



# 第43期 決算説明会 (研究開発)

2018年5月22日

JCRファーマ株式会社

【証券コード】4552

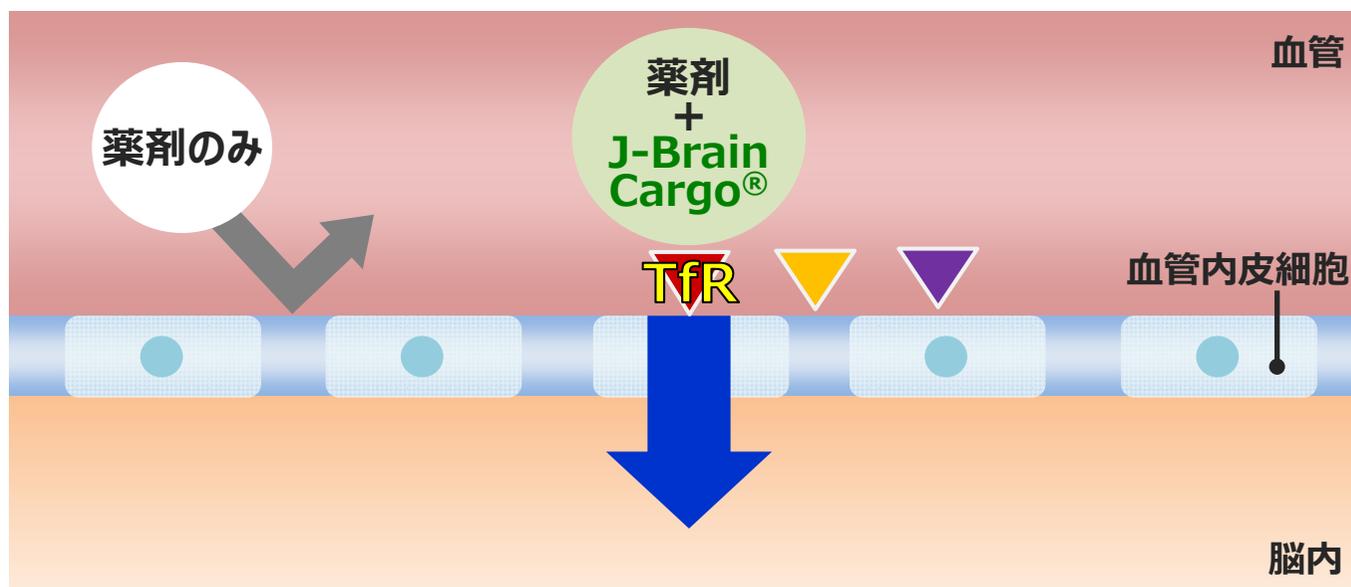
【問合せ先】経営企画本部 本多・北村  
(TEL 0797-32-1995)

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 バイオシミラー
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	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 バイオシミラー
JR-101	ゴーシェ病 (ライソゾーム病)					酵素補充療法 J-GlycoM® 採用 バイオシミラー
JR-131	腎性貧血					キッセイ薬品工業(株)と 共同開発 バイオシミラー
JR-401X <b>NEW</b>	SHOX異常症					グロウジェクト® 効能追加
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
JTR-161/JR-161	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®	<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:</b> 臨床第Ⅲ相試験準備中 <b>ブラジル:</b> 臨床第Ⅱ相試験準備中	ハンター症候群 (ライソゾーム病)
再生医療等 製品	<b>テムセル®HS注 適応拡大</b>	医師主導治験 実施中	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)	臨床第Ⅰ/Ⅱ相試験準備中	急性期脳梗塞
Biosimilar	<b>JR-051</b> (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	<b>JR-131</b> (遺伝子組換えダルベポエチン)	臨床 第Ⅲ相試験	腎性貧血
効能追加	<b>JR-401X</b> (遺伝子組換えソマトロピン)	臨床第Ⅲ相試験準備中	SHOX異常症
新薬	<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

# 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)

**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**

**2018年3月：「先駆け審査指定制度」の対象品目に指定**

- 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**

\*当社調べ

現在の治療はBBB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)

## 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

#### 安全性に問題はなく、 中枢神経系に作用したと推定される結果

- ✓ **安全性**：週当たり最大2.0mg/kg投与の忍容性が確認
- ✓ **薬物動態**：動物試験と同様に投与量に応じた薬物動態を確認
- ✓ **探索的有効性**：中枢神経症状の改善並びに、全身症状への効果が示唆

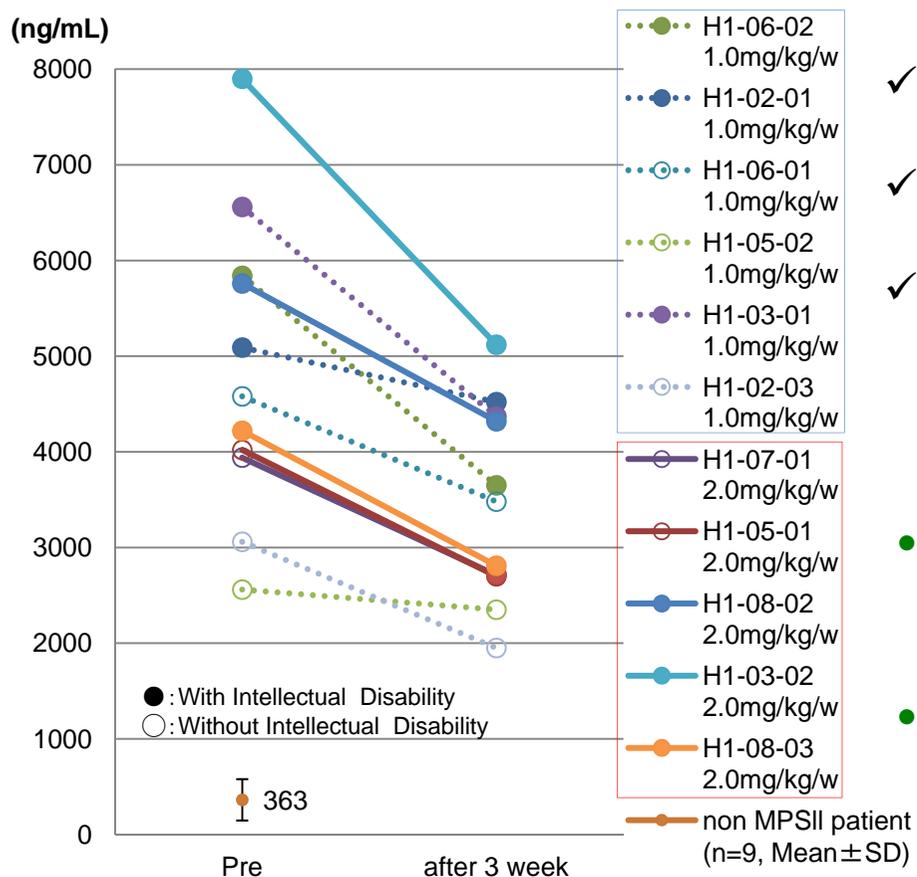
全身症状と中枢神経症状の両面の改善を目指し、  
グローバル展開も含め、開発を加速

# 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 : CSF中におけるHS濃度



- ✓ 非MPS患者と比較して高値
- ✓ 全例で減少、統計的有意差あり
- ✓ 知的障害の有無でHS濃度に差異がある可能性示唆



- **ハンター症候群の中中枢神経症状にHSが関与していることを裏付ける結果**
- **中枢神経症状の改善をもたらす可能性示唆**

**2019年の承認申請を目指し、2018年中に第III相試験開始予定**

**JR-141**

血液脳関門通過型ハンター症候群治療薬



## 第Ⅱ相試験デザイン

グローバル展開の第一歩として、6月に第Ⅱ相試験を開始

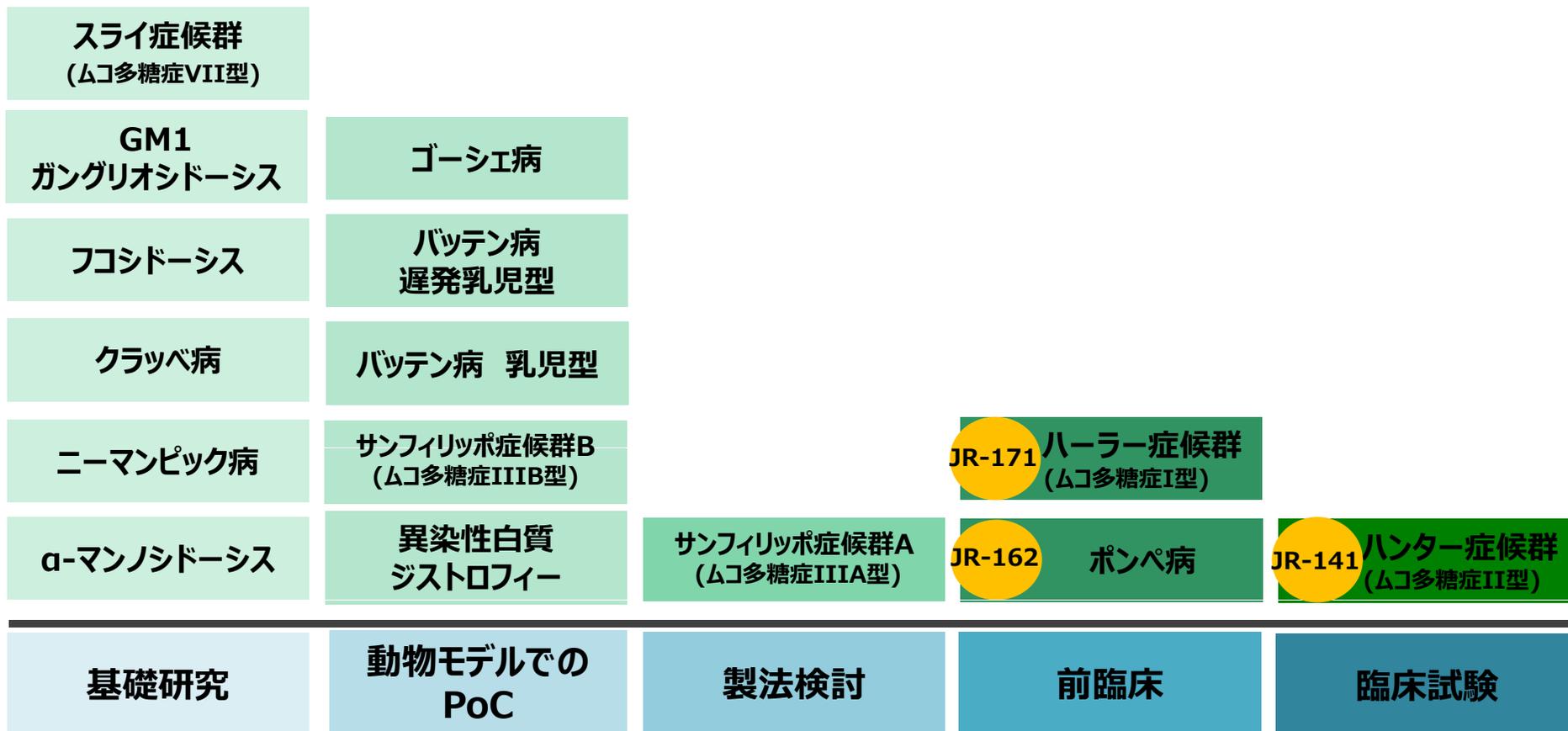
- 対象：ハンター症候群患者18名
- 試験期間：約6か月
- 評価項目：用量設定  
全身症状や中枢神経症状に対する 有効性・安全性

➤ 多数のハンター症候群診断患者が、特定の施設に集中して治療

➤ ブラジルの専門医師の協力

ブラジルでの早期の承認取得を目指して開発

# 他のライソゾーム病治療酵素製剤も 積極的に開発



# J-Brain Cargo<sup>®</sup>



ライソゾーム病治療酵素製剤  
(自社開発)

中枢神経疾患  
(他社とのライセンス)



2015年：フィージリティスタディ契約締結

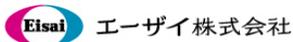
**2018年2月：NEW**  
**血液脳関門通過技術のライセンス契約締結**



2017年10月：  
 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



PeptiDream  
 共同研究契約



エーザイ株式会社  
 フィージリティスタディ契約



## 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\*

\*出典：富士経済HP

	品目名	開発段階	適応症
J-Brain Cargo®	<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:</b> 臨床第Ⅲ相試験準備中 <b>ブラジル:</b> 臨床第Ⅱ相試験準備中	ハンター症候群 (ライソゾーム病)
再生医療等 製品	<b>テムセル®HS注 適応拡大</b>	医師主導治験 実施中	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)	臨床第Ⅰ/Ⅱ相試験準備中	急性期脳梗塞
Biosimilar	<b>JR-051</b> (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	<b>JR-131</b> (遺伝子組換えダルベポエチン)	臨床 第Ⅲ相試験	腎性貧血
効能追加	<b>JR-401X</b> (遺伝子組換えソマトロピン)	臨床第Ⅲ相試験準備中	SHOX異常症
新薬	<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

## 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

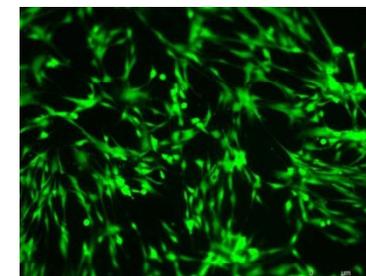
- 原因：皮膚基底膜領域における接着構造制御蛋白の遺伝子異常
- 症状：日常生活の軽微な外力で表皮が基底膜レベルで剥離して全身熱傷様の水疱、潰瘍を形成
- 治療法：基本的になく、ガーゼやワセリン等での潰瘍部保護程度
- 患者数\*：約**500-640名**（日本）（治療対象は重症度の高い**300名程度**） \*当社調べ

### 2017年4月： 大阪大学医学部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

### 目標症例数の投与が完了し、経過観察中

## 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®	<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:</b> 臨床第Ⅲ相試験準備中 <b>ブラジル:</b> 臨床第Ⅱ相試験準備中	ハンター症候群 (ライソゾーム病)
再生医療等 製品	<b>テムセル®HS注 適応拡大</b>	医師主導治験 実施中	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)	臨床第Ⅰ/Ⅱ相試験準備中	急性期脳梗塞
Biosimilar	<b>JR-051</b> (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	<b>JR-131</b> (遺伝子組換えダルベポエチン)	臨床 第Ⅲ相試験	腎性貧血
効能追加	<b>JR-401X</b> (遺伝子組換えソマトロピン)	臨床第Ⅲ相試験準備中	SHOX異常症
新薬	<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-051**

## ファブリー病治療薬

「ファブラザイム」バイオ後続品 ( $\alpha$ -galactosidase A)

**2017年9月に製造販売承認申請済み**

### ➤ 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

**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**

**2018年後半に上市予定**

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Ⅲ相試験：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年度中に製造販売承認申請予定

	品目名	開発段階	適応症
J-Brain Cargo®	<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:</b> 臨床第Ⅲ相試験準備中 <b>ブラジル:</b> 臨床第Ⅱ相試験準備中	ハンター症候群 (ライソゾーム病)
再生医療等 製品	<b>テムセル®HS注 適応拡大</b>	医師主導治験 実施中	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)	臨床第Ⅰ/Ⅱ相試験準備中	急性期脳梗塞
Biosimilar	<b>JR-051</b> (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	<b>JR-131</b> (遺伝子組換えダルベポエチン)	臨床 第Ⅲ相試験	腎性貧血
効能追加	<b>JR-401X</b> (遺伝子組換えソマトロピン)	臨床第Ⅲ相試験準備中	SHOX異常症
新薬	<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-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®」効能追加



### ■ 「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
- ・ターナー症候群における低身長症
- ・成人成長ホルモン分泌不全症
- ・SGA性低身長症

**2018年 : NEW**

**「SHOX異常症における低身長」治験計画届受理**

**2018年7月に第Ⅲ相試験開始予定**

**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

臨床試験開始に向けて準備中

開発番号	適応症	第43期 2017年度	第44期 2018年度	第45期 2019年度 (予定)
JR-051	ファブリー病 (ライソゾーム病)	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	日本：臨床第 III 相試験 ブラジル：臨床第 II 相試験	日本：製造販売承認申請
JR-162	ポンペ病 (ライソゾーム病)		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	ゴーシェ病 (ライソゾーム病)			
JR-131	腎性貧血		製造販売承認申請	
JR-142	成長障害		臨床試験開始	
JTR-161/JR-161	急性期脳梗塞	前臨床	臨床第 I / II 相試験開始	
JR-401X	SHOX異常症		臨床第 III 相試験	

本表における第44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。

JCR USA, Inc.の建物外観



### ルクセンブルク大公国

・昨年12月に新工場建設に向けて、工場用地賃借に関する覚書を締結

- ✓ グローバル展開に向けた生産拠点の増強
- ✓ 災害等の生産設備リスク対策
- ✓ 各国へのアクセス利便性



### 日本

- ・今年3月に厚生労働省より、JR-141が「先駆け審査指定制度」の対象品目に指定
- ・JR-051が2018年中に上市
- ・開発のスピードアップ図り、グローバル展開を見据え、**第二治験薬製造センターの建設を開始**



### 米国

- ・今年1月に株式会社メディカルホールディングスと、合併会社、**JCR USA, Inc.**を設立
- ・JR-141の早期臨床試験入りを目指し、準備中



### ブラジル

- ・6月にJR-141の第Ⅱ相試験を開始予定

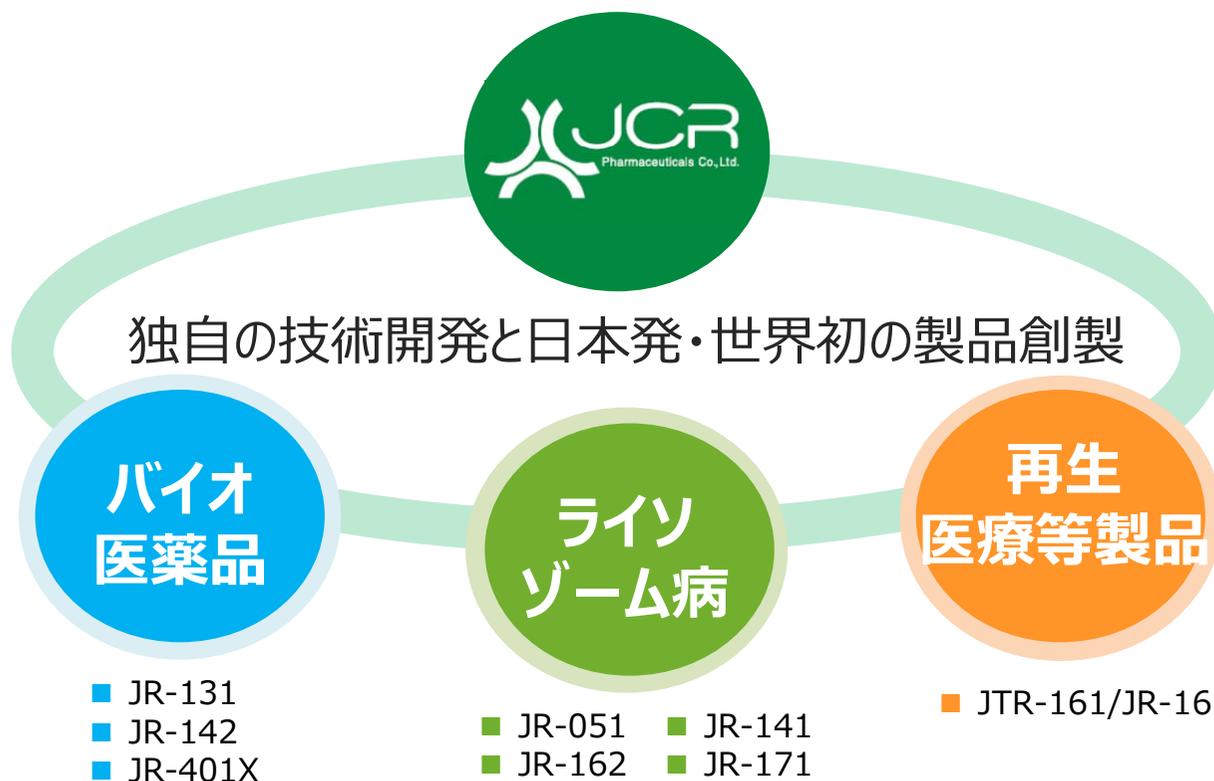
# グローバルで存在感のある研究開発型企业へ

# LEAP INTO THE FUTURE

新たなステージへ向けて飛躍の時

飛躍

積極的な投資により、一步先をゆく研究開発を加速



**JCRの基盤**

・グロウジェクト® ・エポエチンアルファBS注「JCR」 ・テムセル®HS注

**JCRの医薬品を世界中の患者の皆さんへ**



Thank you for your attention.



– JCR Biotech for a New Tomorrow –