

2024年3月期第2四半期 決算説明会

2023年11月2日

JCRファーマ株式会社

【証券コード】 4552

【問合わせ先】 管理本部 広報・IR室 小山 (TEL 0797-32-1995)

1. JCRが目指す姿
2. 2024年3月期第2四半期 連結業績
3. さらなる成長に向けた取り組み
 1. 主力製品販売
 2. 開発

JCRが目指す姿

上席執行役員 経営戦略本部長 伊藤 洋

バイオシミラーのリスクが低いライソゾーム病領域で、高度な医薬品を創出し、パテントクリフのない事業へ

長期に利益を
創出し続ける
製品群



国内製品群と技術・製品導出による収益を継続して希少疾病のR&D投資へ

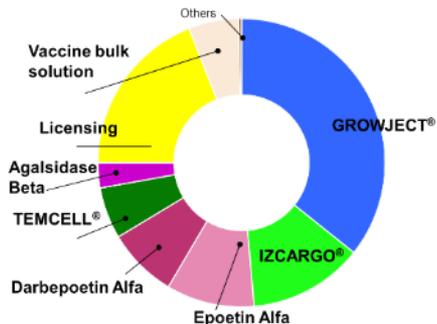
希少疾病への
R&D投資を可
能とする事業
基盤

傑出したバイオ
製造技術を自社
で保有

自社の製造設備を保有することで、複数の品目を同時に開発し、より多くの製品を、より低コストで、より早く

継続して利益を上げている希少疾病領域の製薬会社は**世界的にも非常に少ない**
それを可能とする事業基盤をJCRは保有している

1 国内主力製品



KISSEI  Sumitomo Pharma

成長分野への継続的な投資
を可能とする安定した収益

2 LSDポートフォリオ

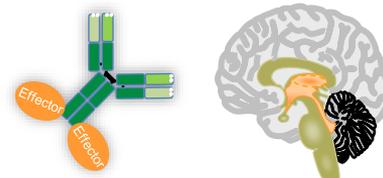
Code	Indication	Phase	Clinical Stage	First	Approved
JCR-001	SRK (SRK-01)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-002	SRK (SRK-02)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-003	SRK (SRK-03)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-004	SRK (SRK-04)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-005	SRK (SRK-05)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-006	SRK (SRK-06)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-007	SRK (SRK-07)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-008	SRK (SRK-08)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-009	SRK (SRK-09)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-010	SRK (SRK-10)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-011	SRK (SRK-11)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-012	SRK (SRK-12)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-013	SRK (SRK-13)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-014	SRK (SRK-14)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-015	SRK (SRK-15)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-016	SRK (SRK-16)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-017	SRK (SRK-17)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-018	SRK (SRK-18)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-019	SRK (SRK-19)	Phase 1/2	Phase 1/2		
JCR-020	SRK (SRK-20)	Phase 1/2	Phase 1/2		

  メディパルHD

開発ステージを進め、パートナ
リングを進めることで、より大きな
将来収益を実現

ターゲット：希少疾病

3 基盤技術



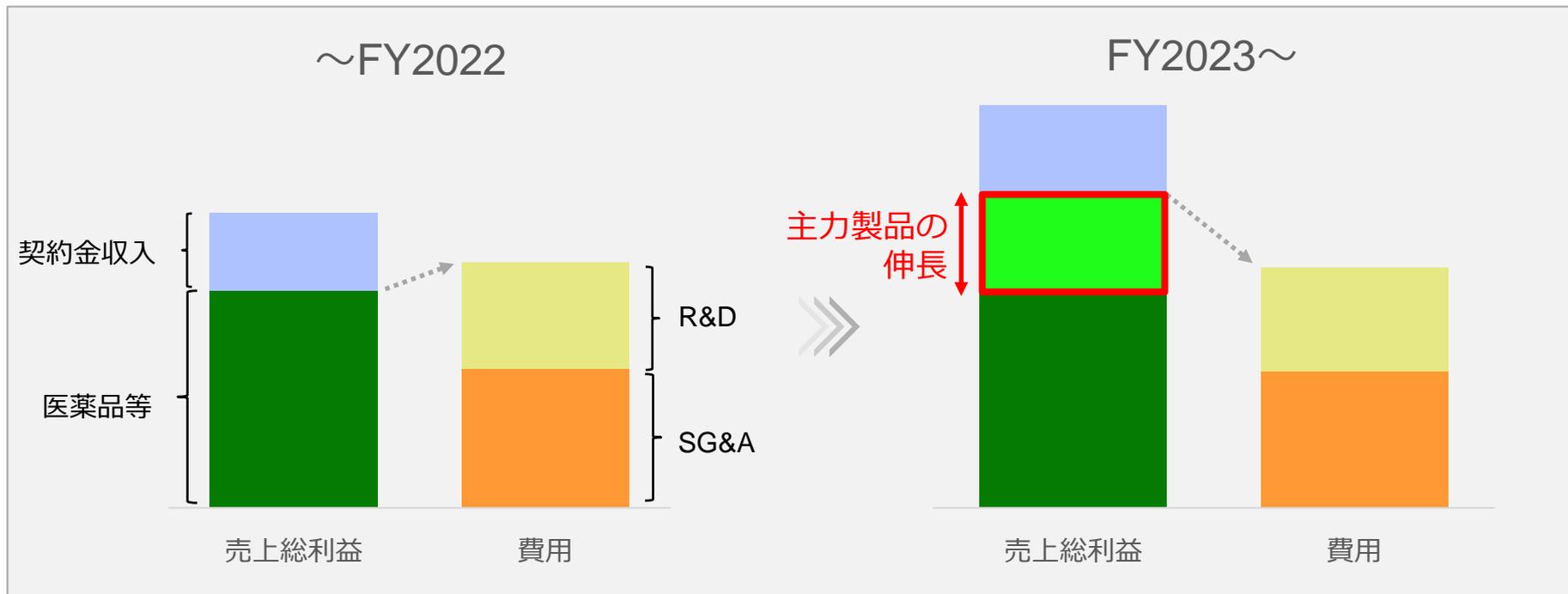
神経変性疾患、神経腫瘍、
神経筋疾患、眼疾患 など

 Sumitomo Pharma 
 ALEXION® 
AstraZeneca Rare Disease Angelini
Pharma

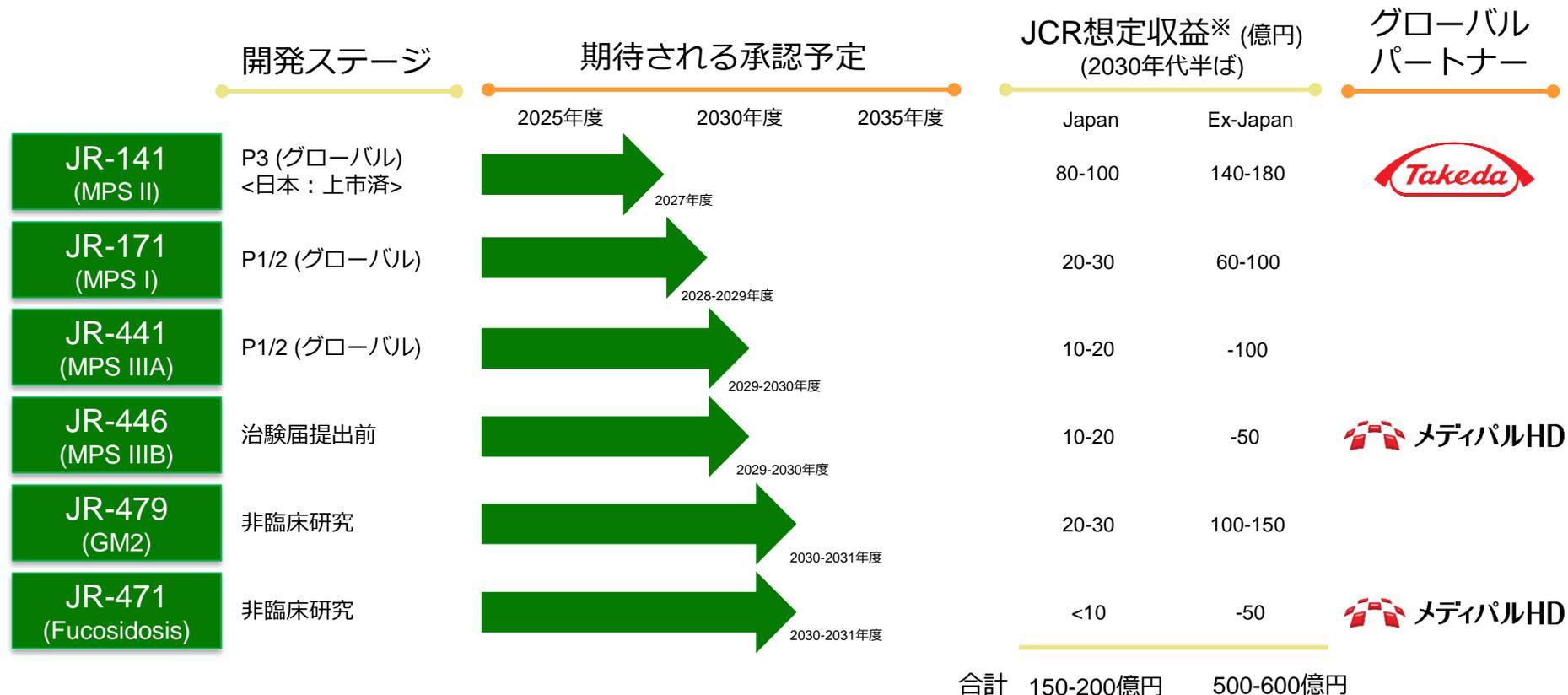
大きな収益が期待される疾患領域
へパートナーリングを通して参入

ターゲット：難病

- 主力製品の売上伸長により、より安定した収益構造を実現へ
- 国内製品からの収益のみで研究開発費、販管費を賄える構造へ

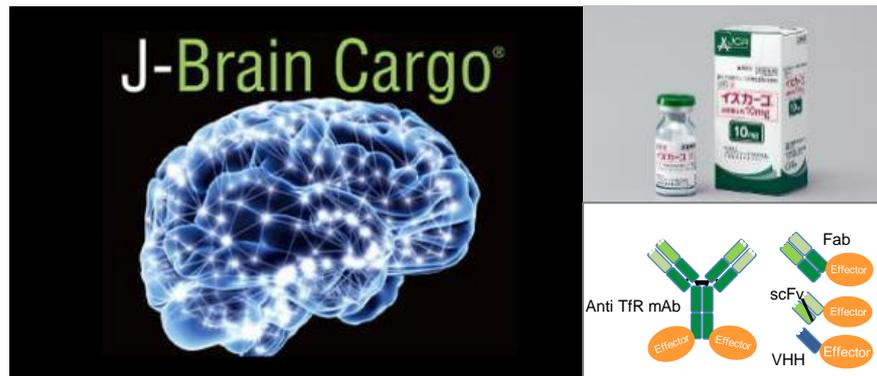


LSD市場における想定タイムラインと収益



※想定市場をベースにJCRで計算

J-Brain Cargo®は中枢神経に薬剤を届けることが可能

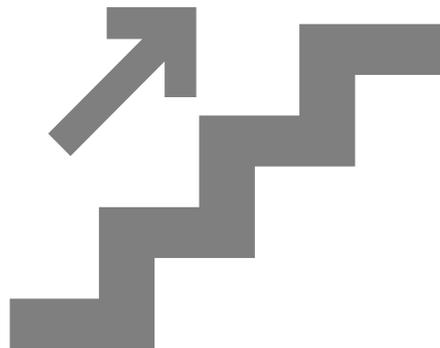


患者数 : 5000万人(WW)
市場 : 約570億ドル

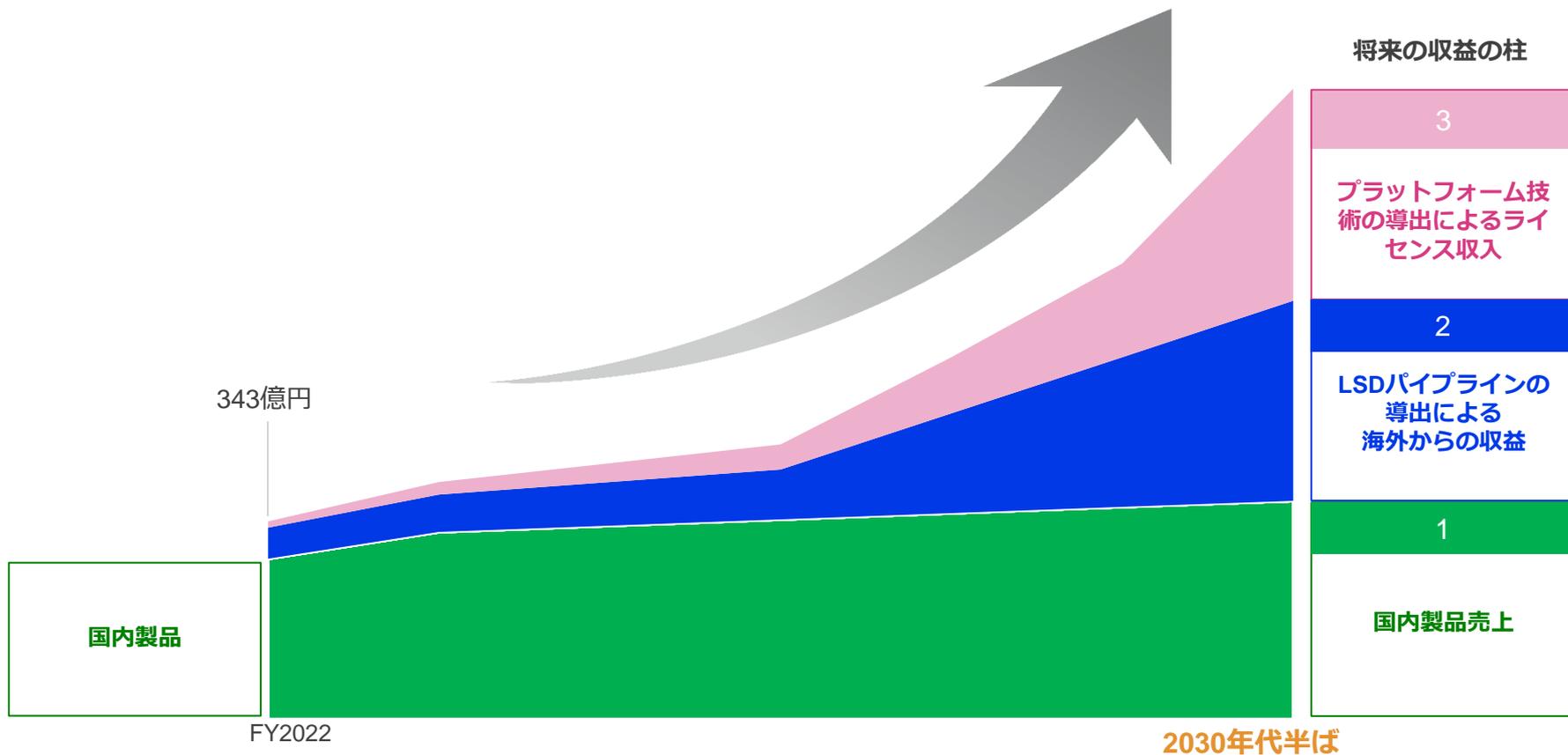
神経変性疾患

- アルツハイマー病
- パーキンソン病
- てんかん
- ALS
- 多発性硬化症
- SMA
- ハンチントン病 など

患者数 : 3万人 (WW)
約100億ドル市場



3つの収益の柱を確立し、2030年代に1,000億円企業へ



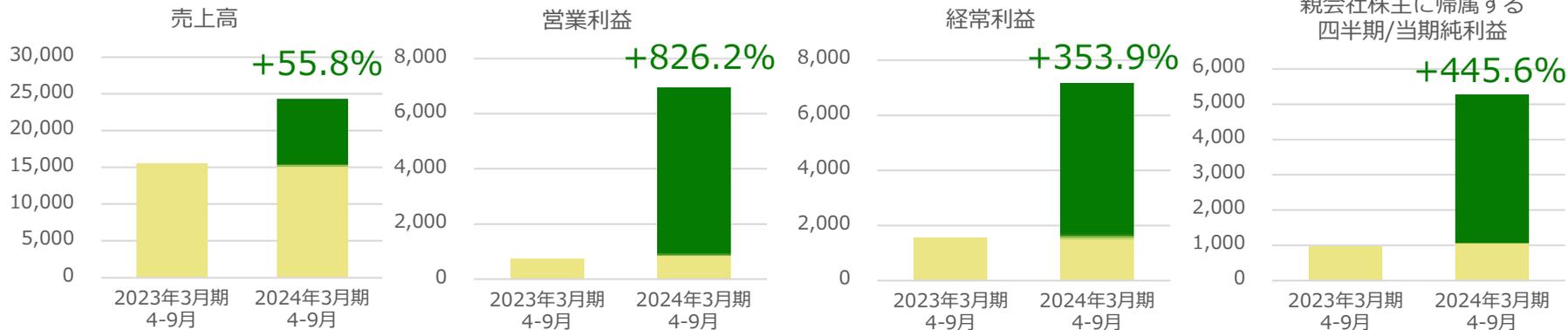
2024年3月期第2四半期 連結業績

経営戦略本部 経理部 部長 太田 義博

主力製品販売の好調、契約金収入の増加が寄与し、 前年同期比で大幅な増収増益

- ▶▶ 売上高 : 24,272百万円（前年同期比 +55.8%）
- ▶▶ 営業利益 : 6,898百万円（前年同期比 +826.2%）
- ▶▶ 経常利益 : 7,126百万円（前年同期比 +353.9%）
- 親会社株主に帰属する
- ▶▶ 四半期純利益 : 5,253百万円（前年同期比 +445.6%）

（単位：百万円）

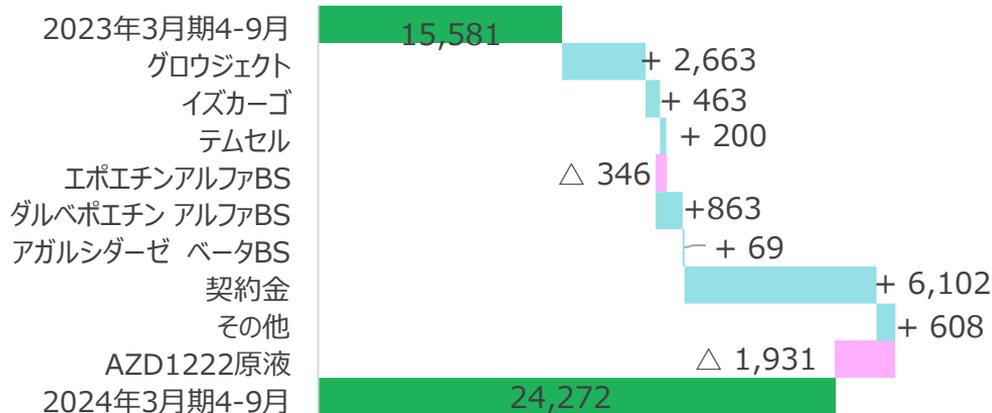


(単位：百万円)

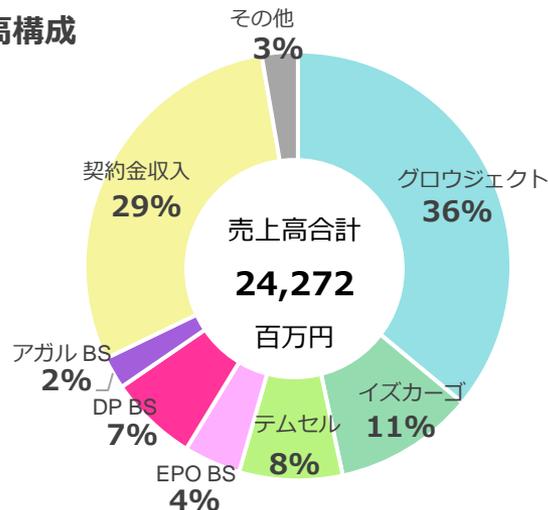
	2023年3月期	2024年3月期				
	2Q実績	2Q実績	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間進捗率
			増減額	増減率		
医薬品等合計	12,583	16,495	+3,913	+31.1%	34,700	47.5%
契約金収入	1,010	7,112	+6,102	+604.2%	8,100	87.8%
その他	56	664	+608	+1085.7%	2,600	25.5%
AZD1222原液	1,931	—	△ 1,931	—	—	—
売上高合計	15,581	24,272	+8,691	+55.8%	45,400	53.5%

- グロウジェクト®をはじめ、イズカーゴ®、テムセル®を含む当社主力製品が好調に推移し、医薬品売上高は前年同期比+31.1%の増収となりました。
- 契約金収入、その他（製造受託分含む）に関しては予定通り進捗し、前年同期比増となりました。

売上高 (単位：百万円)



売上高構成

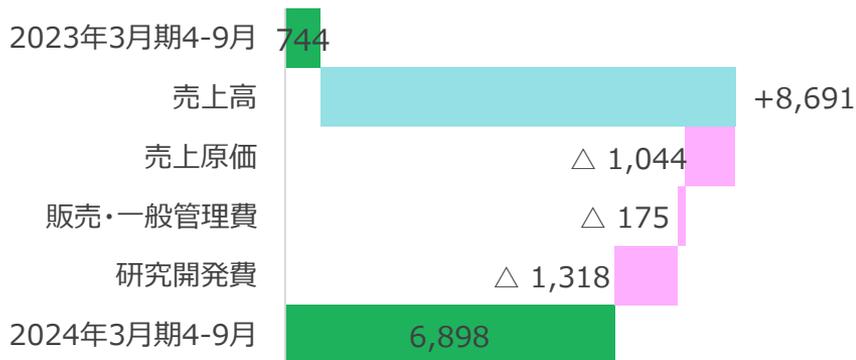


(単位：百万円)

連結	2023年3月期	2024年3月期				
	2Q実績	2Q実績	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間進捗率
			増減額	増減率		
売上高	15,581	24,272	+8,691	+55.8%	45,400	53.5%
売上原価	4,836	5,881	+1,044	+21.6%	12,400	47.4%
売上総利益	10,744	18,391	+7,646	+71.2%	33,000	55.7%
販売・一般管理費	5,782	5,957	+174	+3.0%	12,800	46.5%
研究開発費	4,216	5,535	+1,318	+31.3%	9,700	57.1%
営業利益	744	6,898	+6,153	+826.2%	10,500	65.7%

対売上高比率	2023年3月期 2Q	2024年3月期 2Q
売上原価率	31.0%	24.2%
販売・一般管理費率	37.1%	24.5%
研究開発費率	27.1%	22.8%
営業利益率	4.8%	28.4%

営業利益 (単位：百万円)



- 売上高の伸長に伴い、営業利益は前年同期比 +826.2%の大幅増益となりました。
- 積極的な研究開発活動の結果、研究開発費は31.3%増加し55億35百万円（前年同期比13億18百万円増）となりました。

さらなる成長に向けた取り組み

1. 主力製品販売

専務取締役 営業本部長 芦田 透

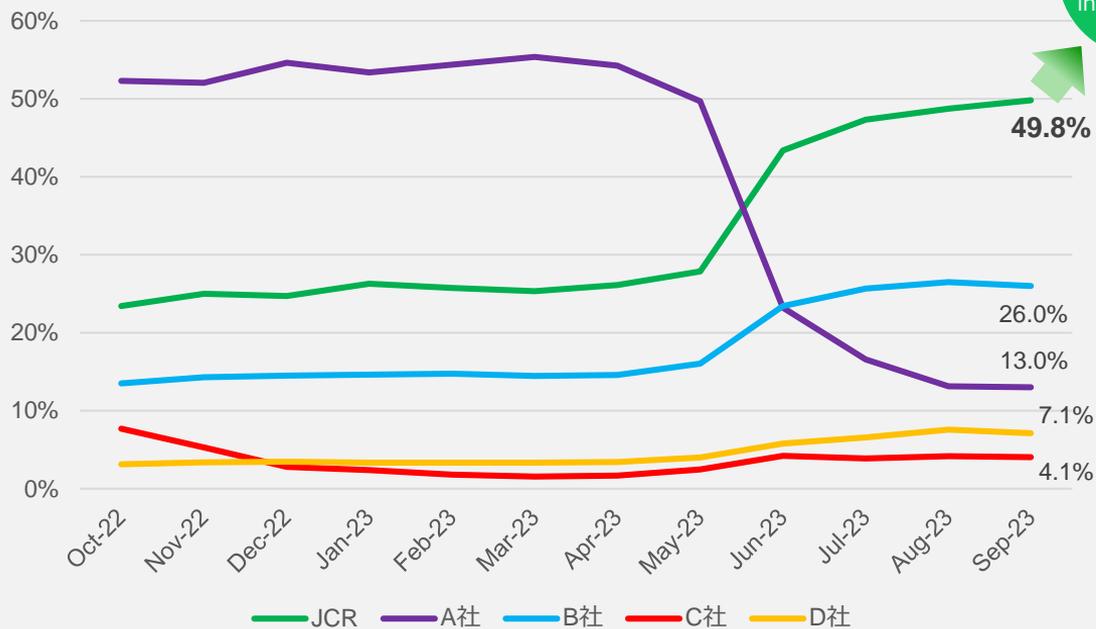
主力製品の好調が、大幅増益・増収に大きく寄与した。

(単位：百万円)

連結	2023年3月期		2024年3月期				
	通期実績	2Q実績	2Q実績	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間進捗率
				増減額	増減率		
グロウジェクト®	12,261	6,083	8,746	+2,663	+43.8%	19,500	44.9%
イズカゴ®	4,428	2,118	2,581	+463	+21.9%	5,500	46.9%
テムセル® HS注	3,404	1,701	1,901	+200	+11.8%	3,300	57.6%
腎性貧血治療薬	4,696	2,157	2,674	+517	+24.0%	5,000	53.5%
エポエチンアルファ BS注「JCR」	2,710	1,392	1,046	△ 346	△ 24.9%	2,200	47.5%
ダルベポエチンアルファ BS注「JCR」	1,986	765	1,628	+863	+112.8%	2,800	58.1%
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	964	521	590	+69	+13.2%	1,400	42.1%
医薬品等合計	25,755	12,583	16,495	+3,913	+31.1%	34,700	47.5%

2023年5月以降、グロウジェクト®の需要が急激に増加。
唯一のGH国産メーカーとして、急遽増産対応。GHが必要な患者の皆さんへの安定供給を達成。

GH Market Share in Japan



>50%
Market share
in the future

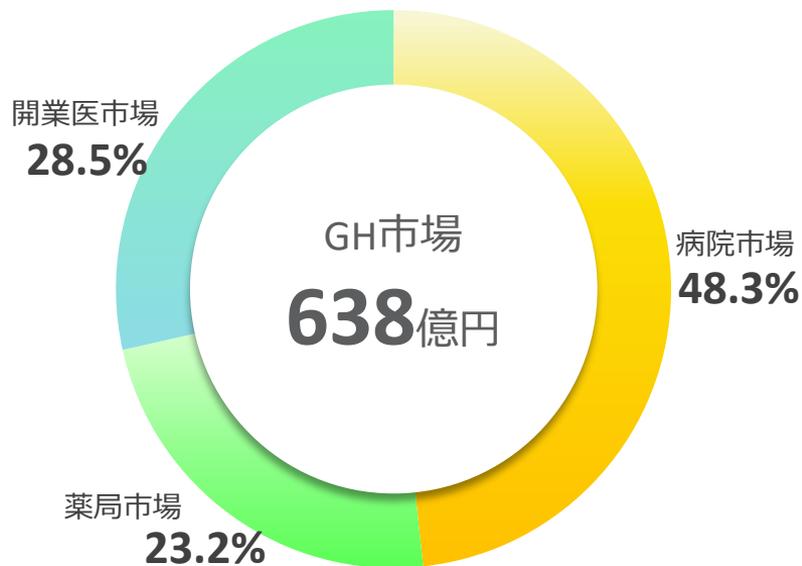
FY2023上半期グロウジェクト®実績*

- 出荷本数 前年同期比 約1.6倍
- 新患症例数 前年同期比 約1.8倍
- 切替症例数 前年同期比 90倍以上

*JCR社内分析

Copyright © 2023 IQVIA.
JPM(2022年10月～2023年9月)を基に自社分析/無断転載禁止

国内GH市場*



病院市場特性

- 体重当たり投与量の多い疾患群
(SGA、ターナー、SHOX) の診断機会
- 地域医療に影響力のあるKOLの存在
- 医薬品管理の「一増一減ルール」の原則
による医薬品採用の難しさ

出典：Copyright © 2023 IQVIA. JPM 2023年9月MATをもとに作成 (*市場定義はJCRファーマ株式会社による) 無断転載禁止

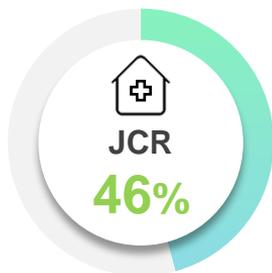
長年の課題であった病院市場で大きく伸長

2022年9月度

病院市場

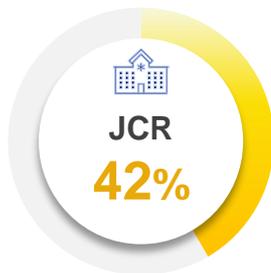


開業医市場

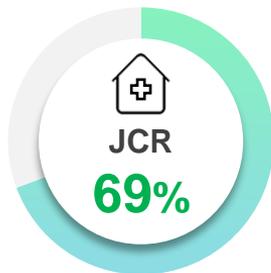


2023年9月度

病院市場



開業医市場



2022年度通期実績との比較
(グロウジェクト®納入施設数*)

 病院市場 (HP) : 約1.2倍

– 新規口座数 : 180軒

 開業医市場 (GP) : 約1.4倍

– 新規口座数 : 69軒

*自社データ

■ グロウジェクト®病院市場売上比
■ グロウジェクト®開業医市場売上比
□ グロウジェクト®を除く成長ホルモン製剤売上比

安定供給

- 50%以上のシェア維持に必要な生産数量を確保する体制を構築済み
- GHトップシェアメーカーとして安定供給を継続し、市場からの信頼を高める

デバイス戦略

2つのデバイスで
患者と医療従事者のニーズに応える



Groÿjector® L

- 注射操作をフルサポート
- お楽しみ機能による治療コンプライアンスの上昇



Groÿjector® Duo

- 簡易操作モードを実装し、よりスムーズなデバイス切替え
- 処方時の注射指導時間の短縮

新規患者の処方獲得・既存患者の治療継続を実現する

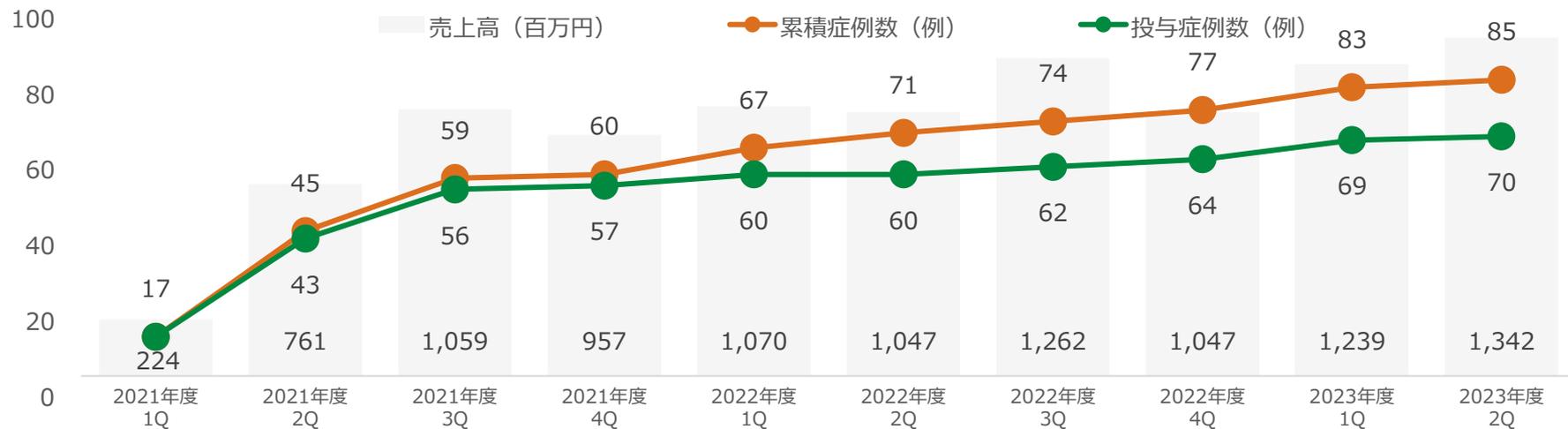
その時々のお患者さんのニーズ／ライフスタイルに合った電動式注入器を提供可能

- ▶ 電動式注入器の主な特長：
一定スピードによる薬液注入、投与量の事前設定・自動計算、薬剤交換時の投与量の自動調整、注射履歴の記録など



① 低身長に対する治療

幼児期～学童期を通して思春期まで治療を継続する。患者の年齢が小さい時は主に保護者が注射を行い、年齢が上がるにつれ患者本人が注射を行うようになる。



2023年4月以降の営業体制

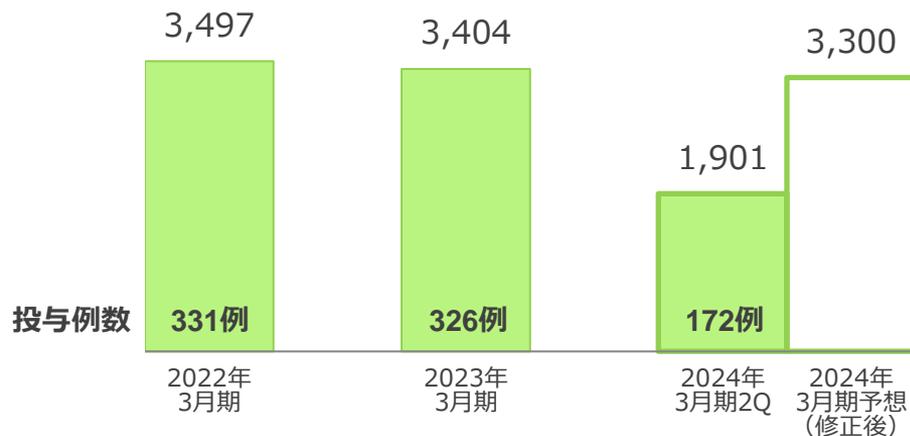
- 製品別MRの配置
 - 住友ファーマ株式会社とのコ・プロモーション
- アプローチ力・情報収集力を強化し、
今期の売上を加速する**

国内想定市場 (JCR調べ)

- 治療対象者：約170人
- 年間治療費：7,000～8,000万円／人(30kg想定)

- i 酵素補充療法 (ERT)
酵素を体外から点滴などで補う治療法。生涯続ける。
- i イズカーゴ®用法および用量
1回体重1kgあたり2.0 mgを週1回、点滴静注する。

売上高推移 (単位：百万円)



対象患者発生率 (JCR調べ)

急性GVHDの発症：造血幹細胞移植患者の約30%

ステロイドによる初期反応なし：急性GVHD発症者の約35%

テムセル®投与対象者

テムセル®を取り巻く状況

- **全国の対象施設9割以上に納品可能**
- 株式会社メディセオの協力のもと、発注から納品までをさらに迅速化 (3日→2日)。診断からの早期投与をより可能とし、より多くの患者さんの生命に貢献。
- 予防・治療環境の変化：現段階での影響は限定的。
 - 2023年7月24日付：
シクロホスファミド水和物「造血幹細胞移植におけるGVHDの抑制」に対し保険適用
 - 2023年8月23日付：
ルキシソリチニブリン酸塩「造血幹細胞移植後のGVHD (ステロイド剤の投与で効果不十分な場合)」の適応追加

① 日本における造血細胞移植件数 (自家移植を除く)
 (一般社団法人日本造血細胞移植データセンター全国調査報告書より)

2019年度：3,753件
 2020年度：3,903件
 2021年度：3,734件

さらなる成長に向けた取り組み

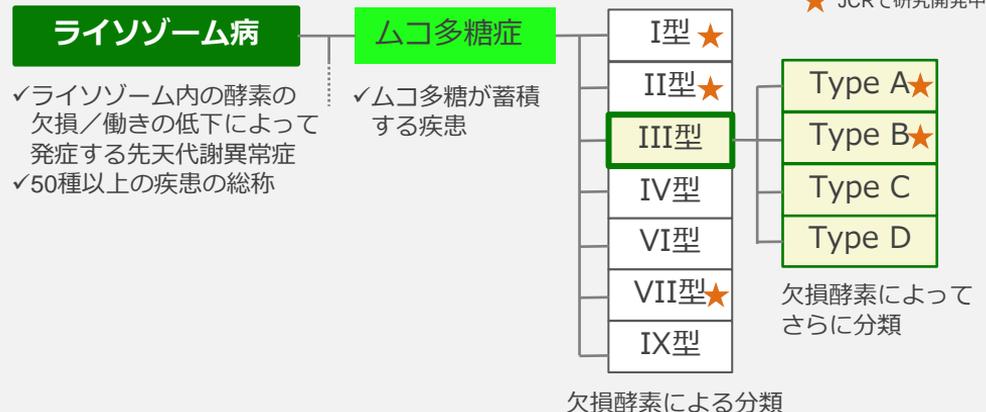
2. 開発

常務取締役 Mathias Schmidt

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）	Global Ph3				• ~2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定
JR-171	ムコ多糖症I型（ハーラー症候群 等）	Global Ph1/2 完了				• 2024年度 Ph3試験
JR-441	ムコ多糖症IIIA型（サンフィリップ症候群A型）	★ Global Ph1/2			★	2024年上半期 LPI
JR-446	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリップ症候群B型）					• 2024年度 Ph1/2試験
JR-479	GM2ガングリオシドーシス（サンドホフ病、テイ・サックス病）					• ~2025年度 Ph1試験
JR-471	フコシドーシス					検討中
JR-162	ポンペ病					検討中
JR-443	ムコ多糖症VII型（スライ症候群）					検討中
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症	国内 Ph2 解析完了				★ Ph3試験開始を2024年度に設定（治験薬製造スケジュールの調整のため）
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症	国内 Ph1/2 解析完了				★ Ph3試験実施について再検討（Ph1/2の結果によるもの）

推定市場規模100億ドルを超えるLSD分野で
JCRは業界をリードする17以上のパイプラインを有している

承認	JR-141 日本 MPS II (ハンター症候群)			
臨床試験	JR-141 グローバル MPS II (ハンター症候群)	JR-171 グローバル MPS I (ハーラー症候群等)	JR-441 グローバル MPS IIIA (サンフィリッポ症候群A型)	
治験届提出前	JR-162 ボンペ病		JR-446 MPS IIIB (サンフィリッポ症候群B型)	JR-479 GM2 ガングリオシドーシス
製法検討	JR-443 MPS VII (スライ症候群)		JR-471 フコシドーシス クラッペ病	JR-194 バッテン病 乳児型 (CLN1)
動物モデルの薬効確認	ニーマンピック病 ゴーシェ病	バッテン病 遅発乳児型 (CLN2) α-マンノシドーシス	GM1ガングリオシドーシス	異染性白質ジストロフィー
基礎研究			ガラクトシアリドーシス	
	標準治療あり		標準治療なし	



MPS III型

- 常染色体劣性遺伝性疾患。
- 酵素の欠損により、臓器・組織に有毒なヘパラン硫酸が蓄積。
- 中枢神経症状の徴候と症状が最も多く、BBB通過型のERT治療が必要。
- A型が最も進行が速く、世界では最も一般的。

MPS III型の治療

- 承認されている標準治療法はない。
 - 中枢神経症状は、BBB通過型の治療法のみで対処が可能。
 - 組み換え酵素の製造が特に難しい。

MPS III A,B型の患者数予測

	日本	世界
MPS IIIA	10人未満	1,000~2,000人
MPS IIIB	約20人	500~1,000人

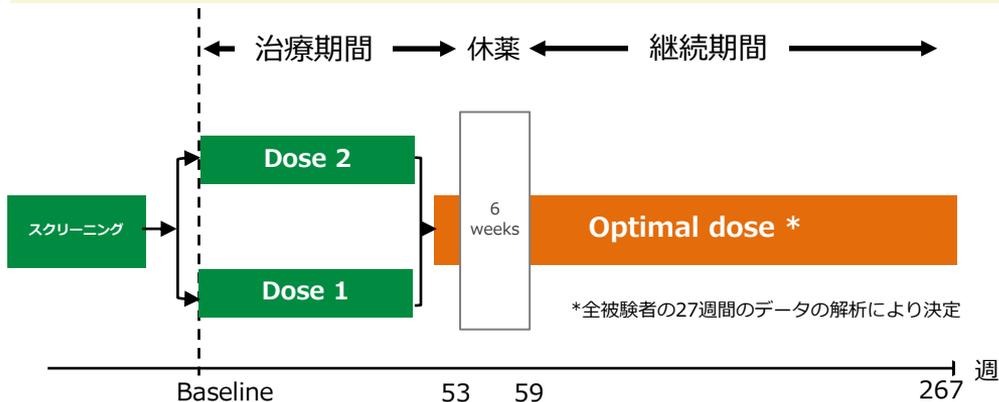
MPS III A,B型の市場 (JCR調べ)

疾患	年間収益予測
MPS IIIA	約600億円
MPS IIIB	約250億円

- 治療法がないため、未診断の潜在患者がいる可能性。
- 新薬が待ち望まれており、開発を行いやすい状況がそろっている。
 - FDAよりMPS III型治療薬の開発効率促進のためのガイダンス発出 (2020年2月)

2023年7月～：グローバル臨床第Ⅲ相試験（JR-441-101試験）を開始

JR-441-101試験 概要



概要

評価項目 安全性、至適投与量、探索的有効性

組み入れ被験者 12例（病態、年齢制限なし）

Clinical Trials.gov Identifier : [NCT06095388](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06095388)

これまでの実績と今後のマイルストーン

- **2022年1月**
欧州委員会よりオーファンドラッグ指定
- **2023年7月**
ドイツ連邦共和国における試験開始承認
- **2023年10月**
第1例目となる被験者への投与開始
- **2024年度上半期**
組み入れ最終被験者への投与開始
- **2025年度下半期**
データ（1年）の解析完了

市場予想（JCR調べ）

- **患者数**
日本：10人未満
世界：1,000～2,000人
- **想定市場**
600億円以上

2023年9月：メディopalホールディングスとJR-446に関する契約を締結



	日本	海外
契約内容	共同開発・商業化契約	事業化についての実施許諾契約
ライセンスホルダー	JCR (メディopalHDと共同開発)	メディopalHD (必要に応じ業務委託可能)
推定患者数	約20人	500~1,000人
市場規模	10-20億円	約250億円

JR-446 ステータス

- 分子デザイン確立済み
- 十分な非臨床データを取得済み
- 2024年度上半期臨床入り

- 日本国内にも治験対象患者が見込まれる
- 診断イニシアチブの少ない本疾患において、疾患啓発・患者発掘が必要

**両社が持つリソース・強みの発揮によって協業の成果を早期に達成することが可能
各国の早期承認・迅速審査の制度・指定を活用し、1日でも早い上市を目指す**

①メディopalHDとのパートナーリング

2022年10月より超希少疾病用医薬品開発のグローバル事業化の協業を開始。JR-471 (フコシドーシス治療薬) を導出。

グローバル臨床第III相試験（JR-141-GS31試験）：STARLIGHT試験 概要

(試験概要)

◆ Cohort A :
(Neuronopathic patients)

N=60

標準治療
(イデウスルファーゼ投与)

JR-141投与 2.0 mg/kg/週 (約3時間投与)

標準治療
(イデウスルファーゼ投与)

53週以降、条件を満たせば
群の移動が可能

標準治療
(イデウスルファーゼ投与)

中間解析の結果で
申請することも検討

最終解析

-12 -1 +1 +53 +105 Week

◆ Cohort B :
(Attenuated patients)

N=20

標準治療
(イデウスルファーゼ投与)

JR-141投与
2.0 mg/kg/週 (約3時間投与)

標準治療
(イデウスルファーゼ投与)

解析

概要

目的

- 既存ERTと比較し、JR-141が中枢神経系の徴候および症状に対して有効であること
- 既存ERTと比較し、JR-141が身体的徴候および症状に対して同等の抑制を示すこと

評価項目

- CSF中HS濃度、中枢神経症状（認知）
- 全身症状（肝脾容積、6分間歩行試験）

Clinical Trials.gov

Identifier : [NCT04573023](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04573023)



- **2024年度第1四半期**
中間解析に必要な症例数の
登録完了見込み

現在の状況

- 患者リクルート継続中
- 実施施設数（2023年10月末時点）
 - 米国：5施設
 - 欧州：10施設
 - ブラジル：2施設
 - 米国・欧州・ラテンアメリカ・アジアに施設拡大予定

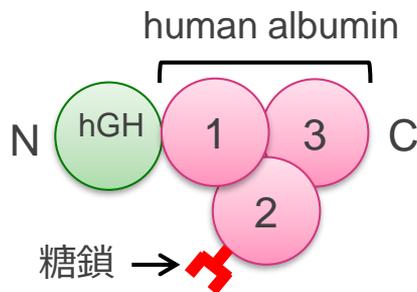
これまでの実績

- 2018年10月：オーファンドラッグ指定（米国）
- 2019年2月：オーファンドラッグ指定（欧州）
- 2021年2月：ファストトラック指定（米国）
- 2021年10月：PRIME指定（欧州）
- 2022年2月：JR-141-GS31 第1例目被験者への投与開始

第II相試験にてJR-142の成長促進効果を確認。2024年度の第III相試験開始予定

JR-142分子

改変型アルブミン融合GH



血中滞留性の向上のため、糖鎖を付加した改変型アルブミンとの融合タンパクを自社開発

臨床第II相試験 概要



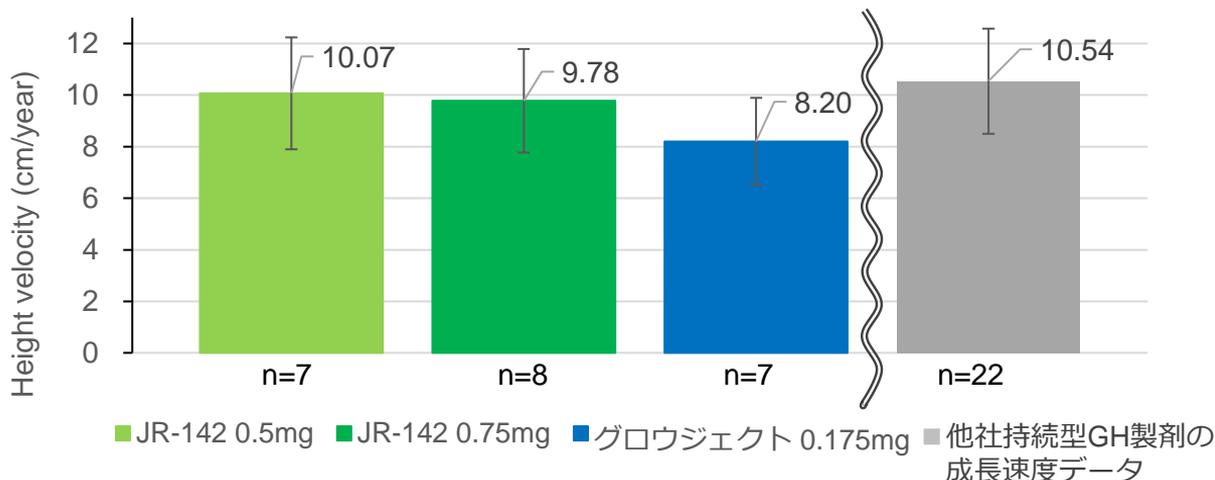
対象	骨端線閉鎖を伴わない小児成長ホルモン分泌不全性低身長症
評価項目	<ul style="list-style-type: none"> PK/PD 成長促進効果の検討 安全性
試験詳細	jRCT(Identifier : jRCT2031200372)

①成長ホルモン

現在国内では1週間に6~7回投与型のdaily製剤 (5社)、1週間に1回投与型の長時間作用型製剤 (2社) が使用されている。

- 成長速度：JR-142と連日投与GH（グロウジェクト®）に群間差なし
- 有害事象：JR-142の2群で傾向に差はなし

Ph2試験結果：GH治療後の成長速度



参考：GH投与後の成長率一覧(社内データ、公表資料等より自社作成)

今後の予定

- 2024年度下半期
Ph3試験の開始
- 2027年度
製造販売承認申請

長時間作用型GH製剤の国内市場

- 持続型GHシェア約18%
(2023年9月単月：JCR調べ)

➤ JR-031HIE:テムセル適応拡大 新生児低酸素性虚血性脳症（HIE）

(詳細：[jRCT1080224818](https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02248181))

- 国内Ph I/II並びに18カ月間の観察試験の結果を踏まえ、今後の開発計画について検討中
 - 低体温療法単独群（7名）とテムセル+低体温療法群（6名）の比較試験
 - 両群とも65%以上の被験者で、投与18カ月後に治療が有効であることを確認した。ただし、群間差は認められなかった。
 - 安全性に関する問題は認められなかった。

➤ 医師主導治験への協力

- 「神経型ゴーシェ病患者を対象としたアンプロキソール塩酸塩（JT408T）を用いたシャペロン療法の有効性及び安全性を評価する第II/III相オープン試験」に対し、治験薬を提供

Reach Beyond, Together

一緒に、その先へ



Appendix

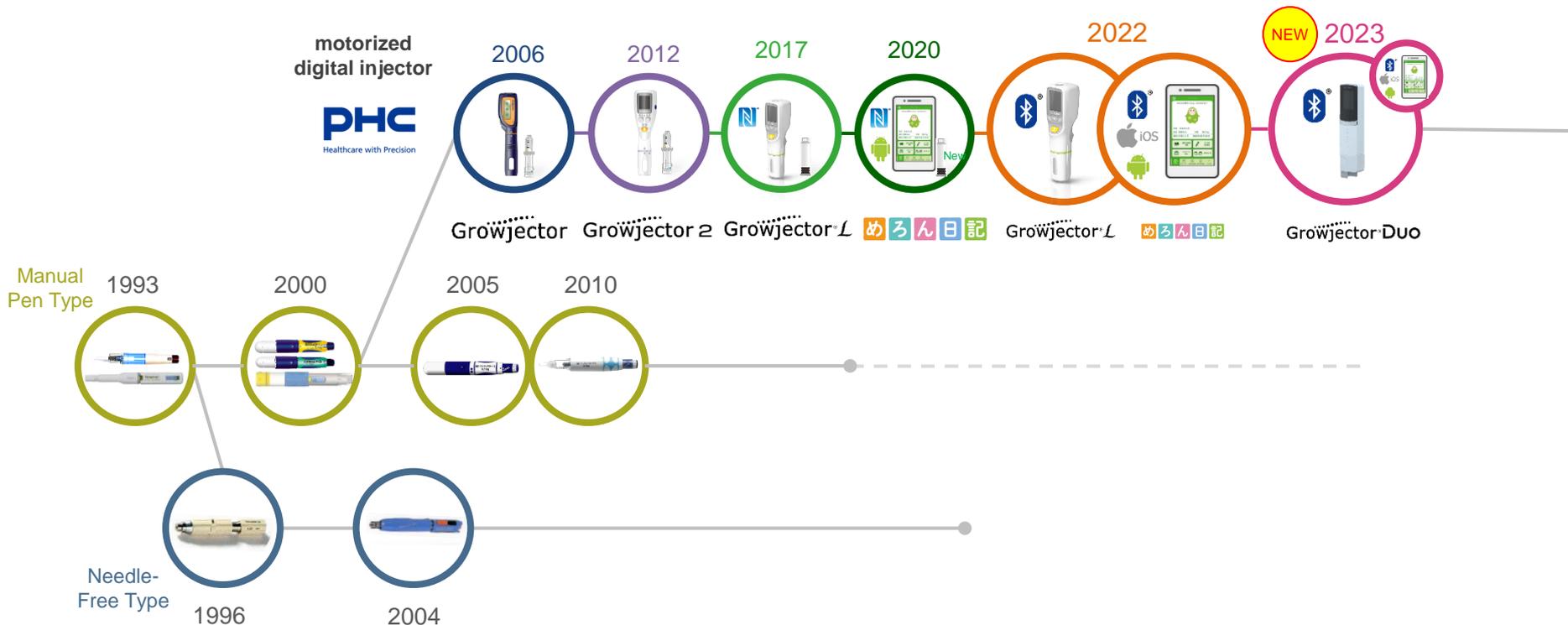
トピックス (2023年5月11日～2023年10月27日)

分類	公表日	概要
R&D	5/11	てんかんに対する新規生物学的治療薬 アンジェリーニファーマと契約を締結
サステナビリティ	5/14	WEB市民公開講座「在宅酵素補充の現状・課題と今後の展望」開催
主力製品	5/23	イズカーゴ® 保険医が投与できる注射薬の対象薬剤への追加
企業情報	6/5	独自の血液脳関門通過技術によるライソゾーム病治療薬 第48回井上春成賞を受賞
主力製品	6/26	グロウジェクト® 骨端線閉鎖を伴わないSHOX異常症における低身長への効能追加
R&D	7/11	JR-441 グローバル臨床第I/II相試験 開始承認 (ドイツ)
企業情報	8/14	神戸原薬工場 令和5年度電気保安功労者 中部近畿産業保安監督部近畿支部長表彰受賞
主力製品	8/29	グロウジェクター® Duo 9月1日より販売開始
サステナビリティ	8/31	リレー・フォー・ライフジャパン 協賛
企業情報	9/7	第2回ひょうご・こうべ女性活躍推進認定企業 (ミモザ企業) 認定
企業情報	9/28	通期連結業績予想の上方修正
R&D	9/28	JR-446 株式会社メディパルホールディングスと契約を締結
主力製品	10/2	めろん日記® アップデート
R&D	10/4	JR-171 52週中間データ開示ミーティング開催
R&D	10/27	JR-441 PhI/II試験 第一例目となる被験者に投与開始



処方キーファクターとなるデバイスを、他社に類を見ないペースで改良。

- 唯一の国産メーカーとして、国内医療従事者／患者のニーズに応えるデバイス開発を継続。
- 国内唯一の電動式注入器を販売。



JR-141 pabinafusp alfa 血液脳関門通過型 遺伝子組換えアイズロン酸-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*1 :	150-200人 (日本)、2,000-3,000人 (WW)
想定市場規模*2 :	80-100億円 (日本)、約900億円 (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) が全身の組織に蓄積し、関節拘縮や骨変形、肝臓・脾臓の肥大、呼吸障害、弁膜症状等、幅広い症状が挙げられるが、特に中枢神経症状の進行抑制が課題となっている。

JR-171 lepunafusp alfa 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)
患者数*1 :	70人 (日本)、3,000-4,000人 (WW)
想定市場規模*2 :	20-30億円 (日本)、約600億円 (WW)
疾患概要 :	ムコ多糖を体内で分解する酵素 (α -L-イズロニダーゼ) 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 (HS) やデルマタン硫酸 (DS) が全身の組織に蓄積し、中枢神経症状、関節病変、低身長、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫など幅広い症状がある。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及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

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 (サンフィリップ症候群A型)
患者数*1 :	10人未満 (日本) 、1,000-2,000人 (WW)
想定市場規模*2 :	10-20億円 (日本) 、約600億円 (WW)
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 :	100-150人 (日本) 、約10,000人 (WW)
想定市場規模*2 :	約30億円 (日本) 、約1,600億円 (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及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

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 :	10人未満 (日本)、100-200人 (WW)
想定市場規模*2 :	約30 億円 (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20人(日本)、500-1,000人 (WW)
想定市場規模*2 :	10-20億円 (日本)、約250億円 (WW)
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及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

JR-479

血液脳関門通過型 遺伝子組換えβ-ヘキソサミニダーゼA

適応症 :	GM2ガングリオシドーシス (テイ・サックス病、サンドホフ病)
患者数*1 :	約20人 (日本)、1,000-2,000人 (WW)
想定市場規模*2 :	20-30億円 (日本)、約550億円 (WW)
疾患概要 :	ライソゾーム病の一種で、糖脂質であるGM2ガングリオシドを体内で分解する酵素 (β - ヘキソサミニダーゼA) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。脳を中心に原因基質が蓄積するため、進行性の中樞神経症状を呈する。テイ・サックス病とサンドホフ病は臨床症状で区別することは困難。

JR-471

血液脳関門通過型 遺伝子組換えα-L-フコシダーゼ

適応症 :	フコシドーシス
患者数*1 :	10人未満 (日本)、100-200人 (WW)
想定市場規模*2 :	<10億円 (日本)、約150億円 (WW)
疾患概要 :	ライソゾーム病の一種で、遺伝子変異により糖たんぱく質の代謝酵素 (α-L-フコシダーゼ) の活性が低下し、フコースを含む糖鎖や糖たんぱく質が全身に蓄積する常染色体劣性遺伝性疾患。進行性の精神運動発達遅滞や筋緊張低下、内臓肥大、骨格異常など様々な症状を呈する。急速な進行を示し、小児期に生命を脅かす重篤な合併症を引き起こすタイプと、思春期に発症し進行は緩徐であるものの、成人期に重篤な合併症を引き起こす軽症型に分類される。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

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）

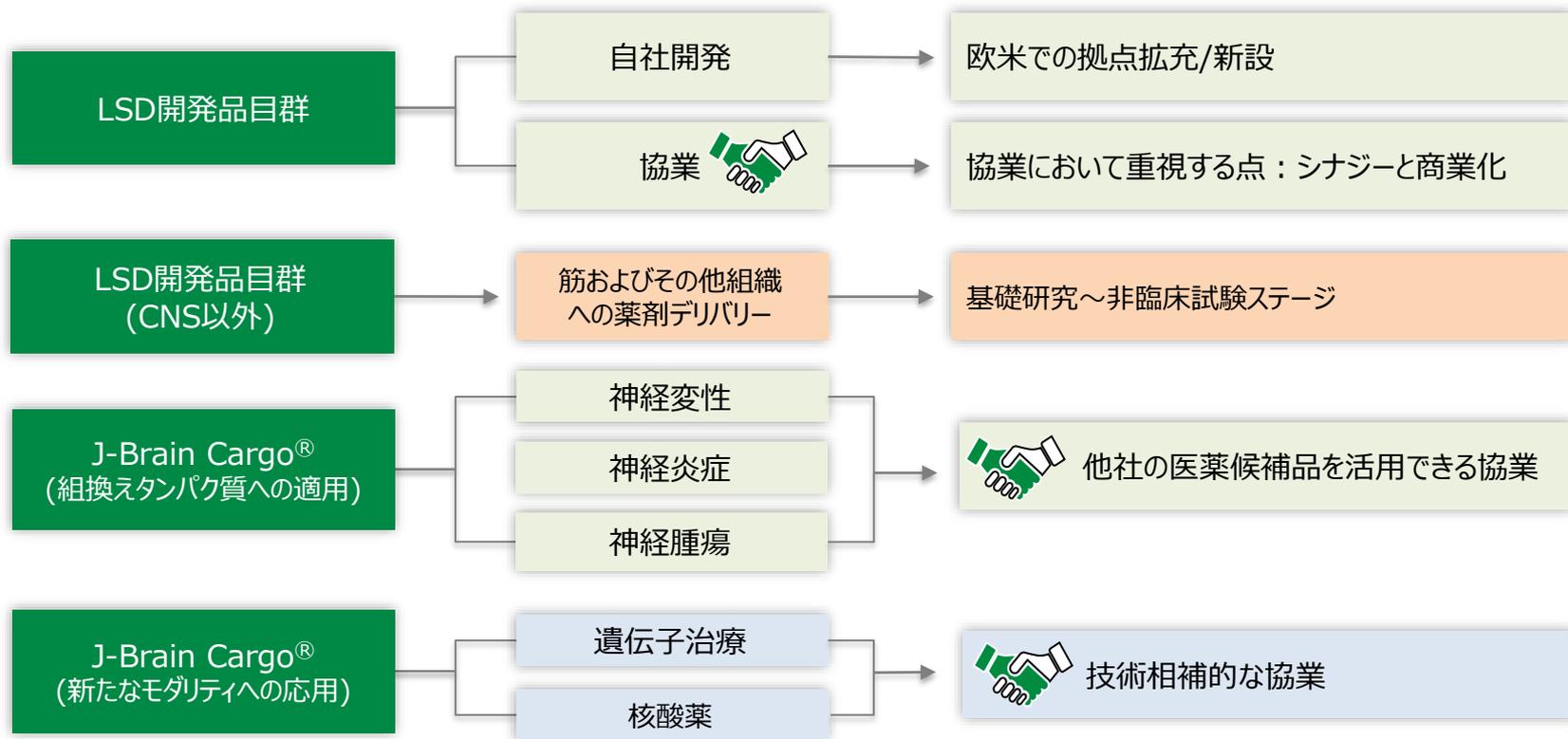
JR-031HIE

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）

*JCR調べ

他社との協業により、当社の成長と新たな機会が生まれる



AE	Adverse Events	有害事象
ANVISA	Brazilian Health Surveillance Agency	ブラジル国家衛生監督庁
BBB	Blood-Brain Barrier	血液脳関門
CDMO	Contract Development and Manufacturing Organization	医薬品開発製造受託機関
CNS	Central Nervous System	中枢神経系
CSF	Cerebrospinal fluid	脳脊髄液
DP	Darbepoetin Alfa BS Inj. [JCR]	ダルベポエチン アルファBS注「JCR」
DQ	Development Quoitent	発達指数
DS	Dermatan Sulfate	デルマトタン硫酸
EC	European Commission	欧州委員会
EMA	European Medicines Agency	欧州医薬品庁
EPO	Epoetin Alfa BS Inj. [JCR]	エポエチンアルファBS注「JCR」
ERT	Enzyme Replacement Therapy	酵素補充療法
FDA	Food and Drug Administraion	米国食品医薬品局
GH	Growth Hormone	成長ホルモン
GHD	Growth Hormone Deficiency	成長ホルモン分泌不全性低身長症
GVHD	Graft versus Host Disease	移植片対宿主病

HIE	Hypoxic ischemic encephalopathy in neonates	低酸素性虚血性脳症
HS	Heparan Sulfate	ヘパラン硫酸
HSCT	Hematopoietic Stem Cell Transplantation	造血幹細胞移植
i.v.	Intravenous Injection	静脈注射
IAR	Infusion-associated reactions	投与時反応
JBC	J-Brain Cargo® Technology	J-Brain Cargo®技術
KOL	Key Opinion Leader	影響力を持つ専門家
LSD	Lysosomal Storage Disease	ライソゾーム病
M6PR	Mannose-6-phosphate receptor	マンノース6リン酸受容体
MPS	Mucopolysaccharidosis	ムコ多糖症
MSC	Mesenchymal Stem Cell	間葉系幹細胞
PD	Pharmacodynamics	薬力学
Ph I	Phase I	臨床第I相試験
Ph II	Phase II	臨床第II相試験
Ph III	Phase III	臨床第III相試験
PK	Pharmacokinetics	薬物動態
PMDA	Pharmaceuticals and Medical Devices Agency	独立行政法人医薬品医療機器総合機構
R&D	Research and Development	研究開発
RD	Rare Disease	希少疾病
TfR	Transferrin Receptor	トランスフェリンレセプター