



2020年3月期 第2四半期決算説明会 -研究開発-

2019年11月6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)

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。

注意事項

本資料に掲載した臨床開発のデータは、中間解析時点での結果となります。それらは今後の結果を保証するものではなく、また、開発中の製品の効能・効果を保証するものではありません。

本資料は、開発中の製品の効能・効果を保証・宣伝・広告するものではありません。

本資料に掲載した臨床開発のデータは、現時点で学会発表ならびに査読のある学術誌に公表されていないものが含まれております。今後、公表するように努めます。

フェア・ディスクロージャー・ルールにのっとり、本資料に掲載した以外のデータは、質疑応答においても公表いたしません。ご理解いただきますようお願いいたします。

研究開発ニュースリリースハイライト（期間：2019年5-10月）

ライソゾーム病治療薬の研究開発

- ① JR-141 開発進捗速報
- ② その他のライソゾーム病治療薬開発状況

その他の研究開発パイプライン

開発番号	適応症	前臨床	臨床試験	申請	承認	備考
JR-141	ハンター症候群		臨床第3相試験			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
			臨床第2相試験			
JR-162	ポンペ病	前臨床				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 ハーラー・シャイエ症候群 シャイエ症候群	前臨床				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	前臨床				酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
ダルバポエチン アルファ BS注「JCR」 (JR-131)	腎性貧血	製造販売承認取得				キッセイ薬品工業(株)と 共同開発 バイオ後続品
JR-401X	SHOX異常症における 低身長症		臨床第3相試験			グロウジクト® 適応拡大
JR-041	不妊治療		臨床第1/2相試験			あすか製薬(株)に導出
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性 低身長症		臨床第1相試験			J-MIG System® 採用
JR-031EB	表皮水疱症	製造販売承認申請取り下げ				テムセル®HS注 適応拡大
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症		臨床第1/2相試験			テムセル®HS注 適応拡大
JTR-161/ JR-161	急性期脳梗塞		臨床第1/2相試験			帝人(株)と共同開発

研究開発ニュースリリースハイライト（期間：2019年5-10月）

ライソゾーム病治療薬の研究開発

- ① JR-141 開発進捗速報
- ② その他のライソゾーム病治療薬開発状況

その他の研究開発パイプライン

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

独自の改変型アルブミンを融合させることにより

特許出願済

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

● 2019年5月：臨床第1相試験開始

臨床試験概要

- 被験者： 健康な成人男性31人
- 評価項目： 安全性、薬物動態

▶ 全ての被験者での投与が完了し、経過観察中

JR-031HIE

ヒト間葉系幹細胞 (テムセル®HS注 適応拡大)

適応症

新生児低酸素性虚血性脳症

- 原因： 妊娠中または出産時の脳血流の減少による胎児脳への酸素供給不足
- 症状： 運動・精神発達障害および脳性麻痺等の脳神経障害
- 発生率*： **1,000人に2.5人** *当社調べ
- 既存治療： 低体温療法（約半数の患児に効果が認められない）

➡ より有効な治療法が待ち望まれている

● 2019年7月：臨床第1/2相試験開始

▶ 被験者への投与開始、経過観察中

JR-031EB ヒト間葉系幹細胞（テムセル[®]HS注 適応拡大）

適応症

表皮水疱症

- 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

▶ リリース文より（一部抜粋）

当社は、同適応症について、本年3月に厚生労働省へ承認申請を行い、当局と協議を重ねてまいりましたが、同適応症に対する有効性をより明確に示す必要性があると当社で判断し、本承認申請を取り下げることといたしました。

表皮水疱症に対する「テムセル[®]HS 注」の開発については、今後も当局と協議を行い、引き続き検討してまいります。

JR-131

遺伝子組換えダルベポエチン アルファ後続1

ダルベポエチン アルファBS注「JCR」

適応症

腎性貧血

- 疾患概要：腎臓においてヘモグロビンの低下に見合った十分量のエリスロポエチンが産生されないことによって引き起こされる貧血

- **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**

臨床第3相試験：有効性の同等性および同質性が検証/安全性の類似性確認

▶ **2019年9月20日：製造販売承認取得**

販売

KISSEI

製造



研究開発ニュースリリースハイライト（期間：2019年5-10月）

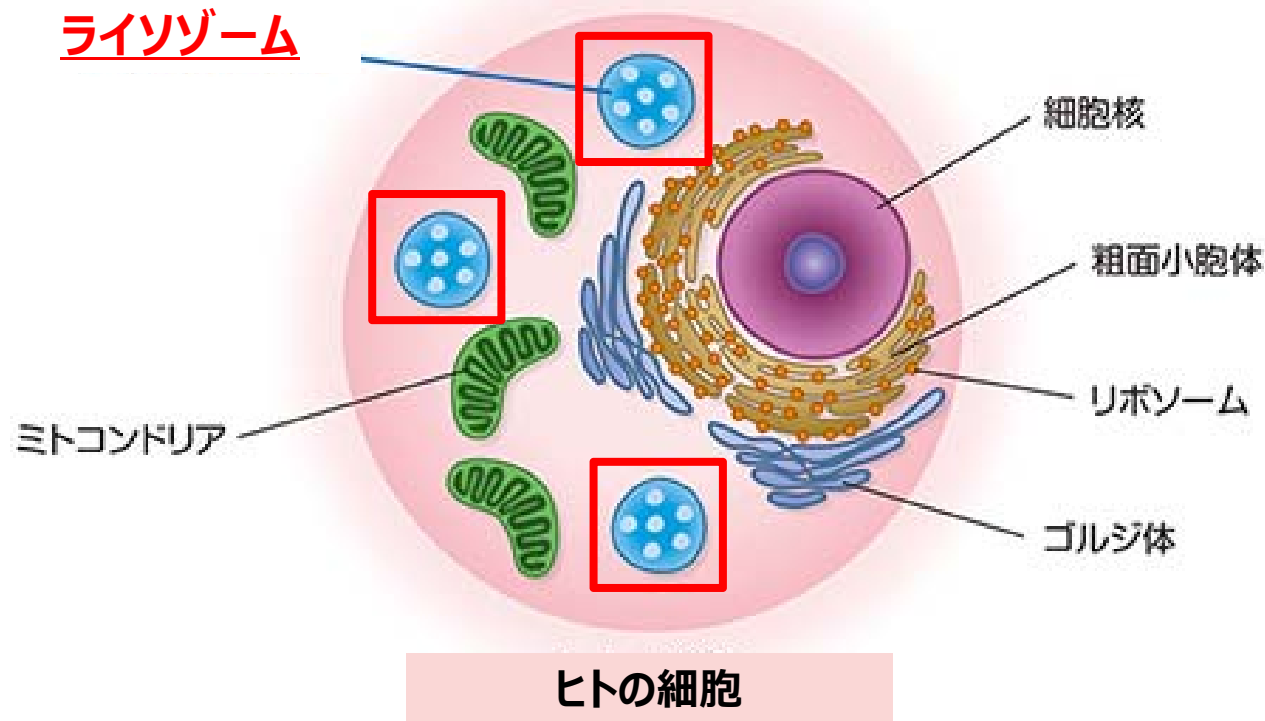
ライソゾーム病治療薬の研究開発

- ① JR-141 開発進捗速報
- ② その他のライソゾーム病治療薬開発状況

その他の研究開発パイプライン

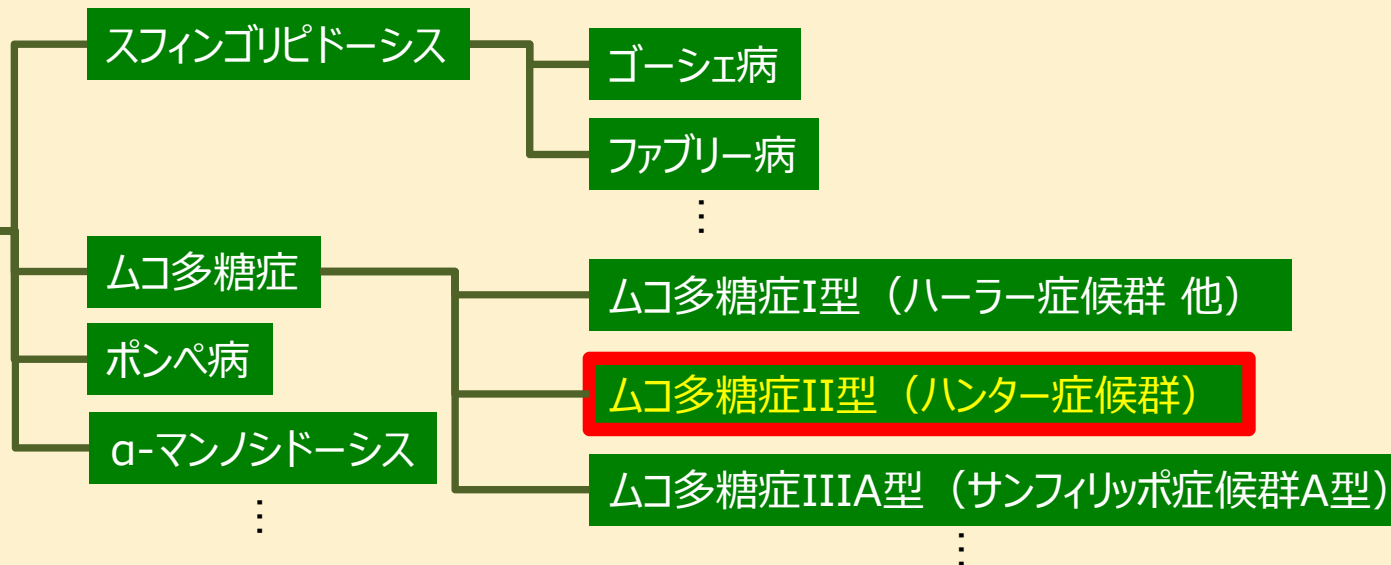
ライソゾーム病

指定難病および小児慢性特定疾病に指定されている**先天代謝異常症**の一種。ライソゾーム内の分解酵素の働きが弱い、または酵素がないため、本来分解されるべき物質が体内に蓄積してしまう希少疾病。働きの低下した酵素の種類によって蓄積する物質や症状が異なる。



先天代謝異常症

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

適応症

ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)

- 患者数* : 約250人 (日本)、約7,800人 (WW) *当社調べ
- 市場規模* : 約84億円 (2018年/日本)、約1,000億円 (2018年/WW)
- 疾患概要 : 厚生労働省指定難病。ムコ多糖を体内で分解する酵素 (イズロン酸-2-スルファターゼ) の働きが弱い、または酵素がないために、ムコ多糖が分解できずに体に蓄積することによって、全身にさまざまな症状がみられる疾患。症状の一つに、**中枢神経障害**がある。

現在の治療は血液脳関門 (BBB) を通過せず、**中枢神経症状に効果がない**

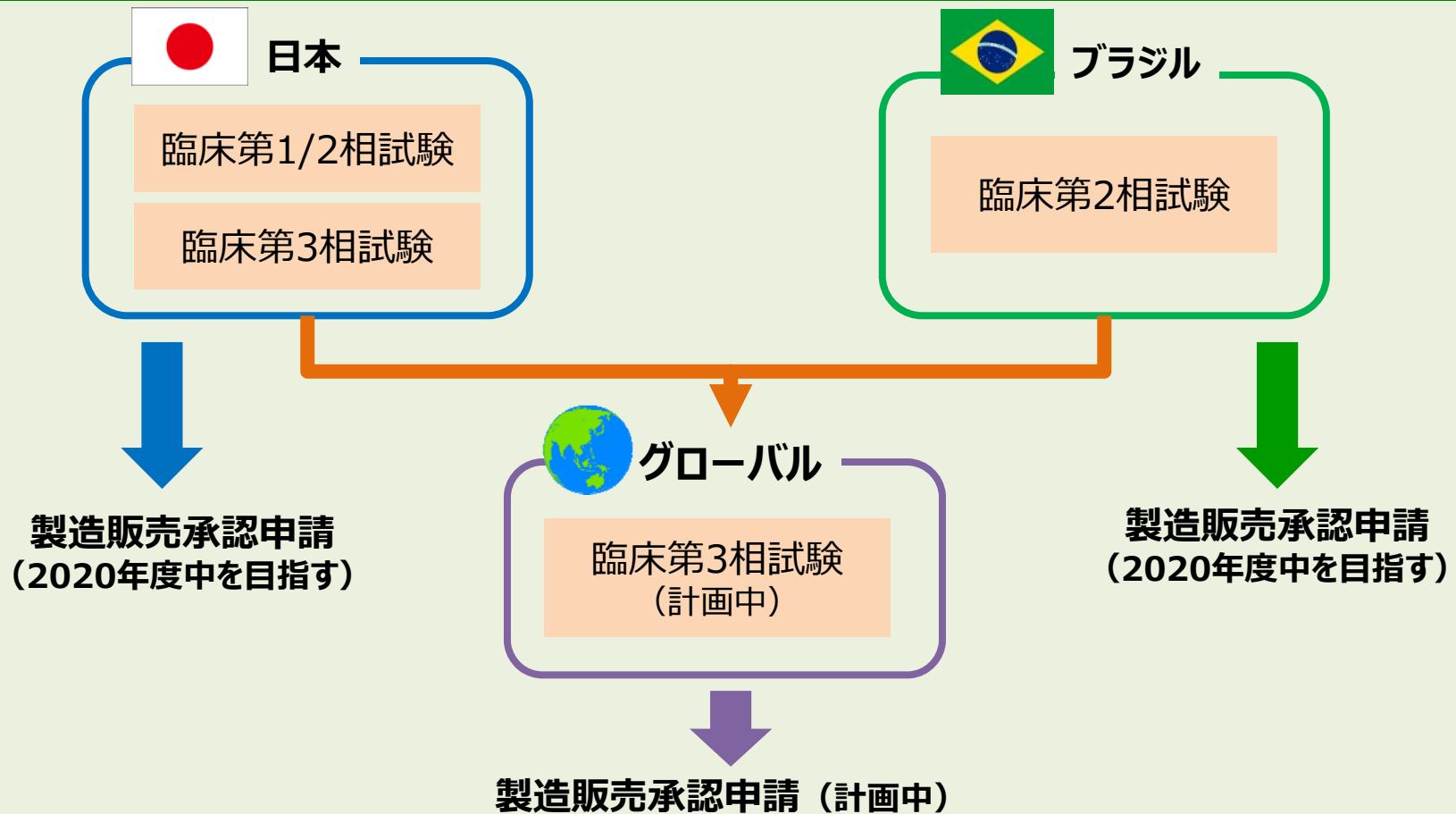
JR-141

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

ムコ多糖症II型（ハンター症候群）

開発計画全体図



JR-141

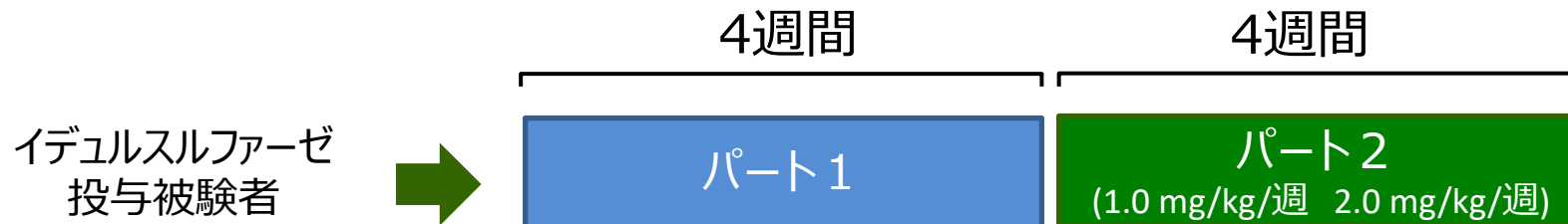
血液脳関門通過型 遺伝子組換えイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症

ムコ多糖症II型（ハンター症候群）



国内臨床第1/2相試験（JR-141-101）：試験概要



評価項目	<ul style="list-style-type: none"> 安全性・探索的有効性・薬物動態 脳脊髄液（CSF）中の蓄積基質であるヘパラン硫酸（HS）およびデルマタン硫酸（DS）濃度の変化量
投与方法	静脈内投与
組み入れ被験者数	14人

JR-141

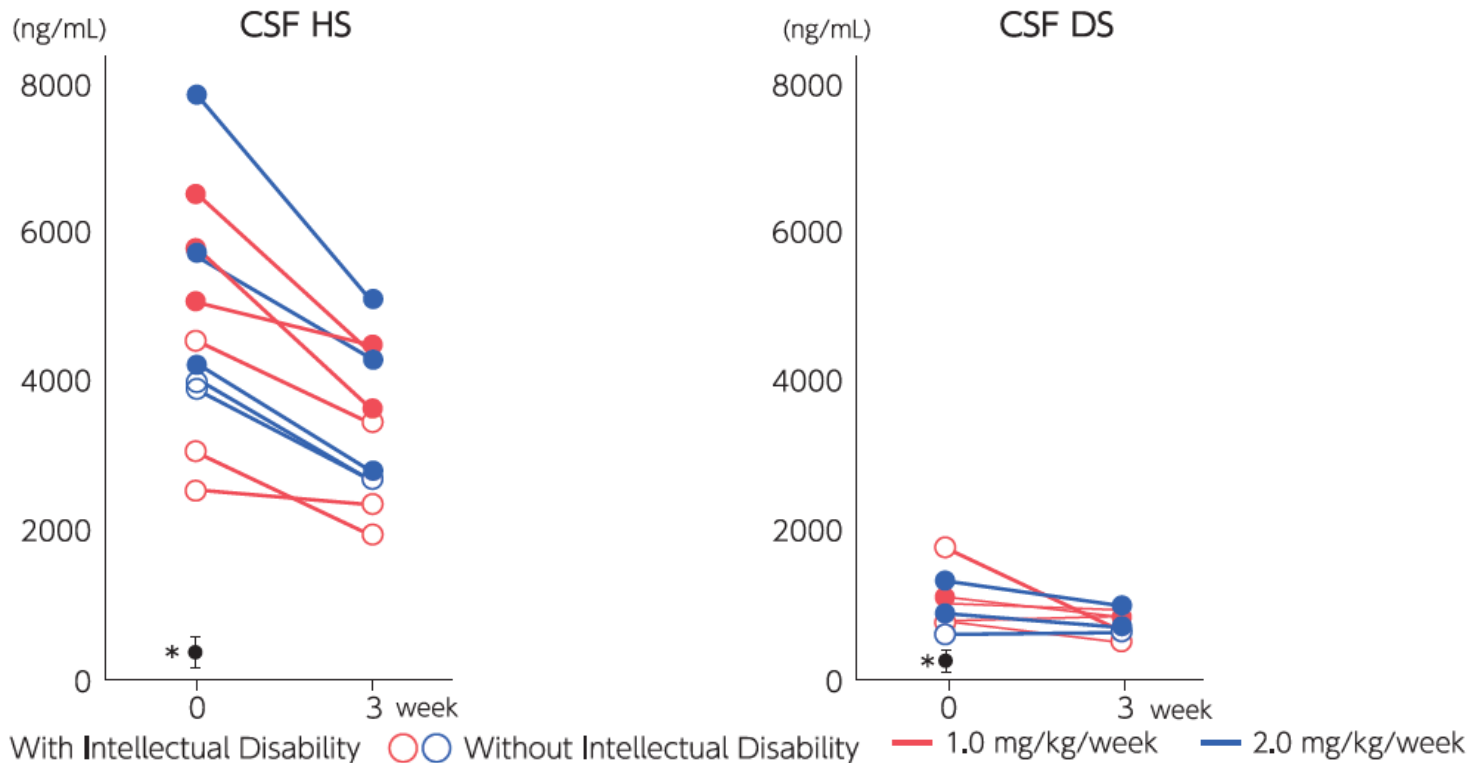
血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症

ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)



国内臨床第1/2相試験 (JR-141-101) : 試験結果



**脳脊髄液 (CSF) 中のHS濃度の減少が確認されたことにより、
「J-Brain Cargo®」を適応したJR-141がBBBを通過したことを示唆
(1.0mg/kg/w→25.1±12.9% 2.0mg/kg/w→31.5±3.9%)**

JR-141

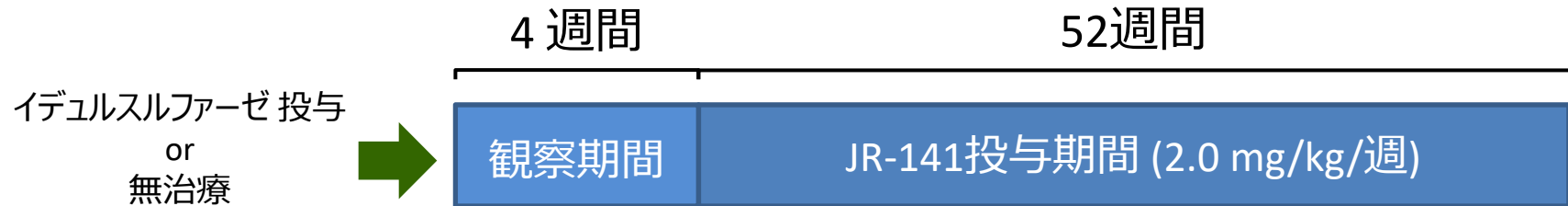
血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症

ムコ多糖症II型（ハンター-症候群）



国内臨床第3相試験（JR-141-301）：試験概要



主要評価項目	脳脊髄液（CSF）中のHS濃度の変化量
副次評価項目	<ul style="list-style-type: none"> • 発達評価（認知機能、適応行動） • 血中及び尿中HS/DS • 肝臓容積、脾臓容積 • 6分間歩行試験 • 関節可動域
組み入れ被験者数	28人

26週投与完了後に中間集計を実施

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

ムコ多糖症II型（ハンター症候群）**国内臨床第3相試験（JR-141-301）：26週投与完了後時点の中間集計まとめ****被験者情報**

- 19施設から28人の被験者がエントリー

中枢神経症状に対する有効性

- 26週投与を完了した全被験者で脳脊髄液中のHS濃度減少を認めた (Mean 58.4±9.5%)
- 発達検査及び症例調査票で、発達年齢の維持または改善が示唆された

全身症状に対する有効性

- 新規治療例（3例）における血中HS/DS濃度の減少
- 切り替え例（25例）における血中HS/DS濃度の維持

安全性

- 治験薬に関連する重篤な有害事象は認められていない
- 治験中止につながる投与関連反応は認められていない

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

ムコ多糖症II型（ハンター-症候群）**欧州**

- 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

**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**臨床第3相試験**実施中

**米国****JCR USA, Inc.**

- 2018年10月に米国食品医薬品局（FDA）より**オーファンドラッグ**に指定

**ブラジル**

- 2018年6月から**臨床第2相試験**実施中

**2020年度中に日本・ブラジルでの
製造販売承認申請を目指す**

研究開発ニュースリリースハイライト（期間：2019年5-10月）

ライソゾーム病治療薬の研究開発

- ① JR-141 開発進捗速報
- ② その他のライソゾーム病治療薬開発状況

その他の研究開発パイプライン

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

適応症

ムコ多糖症I型（ハーラー症候群、ハーラー・シャイエ症候群、シャイエ症候群）

- 疾患概要： 厚生労働省指定難病。ムコ多糖を体内で分解する酵素（ α -L-イズロニダーゼ）の働きが弱い、または酵素がないために、ムコ多糖が分解できずに体に蓄積することによって、全身にさまざまな症状がみられる疾患。症状の一つに、**中枢神経障害**がある。
- 患者数*： **約60人**（日本）、**約3,600人**（WW） *当社調べ
- 市場規模*： **約15億円**（2018年/日本）、**約240億円**（2018年/WW）

- 臨床第1/2相試験（JR-171-101試験）デザインに関して、FDAよりアドバイスを受領

▶ 2020年中の臨床試験開始に向けて準備中

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 ▶ ムコ多糖症IIIA型（サンフィリッポ症候群A型）

- 疾患概要： 厚生労働省指定難病。ムコ多糖を体内で分解する酵素（ヘパランN-スルファターゼ）の働きが弱い、または酵素がないために、ムコ多糖が分解できずに体に蓄積することによって、主に**中枢神経障害**が起こる疾患。
- 患者数*： 約60人（日本）、約6,900人（WW） * A型B型患者総数（当社調べ）

▶ 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

- 疾患概要： 厚生労働省指定難病。グリコーゲンを体内で分解する酵素（酸性α-グルコシダーゼ）の働きが弱い、または酵素がないために、全身の細胞（特に筋肉の細胞）にグリコーゲンが蓄積し、**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疾患
- 患者数*： 約80人（日本）、約10,600人（WW） *当社調べ
- 市場規模*： 約30億円（2018年/日本）、約990億円（2018年/WW）

▶ 筋組織のみならず、筋肉の制御器官である
中枢神経系組織においても良好な薬効を確認

JCRが取り組む ライソゾーム病治療薬



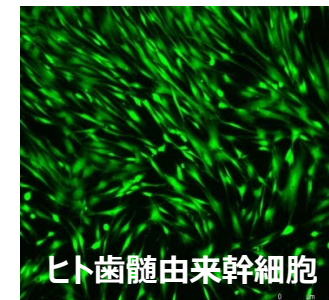
研究開発ニュースリリースハイライト（期間：2019年5-10月）

ライソゾーム病治療薬の研究開発

- ① JR-141 開発進捗速報
- ② その他のライソゾーム病治療薬開発状況

その他の研究開発パイプライン

JTR-161/JR-161 ヒト歯髄由来幹細胞



ヒト歯髄由来幹細胞

適応症 ▶ **急性期脳梗塞**

- 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30万人** (日本) *当社調べ
- 治療法 : 発症数時間以内に「血栓溶解療法」、「血管内治療」が行われ、
続いて、「脳保護療法」、「抗血小板療法」、「抗凝固療法」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1月 : 臨床第1/2相試験にて患者投与開始

JR-401X

遺伝子組換えソマトロピン（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症

- 疾患概要： 性染色体上に存在する成長遺伝子SHOX（Short stature homeobox containing gene）の機能喪失を招く微細欠失・重複や変異等により生じる先天性疾患。
- 年間発症者数*：約450-500人（日本） *当社調べ

● 2018年7月：臨床第3相試験開始

臨床試験概要

- 被験者： SHOX異常症における低身長症患者
- 評価項目：グロウジェクト®を12か月間および24か月間投与した際の有効性、安全性

▶ 被験者への投与開始、経過観測中

開発番号	適応症	前臨床	臨床試験	申請	承認	備考
JR-141	ハンター症候群		臨床第3相試験			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
			臨床第2相試験			
JR-162	ポンペ病	前臨床				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 ハーラー・シャイエ症候群 シャイエ症候群	前臨床				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	前臨床				酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
ダルバポエチン アルファ BS注「JCR」 (JR-131)	腎性貧血	製造販売承認取得				キッセイ薬品工業(株)と 共同開発 バイオ後続品
JR-401X	SHOX異常症における 低身長症		臨床第3相試験			グロウジクト® 適応拡大
JR-041	不妊治療		臨床第1/2相試験			あすか製薬(株)に導出
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性 低身長症		臨床第1相試験			J-MIG System® 採用
JR-031EB	表皮水疱症	製造販売承認申請取り下げ				テムセル®HS注 適応拡大
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症		臨床第1/2相試験			テムセル®HS注 適応拡大
JTR-161/ JR-161	急性期脳梗塞		臨床第1/2相試験			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し

持続的な価値創造の実現を目指す



遺伝子組換え
医薬品

希少疾病・難病

遺伝子治療薬

細胞治療
再生医療等
製品



– JCR Biotech for a New Tomorrow –