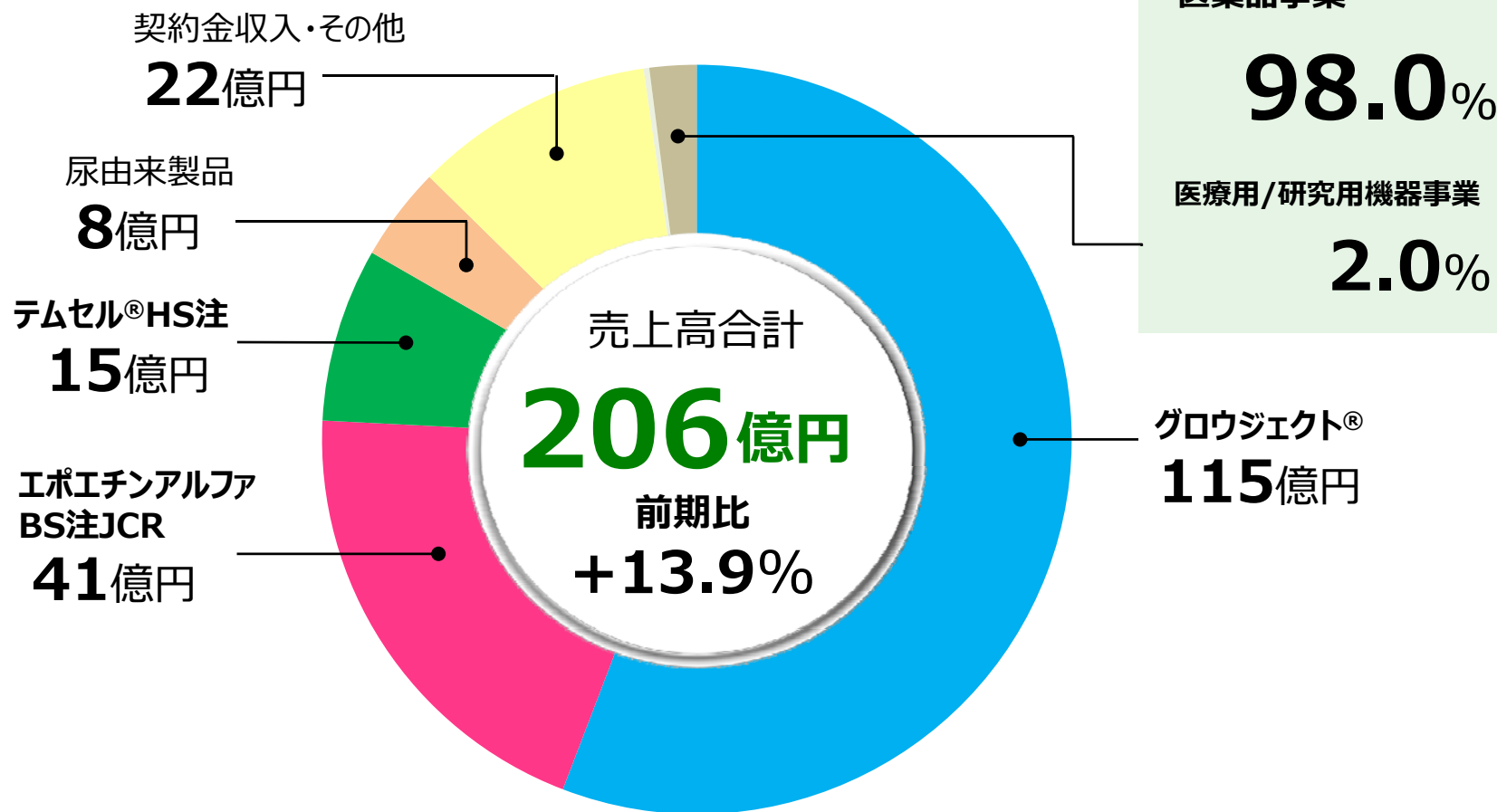


国産初
ライソゾーム病
治療酵素製剤

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

■ 2017年度 売上高

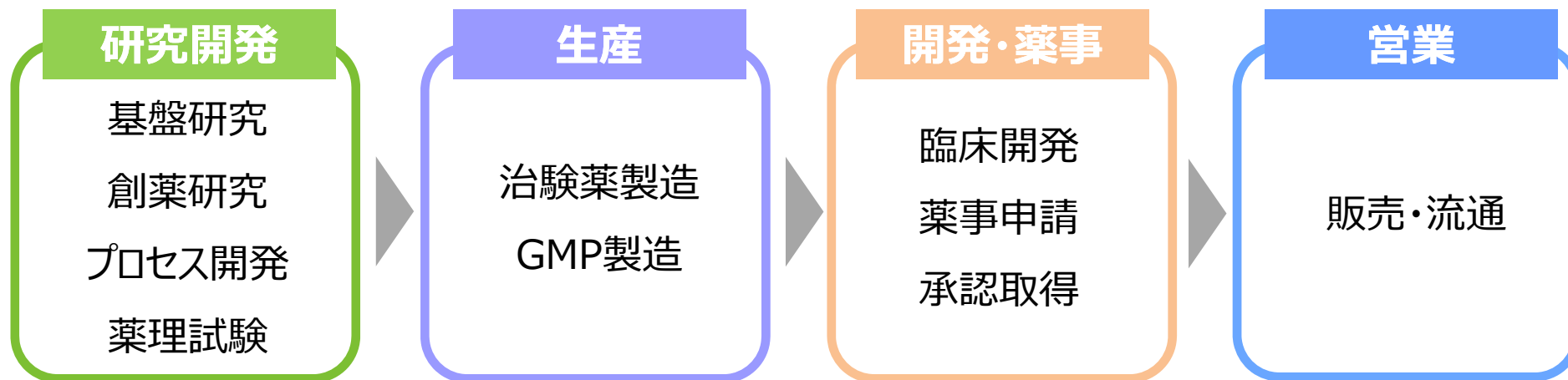


1. JCRの研究開発について
2. 主力製品
3. 会社概要

【企業理念】 医薬品を通して人々の健康に貢献する

- 設立 : 1975年9月13日
- 代表 : 代表取締役会長兼社長 芦田 信
- 本社 : 兵庫県芦屋市春日町3番19号
- 従業員数 : 597名 (平成30年9月末現在)
- 証券コード : 4552 (東証1部)
- 主な事業内容 : 医薬品、再生医療等製品およびその原料の製造、売買ならびに輸出入
医療用機器および実験用機器の売買ならびに輸出入
- 子会社 : 株式会社ファミリーヘルスレンタル
株式会社クロマテック
株式会社JCRエンジニアリング
JCR INTERNATIONAL SA (スイス)
JCR USA, Inc. (アメリカ 合併会社)

研究開発から生産、販売まで一貫した体制



研究所



神戸原薬工場



西神工場



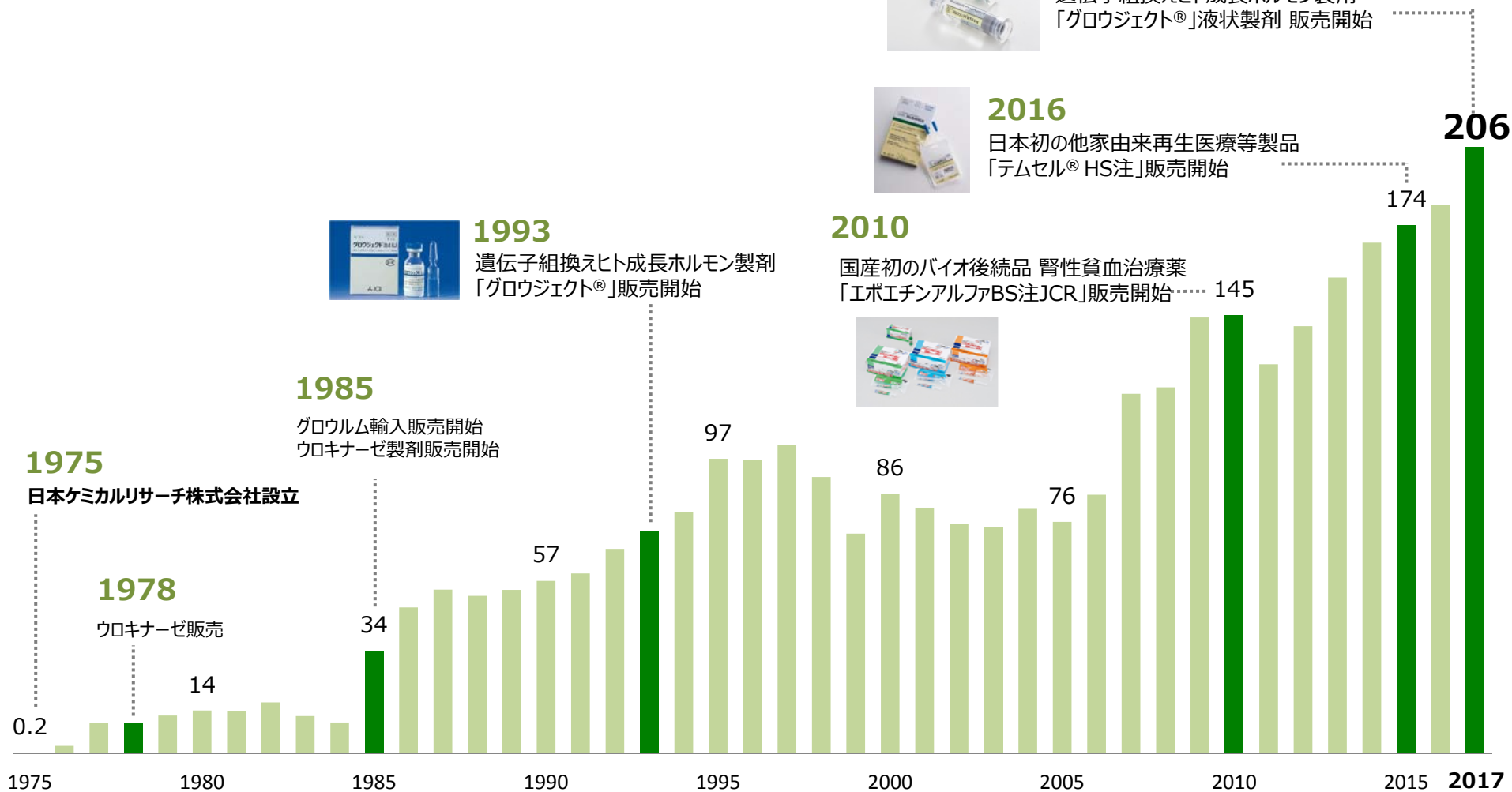
室谷工場



神戸工場



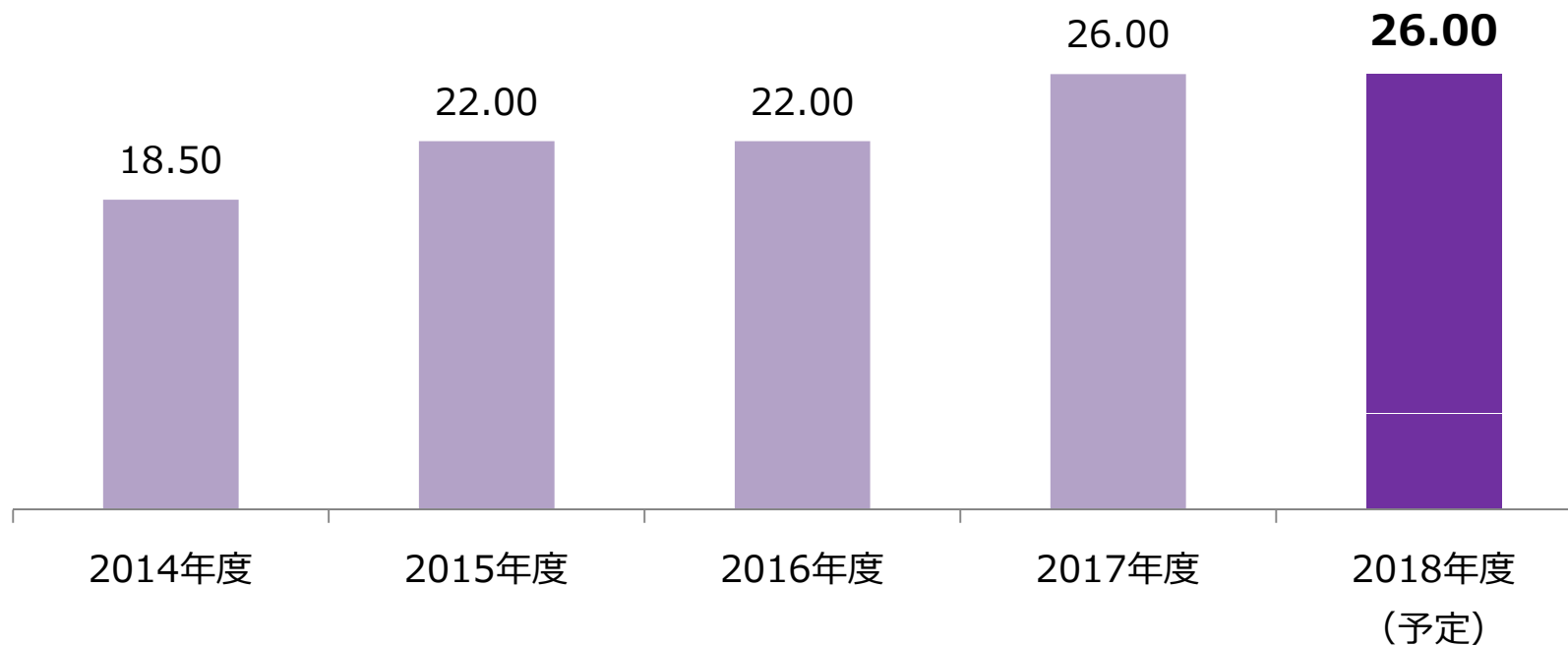
■ 創業以来の売上高推移 (億円)





JCRは、株主の皆様に対する利益の還元を 経営上の重要な施策の一つとして位置付けています

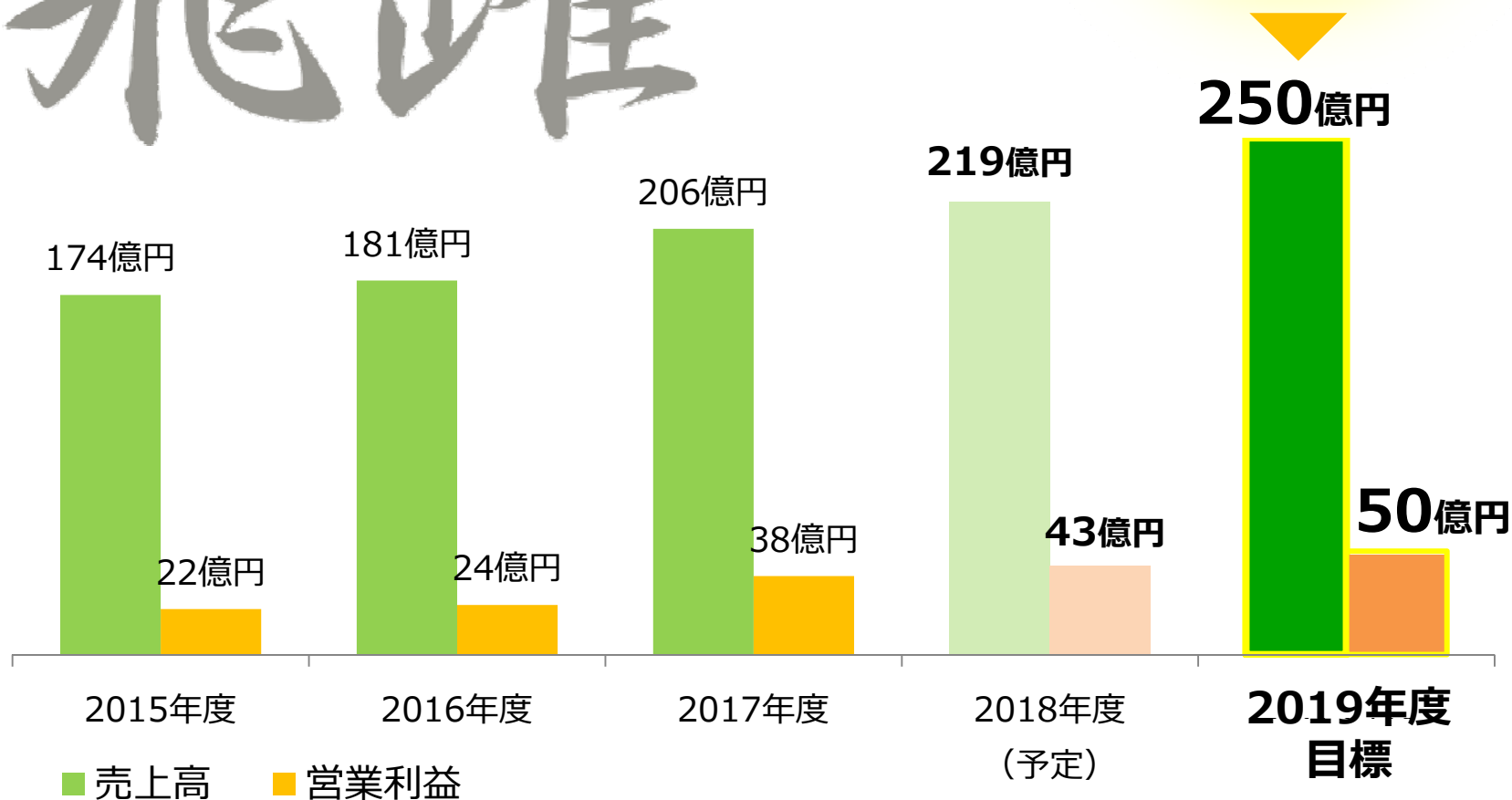
- 単元株：100株
- 証券コード：4552（東証1部）
- 株主優待：なし
- 配当の状況（円）



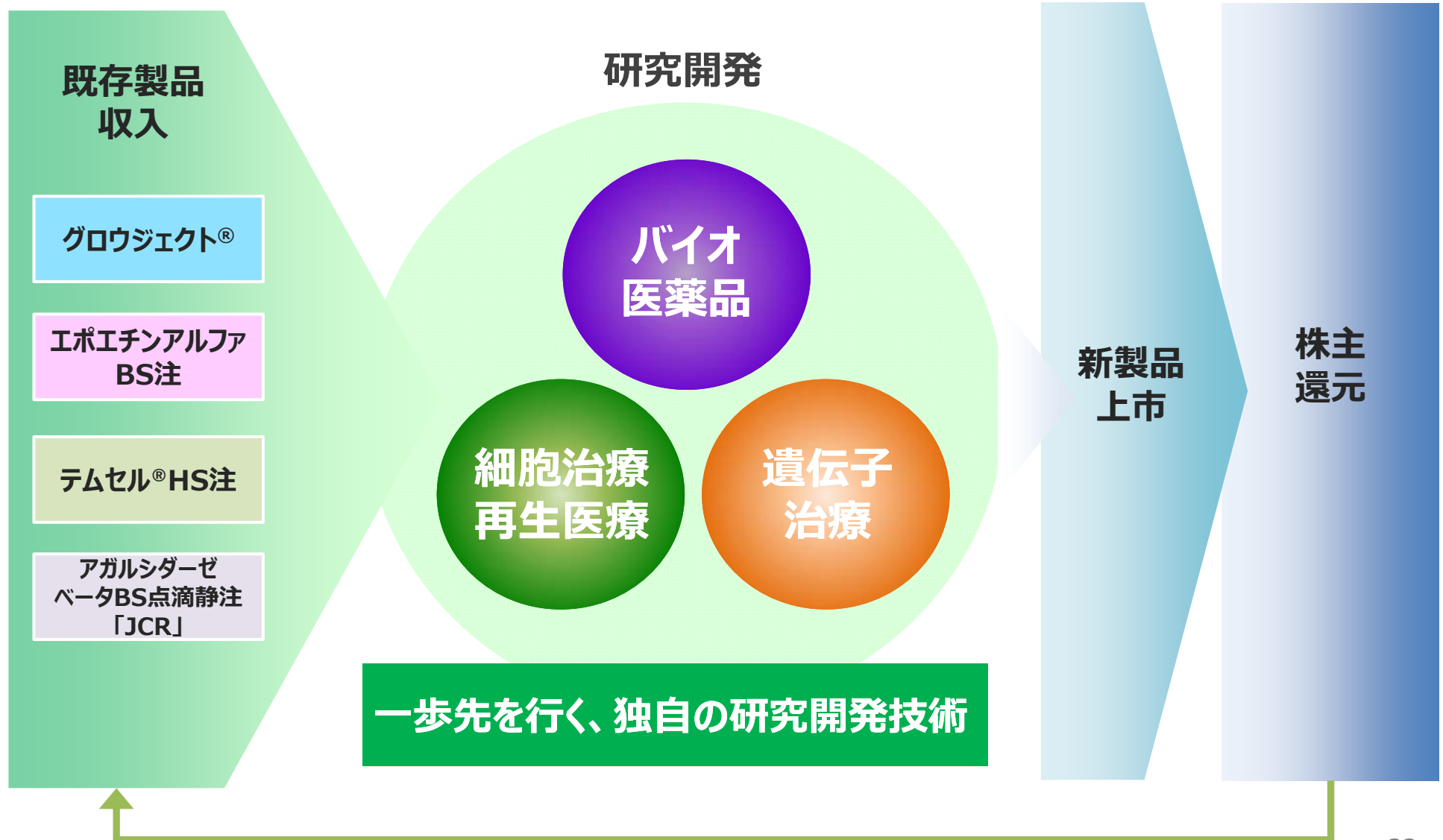
新たなステージへ向けて飛躍の時

飛躍

グローバルで
存在感のある
研究開発型企业



医薬品を通して人々の健康に貢献する





1. **創業時から希少疾病用治療薬の研究開発に注力**
2. **一歩先を行く、独自の研究開発技術を活用して**
3. **日本発・世界初の画期的な新薬の創製に挑戦**
4. **一日も早く、世界中の患者さんに薬をお届けすることを
目指している研究開発型企业**

お問い合わせ先

JCRファーマ株式会社
経営企画本部 本多・北村

TEL:0797-32-8591

Mail: ir-info@jcrpharm.co.jp

■ アナリスト一覧

当社の業績等について推奨、論評等を行う証券会社等、調査機関のアナリスト一覧

(社名50音順)

| 所属機関 | アナリスト名 |
|----------------------|--------|
| SMBC日興証券株式会社 | 中沢 安弘 |
| 株式会社いちよし経済研究所 | 山崎 清一 |
| 株式会社SBI証券 | 田中 智大 |
| クレディ・スイス証券株式会社 | 陳 彦廷 |
| シティグループ証券株式会社 | 山口 秀丸 |
| 大和証券株式会社 | 橋口 和明 |
| 野村証券株式会社 | 中桐 成美 |
| みずほ証券株式会社 | 野村 広之進 |
| モルガン・スタンレーMUFG証券株式会社 | 織田 翔平 |

JCRファーマ ウェブサイト

- 株主・投資家の皆さまへ <http://www.jcrpharm.co.jp/ir/index.html>



IRライブラリー

決算短信、
有価証券報告書、
決算説明会の資料や
動画などが
ご覧いただけます。

メール配信サービス

ニュースリリースの配信を
ご希望の方はこちらに
アクセスのうえ、
ご登録をお願いします。

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。