

2021年3月期第2四半期 決算説明会 －研究開発－



2020年11月2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）





Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.
All rights reserved.

| 開発番号 | 適応症 | 前臨床 | 臨床試験 | 申請 | 承認 | 備考 |
|--------------------|---|-----|------------------------|----|----|---|
| JR-141 | ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)   | | 製造販売承認申請 臨床第2相試験 終了 | | | 酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 |
| JR-171 | ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群、ハーラー・シャイ 工症候群、シャイ工症候群) | | 臨床第1/2相試験 | | | 酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用 |
| JR-162 | ポンペ病 | 前臨床 | | | | 酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 |
| JR-441 | ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリッポ症候群A型) | 前臨床 | | | | 酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 |
| JR-443 | ムコ多糖症VII型 (スライ症候群) | 前臨床 | | | | 酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 |
| JR-446 | ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリッポ症候群B型) | 前臨床 | | | | 酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 |
| JR-401X | SHOX異常症における 低身長症 | | 臨床第3相試験 | | | グロウジェクト® 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 終了 | | | 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：2020年6月-10月）

■ JR-141 開発状況

■ その他の開発パイプライン

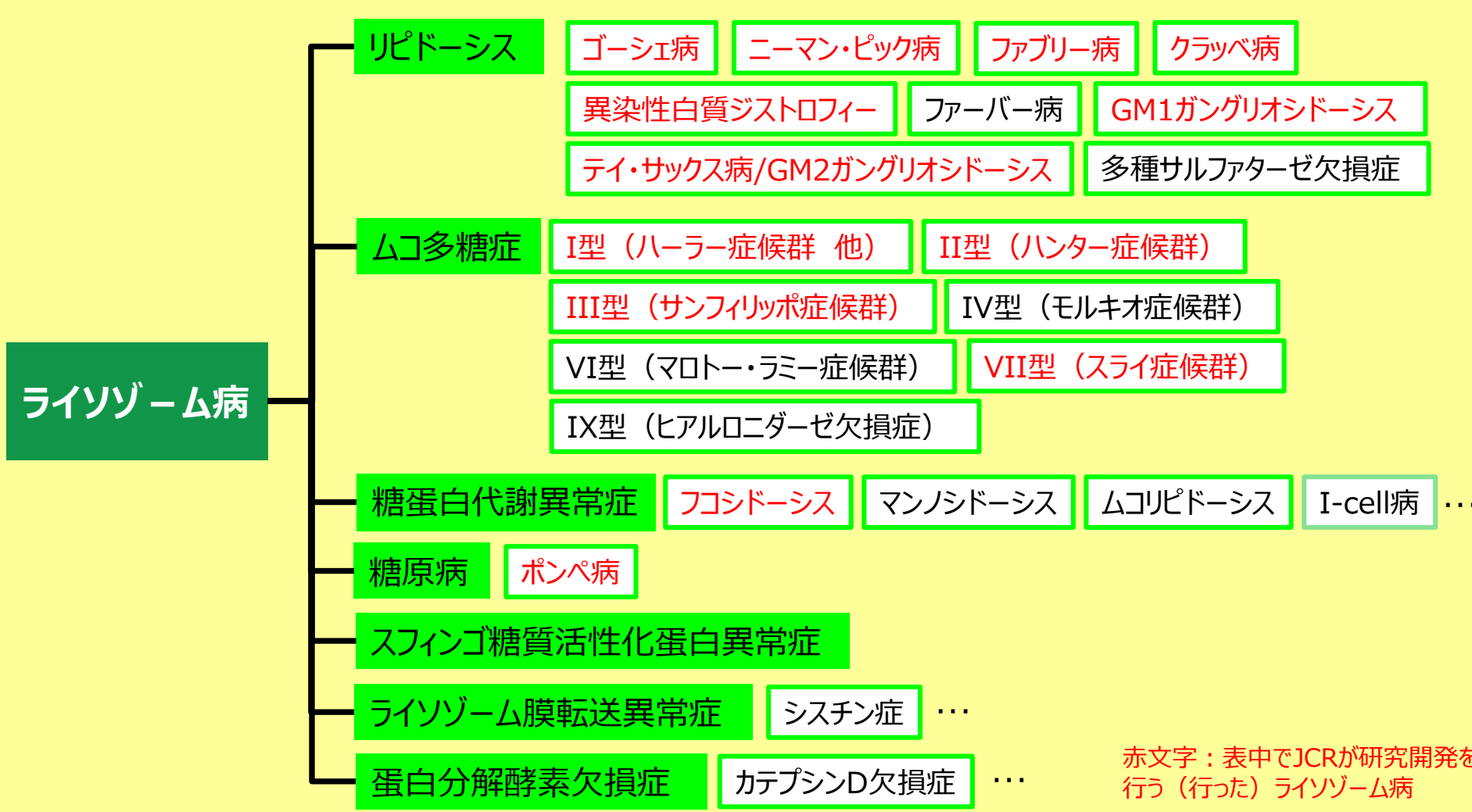
- 2020年 ● 6月17日：アガルシダーゼ ベータBS点滴静注JCR 臨床試験結果の論文掲載（Molecular Genetics and Metabolism）
- 7月31日：JR-171 グローバル臨床試験として日本における臨床第1/2相試験治験届受理 
- 7月31日：西神工場における生産能力拡大に向けた設備投資
- 8月26日：ブラジル連邦共和国への事業展開を正式に決定 
- 9月15日：成長ホルモン製剤治療における服薬管理スマートフォンアプリケーションソフトウェア 新たな臨床研究への提供
- 9月18日：JR-141 希少疾病用医薬品指定 
- 9月29日：JR-141（パビナフスプ アルファ） 製造販売承認申請 
- 10月15日：JR-141（パビナフスプ アルファ） 日本臨床第2/3相試験結果の論文掲載（Molecular Therapy）
- 10月23日：服薬アドヒアランスの向上を目指した成長ホルモン製剤治療における服薬管理アプリケーションソフトウェア「めろん日記®」の公開

研究開発ニュースリリースハイライト（期間：2020年6月-10月）

JR-141 開発状況

その他の開発パイプライン

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。



赤文字：表中でJCRが研究開発を行う(行った)ライソゾーム病

パビナフスプ アルファ (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)
日本:製造販売承認申請中

適応症 : **ムコ多糖症II型 (MPSII型、ハンター症候群)**

患者数*1 : 約250人 (日本)、約7,800人 (WW)

市場規模*2 : 約76億円 (2019年/日本)、約870億円 (2019年/WW)

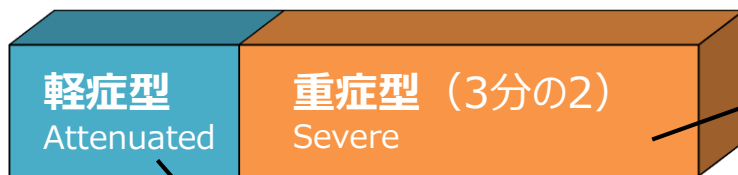
疾患概要 : ムコ多糖を体内で分解する酵素 (Iduronate-2-sulfatase) の欠損により発症するX染色体連鎖劣性遺伝性疾患。
ヘパラン硫酸 (HS) やデルマタン硫酸 (DS) が全身の組織へ蓄積し、網膜変性、知能低下、滲出性中耳炎、難聴、閉塞性呼吸障害、拘束性肺疾患、心臓弁膜症、肝脾腫、関節拘縮、骨変形及び巨舌等の臨床症状を引き起こす。

治療法 : 個々の症状に対応した対症療法と、原因療法である造血幹細胞移植と酵素補充療法に分けられる。

酵素補充療法 : 日本を含め世界的に使用。尿中HS,DSの減少の他、肝脾腫の改善、6分間歩行距離、努力肺活量及び関節可動域の増大といった臨床症状の改善が確認されており、比較的安全な治療であることから治療の第一選択となっている。

*1 患者数 : 厚生労働省班研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模 : 既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

ハンター症候群*1*2



知的障害を伴う。無治療の場合、多くが10代で死亡。

知的障害を伴わないまたはその障害が軽度。無治療の場合、患者の一部は20代で死亡。

◆ 中枢神経症状が患者のQOLを大きく低下させている。

中枢神経症状として、知能低下だけでなく、行動の異常や過活動、睡眠障害、けいれん発作などが生じ*3、これらは重症型のみならず軽症型の患者でもみられる

◆ 従来の酵素補充療法は血液脳関門 (BBB) により酵素が脳内に移行せず 中枢神経系に作用しない*2*4

(ムコ多糖症 (MPS) II型診療ガイドライン2019, 日本先天代謝異常学会編集)*5

酵素タンパクのような高分子化合物はBBBを通過することができないため、ハンター症候群の約70%に認められる精神発達遅滞や神経退行症状に対する治療効果は期待できない

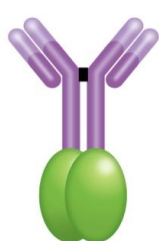
中枢神経症状の発現には脳内へのHS蓄積が関与しているとされており、
脳実質内に蓄積したHSを減少させることが
中枢神経症状の改善に向けた直接的アプローチとして重要*6*7*8*9

【参考文献】

- *1: Muenzer J, et al. Eur J Pediatr. 2012; 171: 181-8. *2: Tanaka A, et al. Mol Genet Metab. 2012; 107: 513-20. *3: 奥山虎之. 小児内科; 2009; 41: 466-70. *4: 田中あけみ. 先天代謝異常症候群 (第2版) 下. 株式会社 別冊 日本臨牀社; 2012. p. 533-8. *5: 日本先天代謝異常学会 編集. 診断と治療社; 2019. 24p.
*6: 戸松俊治ら. ムコ多糖症UPDATE. 株式会社イーエヌメディックス; 2011. p. 15-9. *7: 田中あけみ. 株式会社 診断と治療社; 2011. p. 190-6.
*8: 間野達雄ら. 株式会社 診断と治療社; 2011. p. 51-5. *9: Sato Y, et al. Int J Mol Sci. 2020; 21: 400.

➤ JR-141概要とJ-Brain Cargo®の推定輸送経路

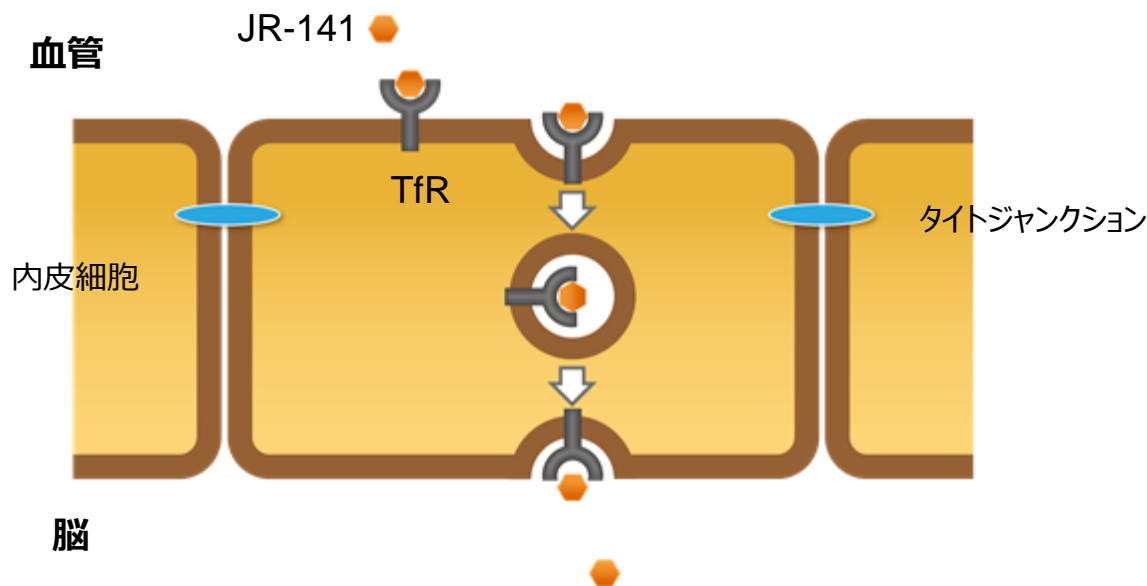
<JR-141>



J-Brain Cargo®
 (抗ヒトトランスフェリン
 受容体抗体)

hIDS (2 mols)

- ヒトトランスフェリン受容体(TfR)を特異的に認識するヒト化抗体 (J-Brain Cargo®) と、ヒトアイズロン酸-2-スルファターゼ (hIDS : human iduronate-2-sulfatase) の遺伝子組換え融合タンパク質
- CHO細胞により産生
- 点滴静注用の凍結乾燥注射剤



2005年

- 血液脳関門通過技術の開発着手

(2007年)

(日本におけるハンター症候群酵素補充療法治療薬 承認)

2014年

- 血液脳関門を通過するハンター症候群治療酵素製剤 (JR-141) の開発に着手
- 非臨床試験の開始

- BBB通過による中枢神経系への薬物到達の確認

(Sonoda H, et al. Mol Ther. 2018; 26(5):1366-74.)

- MPSII型モデルマウス (hTfR KI/Ids KOマウス) にて中枢神経症状の進行抑制を確認
(論文投稿中)

2017年

- 日本における臨床第1/2相試験開始

- J-Brain Cargo®がヒトでも有効であることを示唆

(Okuyama T, et al. Mol Ther. 2019; 27(2):456-64.)

2018年

- 日本で 「先駆け審査指定制度」の対象品目に指定

- ブラジルにおける臨床第2相試験開始

- 日本における臨床第2/3相試験開始

(Okuyama T, et al. Mol Ther. 2020; 2020 Sep 30;S1525-0016(20)30496-2)

- 米国でオーファンドラッグに指定

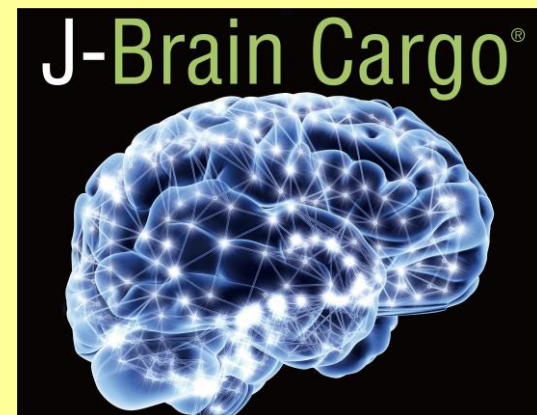
- 欧州でオーファンドラッグに指定

2019年

- 日本で希少疾病用医薬品に指定

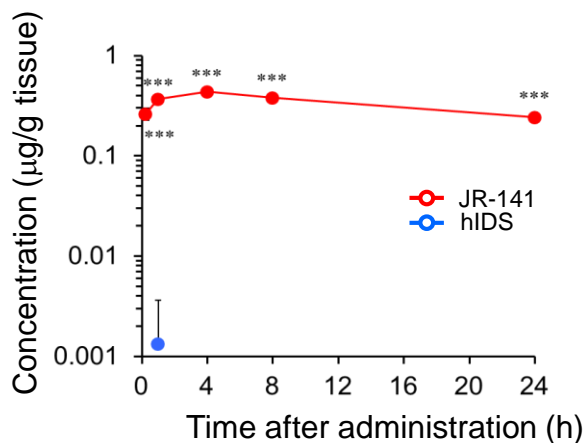
2020年

- 日本で製造販売承認申請

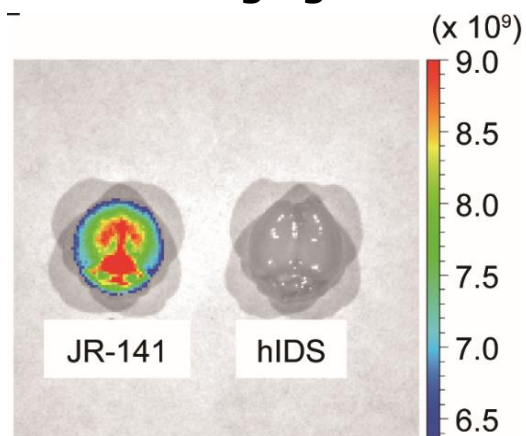


➤ JR-141がBBBを通過し、脳の神経細胞に取り込まれていることを確認

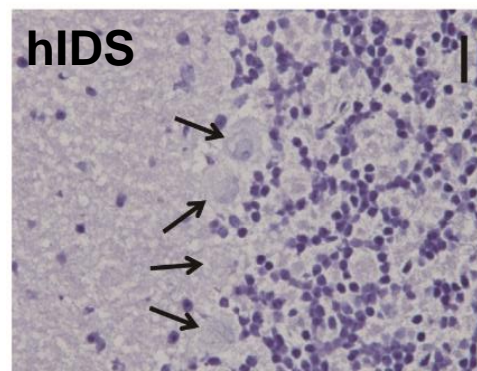
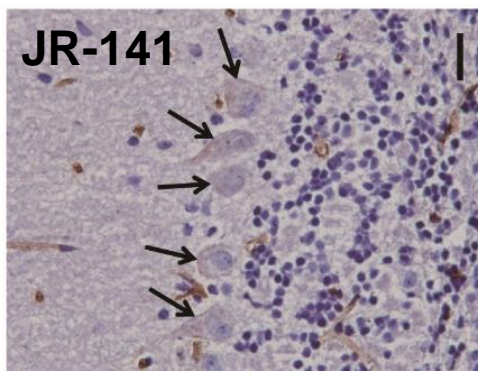
A Distribution to the brain



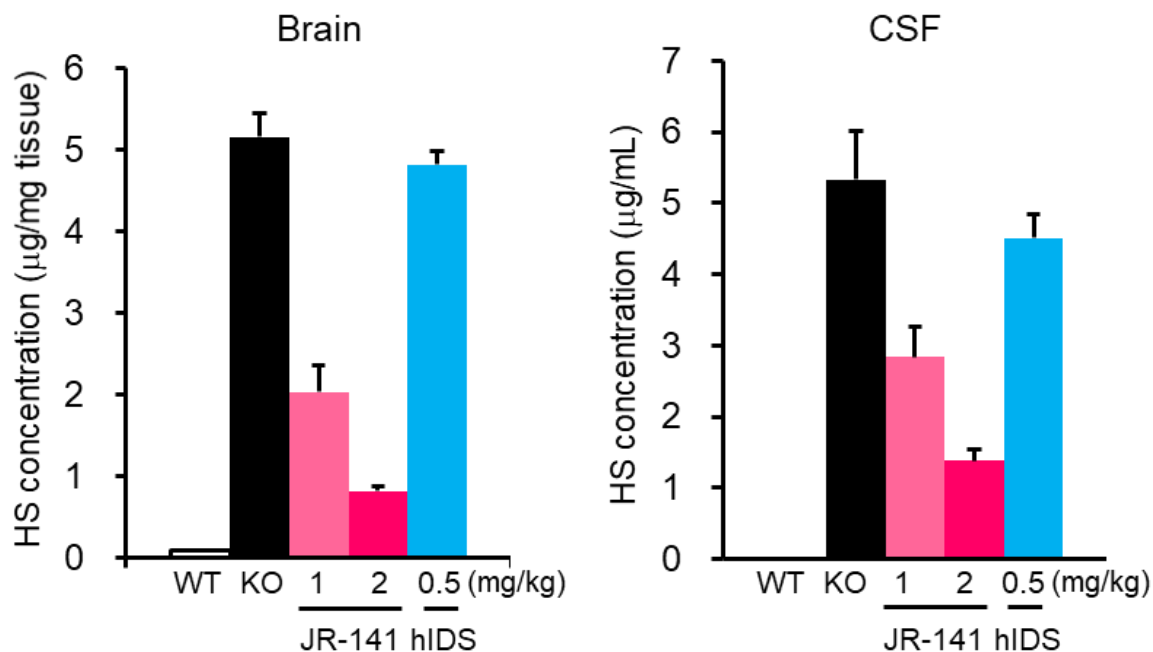
B Fluorescent imaging of mouse brains



C Immunohistochemical detection of JR-141 in the brain



➤ Effect on HS accumulation in MPS II mice

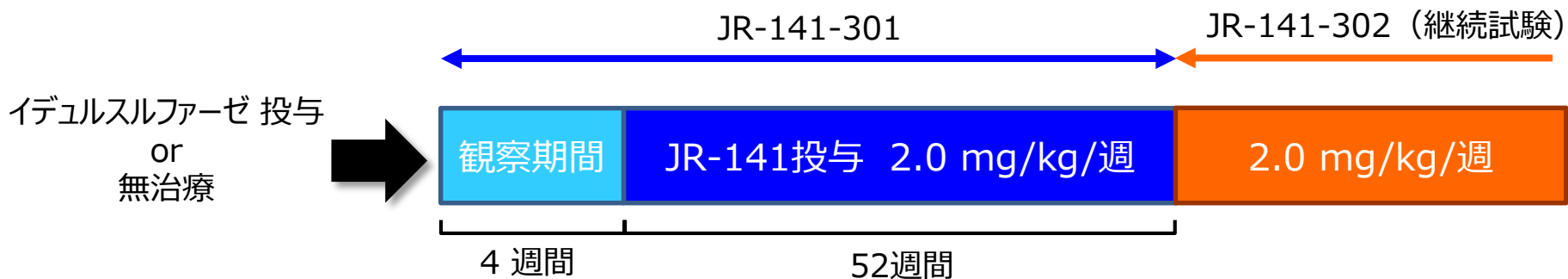


- JR-141が脳中および脳脊髄液 (CSF) 中HSを減少させることを確認
- 脳中HS濃度とCSF中HS濃度の相関から、臨床においてCSF中HS濃度を測定することにより、脳内HS濃度の変化を推定できることが示唆された

Tanaka et al., Mol Genet Metab. 2018; 125: 53-58 (DOI: <https://doi.org/10.1016/j.ymgme.2018.07.013>) にて論文掲載



国内臨床第3相試験（JR-141-301）：試験概要

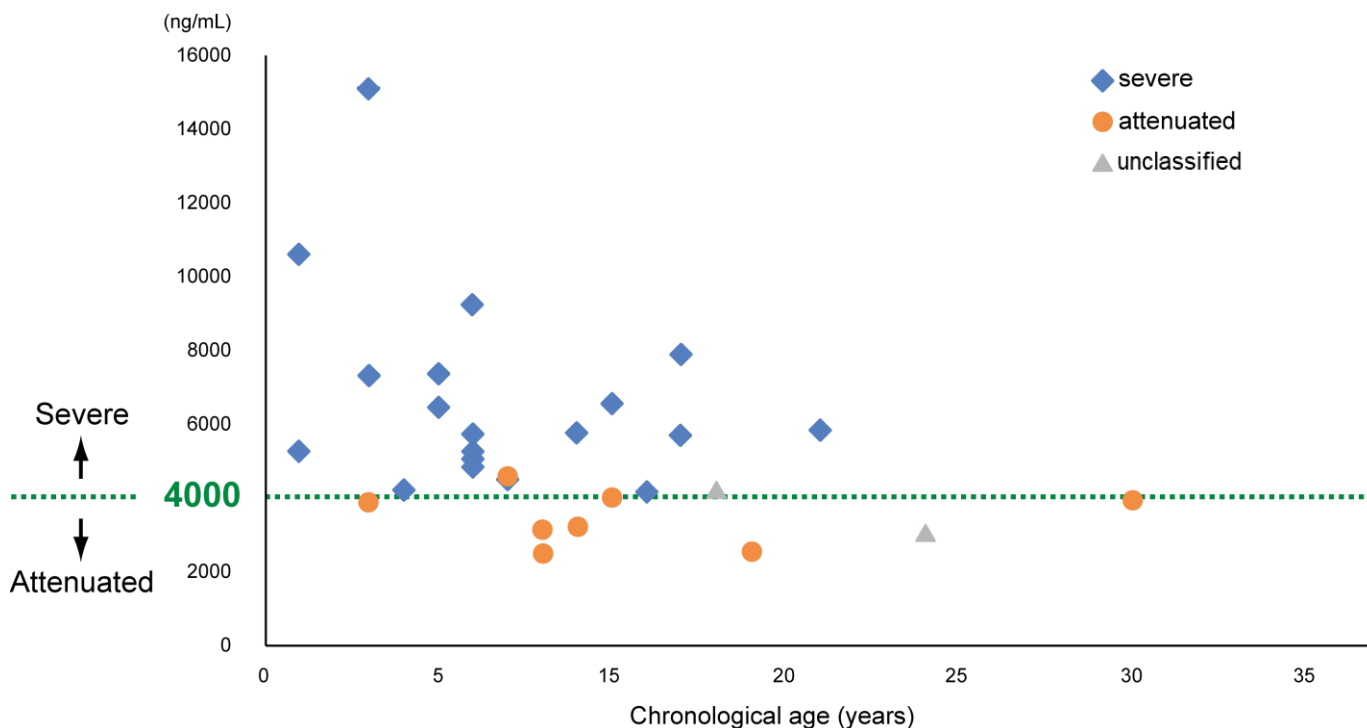


| | |
|----------|--|
| 主要評価項目 | 脳脊髄液（CSF）中へパラン硫酸（HS）濃度 |
| 副次評価項目 | <ul style="list-style-type: none"> 発達評価（認知機能、適応行動） CSF中デルマタン硫酸（DS）濃度 血中及び尿中HS/DS 肝臓容積、脾臓容積 6分間歩行試験 関節可動域 |
| 組み入れ被験者数 | 28人（目標組み入れ被験者数 20人） |
| 論文 | Okuyama T, et al. DOI: https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2020.09.039 |



国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 結果

➤ **試験開始時点のCSF中HS濃度**

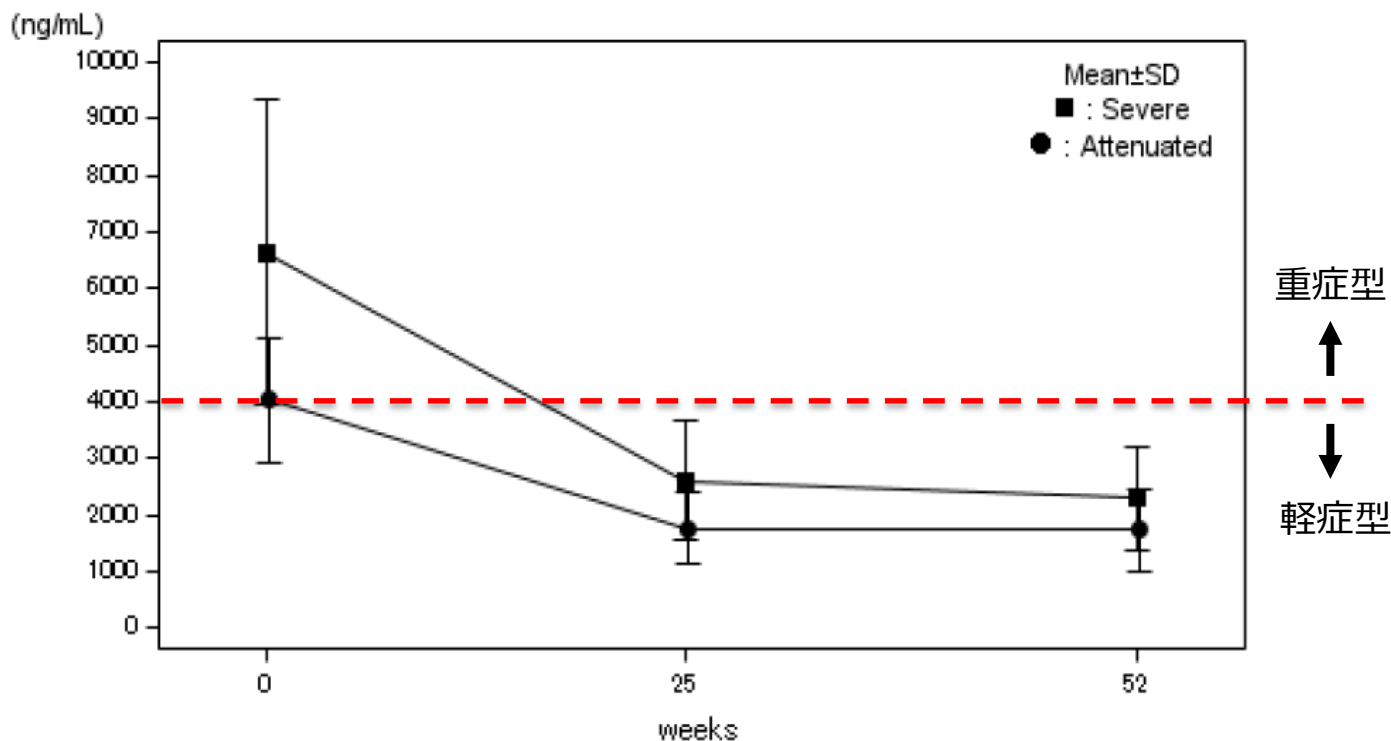


➤ **CSF中HSは疾患の重症度と相関していることを確認**



国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 結果

➤ **CSF中HS濃度の経時的推移**

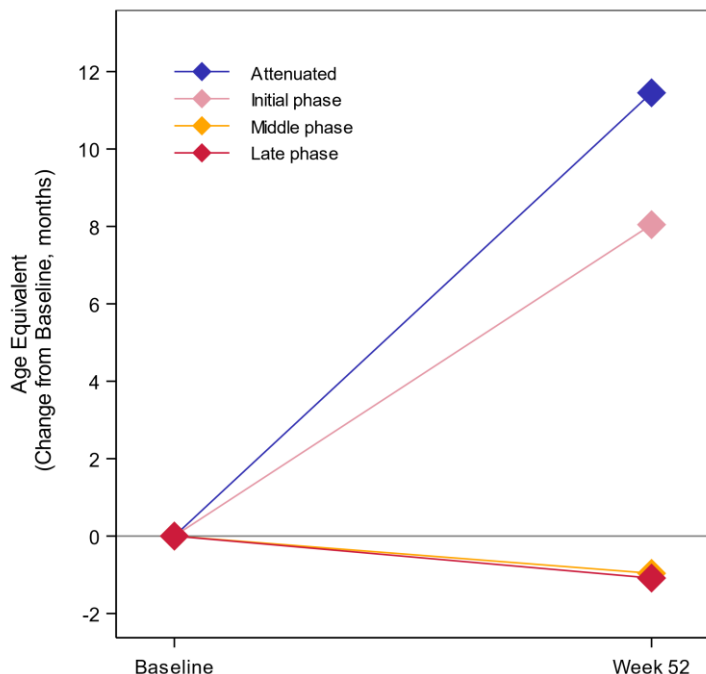


➤ JR-141投与52週後のCSF中の基質濃度は全被験者で減少したことから、JR-141がBBBを通過し、中枢神経系において基質分解作用を発揮することを確認



国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 結果

➤ 52週治療後の発達年齢(AES*)の変化 (重症度別) *Age Equivalent Score



Attenuated : 軽症型被験者
 Severe : 重症型被験者
 Initial phase : 3歳未満かつ発達指数が80以上
 Middle phase : 8歳以下又は発達指数が20以上
 Late phase : 8歳超又は発達指数が20未満

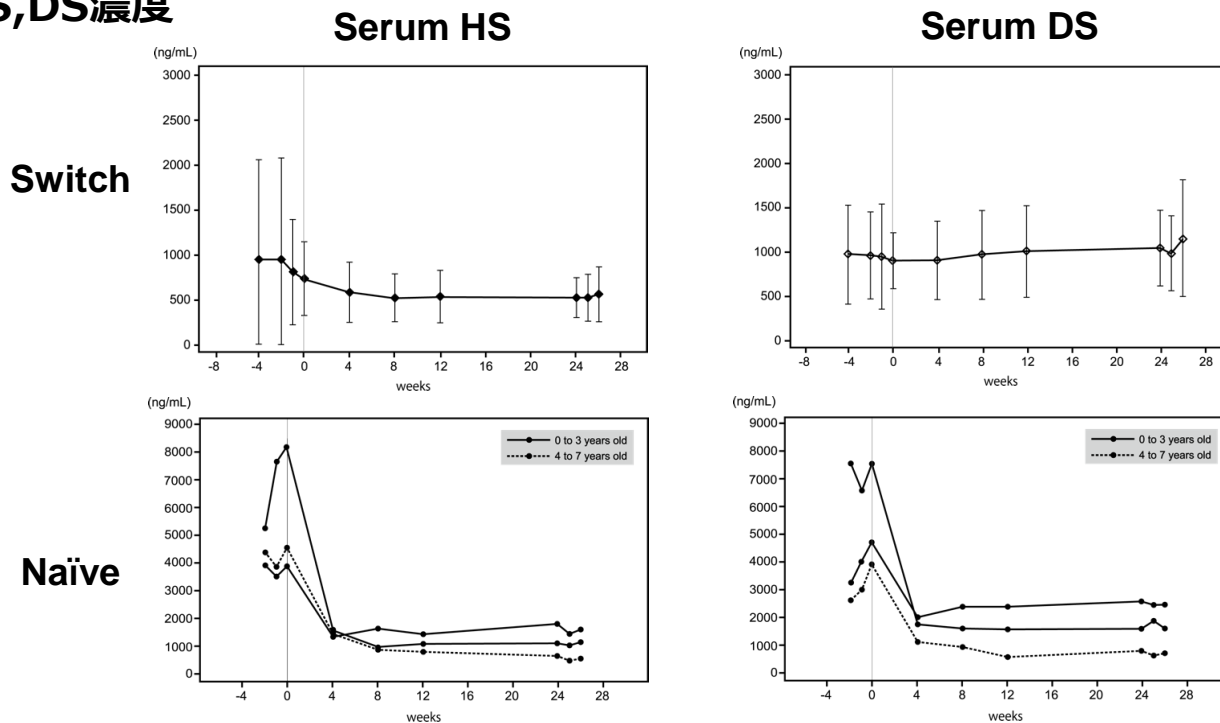
| Disease phenotype | No Subjects | Slope |
|-----------------------|-------------|---------|
| Attenuated | 8 | 0.9543 |
| Severe: initial phase | 2 | 0.6705 |
| Severe: middle phase | 11 | -0.0802 |
| Severe: late phase | 5 | -0.0904 |

- 軽症型および重症型の低年齢層において、発達年齢の上昇が確認された
- 重症型の他の年齢区分においては、発達年齢の維持が確認された
- 以上より、JR-141が中枢神経症状の悪化を抑制または改善する効果が示唆された



国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 結果

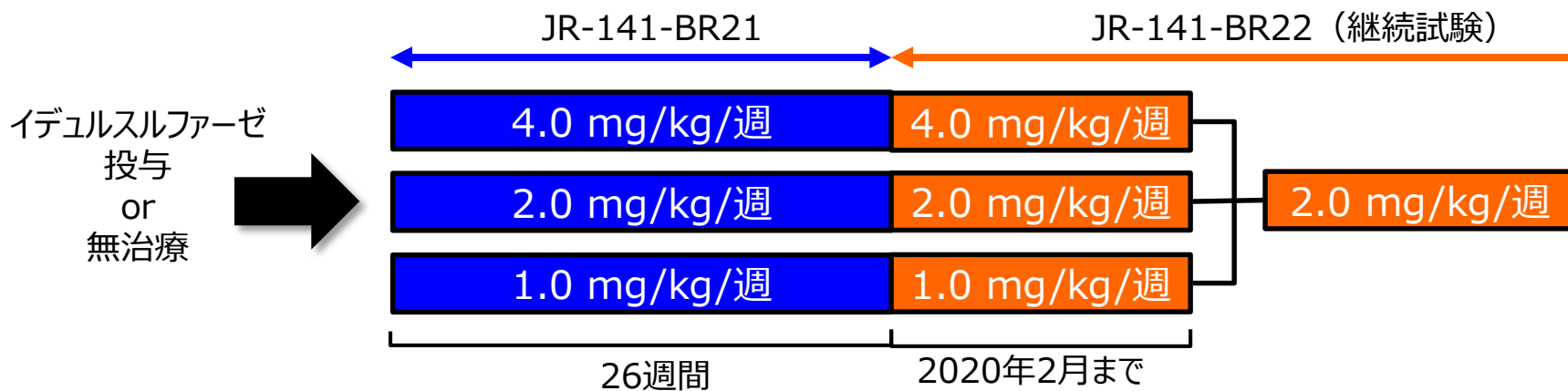
➤ 血中HS,DS濃度



- 既存酵素製剤からの切り替え被験者においては血中基質濃度の維持、新規被験者においては減少が確認された
- その他副次評価項目より、JR-141は全身症状に対し既存酵素補充療法と同程度の効果が期待される



ブラジル臨床第2相試験 (JR-141-BR21) : 試験概要

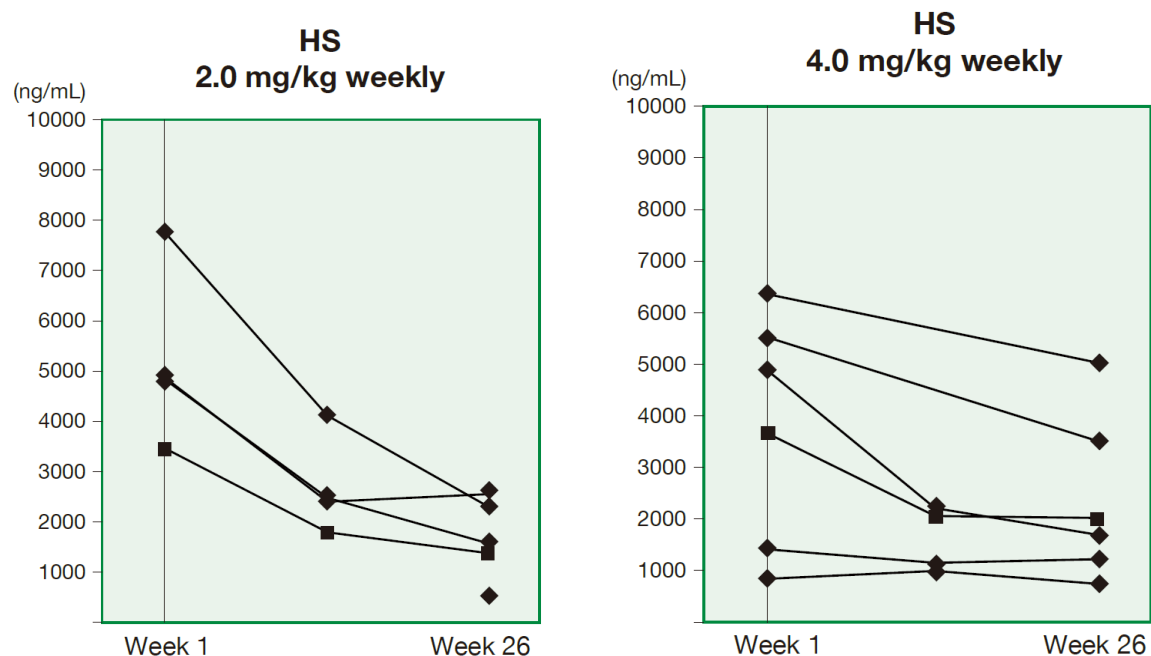


| | |
|-------------------|---|
| 主要評価項目 | 安全性の確認 |
| 副次評価項目 探索的評価項目 | <ul style="list-style-type: none"> 脳脊髄液、血清、尿中における基質濃度 (HS, DS) 発達評価 (認知機能、適応行動) 等 |
| 組み入れ被験者数 | 20人 (目標組み入れ数 18人) |
| 発表 | WORLDSymposium 2020 口頭およびポスター |



ブラジル臨床第2相試験 (JR-141-BR21) : 結果

➤ CSF中HS濃度



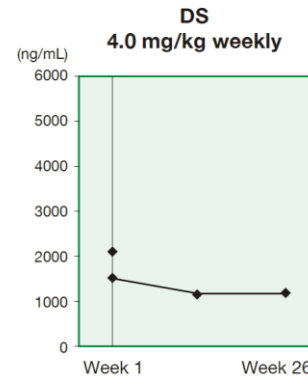
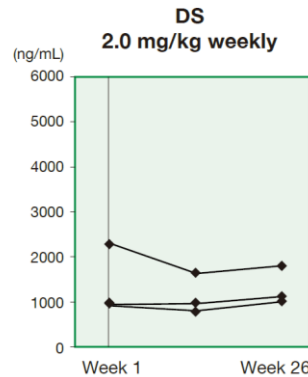
➤ 2.0 mg投与群および4.0 mg投与群の全被験者でCSF中HS濃度が減少したことから、JR-141がBBBを通過し、中枢神経系において基質分解作用を発揮することを確認



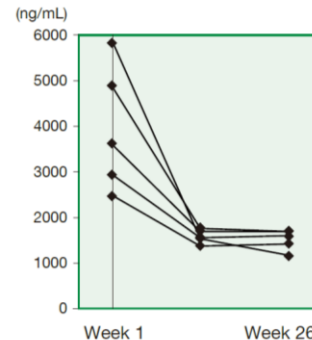
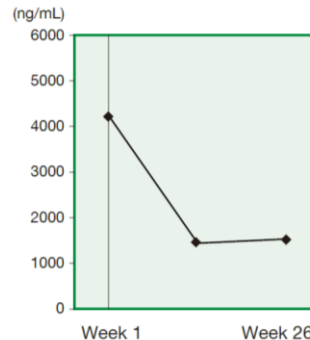
ブラジル臨床第2相試験 (JR-141-BR21) : 結果

➤ 血中DS濃度

<Switch>



<Naïve>



➤ 血中DS濃度は、いずれの投与群においても切替え患者では維持、新規患者では減少が認められたことから、JR-141が血中DS濃度を減少させる効果を有し、かつ、その効果は既存酵素補充療法と同程度であることが示唆された

➤ 被験者の変化に関する治験参加医師からの報告



国内臨床第3相試験 (JR-141-301)

【言語】

語彙が増えた、理解力が増した、口頭の指示が理解できるようになった

【表情】

笑顔が増えた、気分が落ち着いた、よく眠れるようになった

【運動】

長く歩くようになった、できなかった動作ができるようになった



ブラジル臨床第2相試験 (JR-141-BR21)

【言語】

有意語が出るようになった、発話が増えた、口頭での返答が増えた、再び歌を歌うようになった、文章で話そうとするようになった

【表情・活気】

以前より活気が出た、笑うようになった、鼻歌を歌う、機嫌がよくなった、表情が豊かになった

【運動】

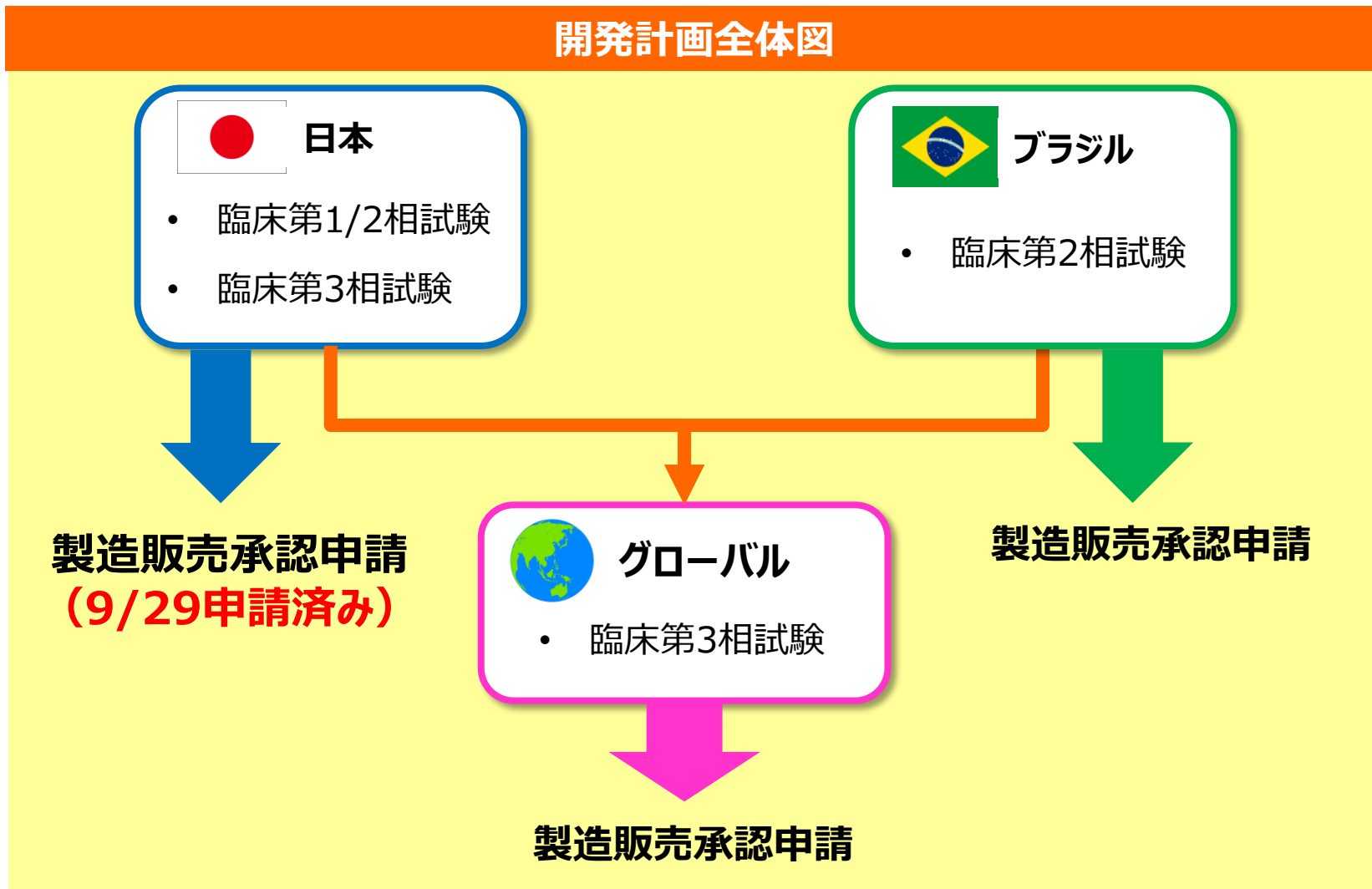
長く歩けるようになった、数年ぶりに座れるようになった、筋力が増えた

- これまでの試験において、JR-141投与に関連する **重篤な有害事象は認められなかった**
- **中枢神経症状や兆候に対する有効性を確認**
- 既存治療酵素製剤と同じ静脈内投与であり、**治療への導入が容易で継続した治療が可能**
- **非臨床試験から臨床試験まで一貫して、疾患モデルにおける脳内HS濃度と相関するCSF中HS濃度の減少が認められており、ヒトにおける脳内基質濃度減少の代替評価指標であるCSF中HSの有用性が示された**
- 中枢神経症状への有効性を期待する酵素製剤として、製造販売承認申請に至ったのは**世界においても本剤が初めて**

低年齢から使用することで中枢神経症状の進行を妨げ、**ムコ多糖症II型の画期的な第一選択薬**になり得る可能性

パビナフスプ アルファ (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)
日本:製造販売承認申請中

開発計画全体図





グローバル臨床第3相試験 (JR-141-GS) : 試験概要

- 実施予定国 : 米国、ブラジル、欧州 (ドイツ、フランス、イギリス)
- 目的 : 中枢神経症状および全身症状に対する有効性を示す
- 試験概要 :
- **2コホート 標準治療薬対照並行群間比較試験**
 - 組み入れ被験者数 : 計50人 (男性)

| | 対象 | 標準治療群 | JR-141投与群 | 試験期間 |
|---------|--|------------|------------|------|
| CohortA | <ul style="list-style-type: none"> • Neuronopathic patients • 3-6歳 IQ 55-85 | 15人 | 15人 | 105週 |
| CohortB | <ul style="list-style-type: none"> • Attenuated patients • 6歳以上 IQ 85以上 | 10人 | 10人 | 53週 |

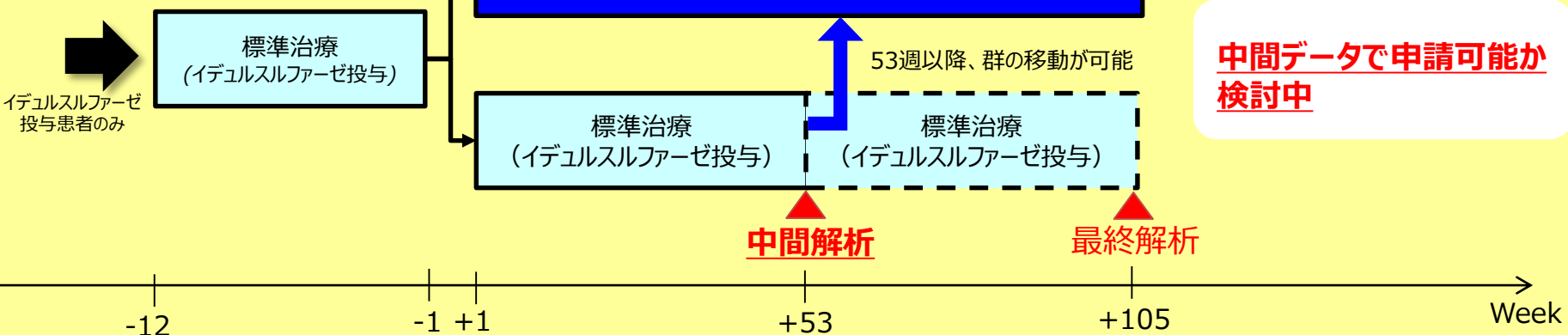
- 主要評価項目 :
- CSF中HS、中枢神経症状 (認知、行動、注意力)
 - 全身症状
- 試験詳細 : [Clinical Trials.gov Identifier : NCT04573023](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04573023)



グローバル臨床第3相試験 (JR-141-GS) : 試験概要

◆ Cohort A :

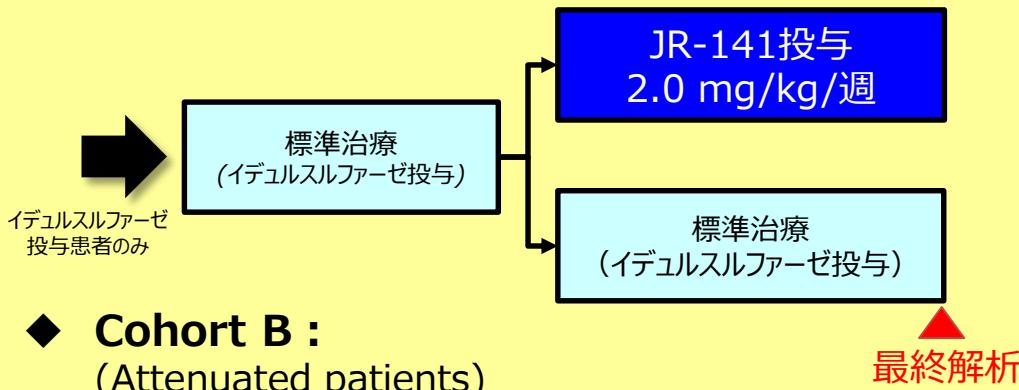
(neuronopathic patients)



**中間データで申請可能か
検討中**

◆ Cohort B :

(Attenuated patients)



JR-141

パビナフスプ アルファ (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)
日本:製造販売承認申請中



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
- 臨床第3相試験：全例が継続試験 (JR-141-302) へ参加



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**に指定

詳細は **WORLDSymposium 2021** で発表予定

- 2020年9月：**
 希少疾病用医薬品に指定
製造販売承認申請
 ⇒先駆け審査により、**2021年3月に承認見込み**



ブラジル

- 臨床第2相試験：全例が最終観察を終了し、継続試験 (JR-141-BR22) へ参加

詳細は、**WORLDSymposium 2021** で発表予定



2020年中に**製造販売承認申請予定**
 ⇒**2021年5月に承認見込み**



2020年度内に**グローバル臨床第3相試験を開始予定**

■ 研究開発ニュースリリースハイライト（期間：2020年6月-10月）

■ JR-141 開発状況

■ その他の開発パイプライン

JR-171 血液脳関門通過型 遺伝子組換え α -L-アイズロニダーゼ

- 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）**
- 患者数*1 : 約60人（日本）、約3,600人（WW）
- 市場規模*2 : 約16億円（2019年/日本）、約280億円（2019年/WW）
- 疾患概要 : ムコ多糖を体内で分解する酵素（ α -L-iduronidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。幅広い症状があるなか、既存の治療酵素製剤は血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経症状に対し効果が期待できないことが重大な課題となっている。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

● グローバル臨床第1/2相試験

2020年7月に日本において、10月にブラジルにおいて治験計画届受理

- 目標組み入れ被験者数 : 19名
- 試験実施国 : 日本、米国、ブラジル
- 投与期間 : 12週間
- 主要評価項目 : 安全性
- 副次評価項目 : 中枢神経症状および全身症状に対する有効性
血漿中薬物動態

JCRが取り組むライソゾーム病治療薬の開発ステージ

| | 既存薬あり（WW） | 既存薬なし（WW） |
|-------------|--|---|
| 製造販売承認申請 | JR-141 ムコ多糖症II型 (ハンター症候群) | 赤枠：3年以内の臨床試験開始を目指す |
| 臨床試験 | JR-171 ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群 他) | |
| 前臨床 | JR-162 ポンペ病 | JR-441 ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリップ症候群A型) |
| 製法検討 | JR-443 ムコ多糖症VII型 (スライ症候群) | JR-446 ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリップ症候群B型) GM1 ガングリオシドーシス フコシドーシス |
| 動物モデルでの薬効確認 | ニーマンピック病 ゴーシェ病 バツテン病 遅発乳児型 (CLN2) | バツテン病 乳児型 (CLN1) クラッベ病 異染性白質 ジストロフィー α-マンノシドーシス |
| 基礎研究 | | テイサックス病 |

今後の想定タイムライン（ライソゾーム病）

*2021年以降は現時点での予定

| | 2020年 | 2021年 | 2022年 | 2023年 |
|---|----------------------------------|---------------------|-----------------|-----------------|
| JR-141 Pabinafusp alfa (ムコ多糖症II型) | 日本：製造販売承認申請済み ブラジル：製造販売承認申請予定 | グローバル： 臨床第3相試験開始 | | |
| JR-171 (ムコ多糖症I型) | グローバル：臨床第1/2相試験 (実施中) | | | 臨床第3相試験 開始 |
| JR-441 (ムコ多糖症IIIA型) | 非臨床試験 (実施中) | | 臨床第1/2相試験 開始 | |
| JR-162 (ポンペ病) | 非臨床試験 (実施中) | | | 臨床第1/2相試験 開始 |
| JR-443 (ムコ多糖症VII型) | 非臨床試験 (実施中) | | | 臨床第1/2相試験 開始 |
| JR-446 (ムコ多糖症IIIB型) | 非臨床試験 (実施中) | | | 臨床第1/2相試験 開始 |

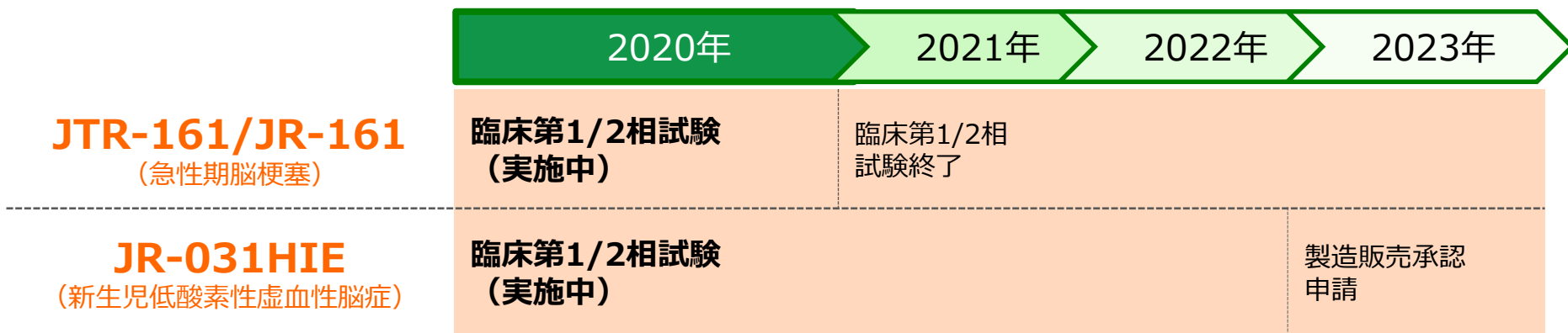
今後の想定タイムライン（成長ホルモン領域）

*2021年以降は現時点での予定



今後の想定タイムライン（細胞治療・再生医療等製品）

*2021年以降は現時点での予定



変革

REVOLUTION
into the Future

「チームJCR」の総力を結集し

希少疾病領域における

グローバルスペシャリティファーマへ

3つのプラットフォームで
「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」を推進

遺伝子組換え
医薬品

細胞治療
再生医療等
製品

遺伝子治療用
製品

Appendix

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）**
- 患者数*1：約60人（日本）、約6,900人（WW） ※A型、B型総数
- 市場規模*2：既存薬なし
- 疾患概要：ムコ多糖を体内で分解する酵素（Heparan-N-sulfatase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。症状として、特に**中枢神経障害**が急速に進行し、発達年齢は2、3歳をピークとしてその後退行する。A型は比較的重症であると言われている。
治療法として、造血幹細胞移植が考慮されるが効果は明らかではない。

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**
- 患者数*1：約80人（日本）、約10,600人（WW）
- 市場規模*2：約30億円（2019年/日本）、約1,100億円（2019年/WW）
- 疾患概要：グリコーゲンの分解に必要な酵素（acid α-glucosidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。**筋細胞や神経細胞内にグリコーゲンが蓄積**することにより症状が現れる。乳児型は生後2か月で哺乳力低下、筋力低下が出現し、自然歴では18か月までに心機能障害、呼吸障害により死亡する。遅発型は筋力低下や呼吸筋の筋力低下をきたす。また、症状の一つに、**中枢神経障害**がある。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

JR-443 血液脳関門通過型 遺伝子組換えβ-グルクロニダーゼ

適応症 : **ムコ多糖症VII型（スライ症候群）**

患者数*1 : 数名程度（日本）、約200人（WW）

市場規模*2 : 約14億円（2019年/WW）

疾患概要 : ムコ多糖を体内で分解する酵素（β-glucuronidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸、デルマタン硫酸が蓄積する。症状として骨変形、関節拘縮のほか、重症患者には**中枢神経障害**が認められる。治療法として、造血幹細胞移植および酵素補充療法があるが、中枢神経障害を含む病態への明確な効果は認められていない。

JR-446 血液脳関門通過型 遺伝子組換えα-N-アセチルグルコサミニダーゼ

適応症 : **ムコ多糖症IIIB型（サンフィリップ症候群B型）**

患者数*1 : 約60人（日本）、約6,900人（WW） ※A型、B型総数

市場規模*2 : 既存薬なし

疾患概要 : ムコ多糖を体内で分解する酵素（α-N-acetylglucosaminidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸が蓄積する。症状として、特に**中枢神経障害**が急速に進行し、発達年齢は2、3歳をピークとしてその後退行する。治療法として、造血幹細胞移植が考慮されるが、効果は明らかではない。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

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**
- 技術特徴 : 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（特許出願済）

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**
- 年間発症者数* : 約450-500人（日本）

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**
- 発症率* : 正期産出生数1000人に対し2.5人（WW）
（治療対象：標準治療である低体温療法適応となる中等度～重度の患者 150-200人/年）

JTR-161/JR-161 ヒト歯髄由来幹細胞

- 適応症 : **急性期脳梗塞**
- 年間発症者数* : 約30万人（日本）
- 特徴 : 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

TEIJIN

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、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。

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の状況によっては今後、臨床試験の進捗に影響がでる可能性があることをご承知ください。