

JCRファーマ株式会社・株式会社メディカルホールディングス

共同発表会



業務資本提携契約締結の経緯



2011年7月 開発プロジェクトに関する提携

2011年9月 開発投資契約

2016年2月 日本初 他家由来再生医療等製品「テムセル®HS注」発売



ヒト体性加工幹細胞加工製品
ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞

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
(GVHD : Graft-versus-Host Disease)

✓ 世界初 間葉系幹細胞を用いた
移植片対宿主病治療製品

業務資本提携契約締結の経緯



2011年7月

開発プロジェクトに関する提携

2011年9月

開発投資契約

2016年2月

日本初 他家由来再生医療等製品「テムセル®HS注」発売

超低温輸送システムを共同開発



超低温保管・輸送カートSDDU

- ✓ 液体窒素を用いて
マイナス150℃以下で保管・管理
- ✓ トレーサビリティ、温度、
液量の情報を共有

業務資本提携契約締結の経緯



2011年7月

開発プロジェクトに関する提携

2011年9月

開発投資契約

2016年2月

日本初 他家由来再生医療等製品「テムセル®HS注」発売

**安定した品質の製品を
全国の医療機関へ供給**



業務資本提携契約締結の経緯



2011年7月 開発プロジェクトに関する提携

2011年9月 開発投資契約

2016年2月 日本初 他家由来再生医療等製品「テムセル®HS注」発売

2016年7月 開発投資契約

2017年9月 業務資本提携契約締結

- JCRの筆頭株主がGLAXO GROUP LIMITEDから株式会社メディカルホールディングスへ変更
- 両社で米国に合併会社を設立予定



- ✓ 「JR-141」
血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤
- ✓ 「JR-162」
J-Brain Cargo®適用ポンペ病治療酵素製剤

JCRの独自技術

血液脳関門通過技術

J-Brain Cargo[®]

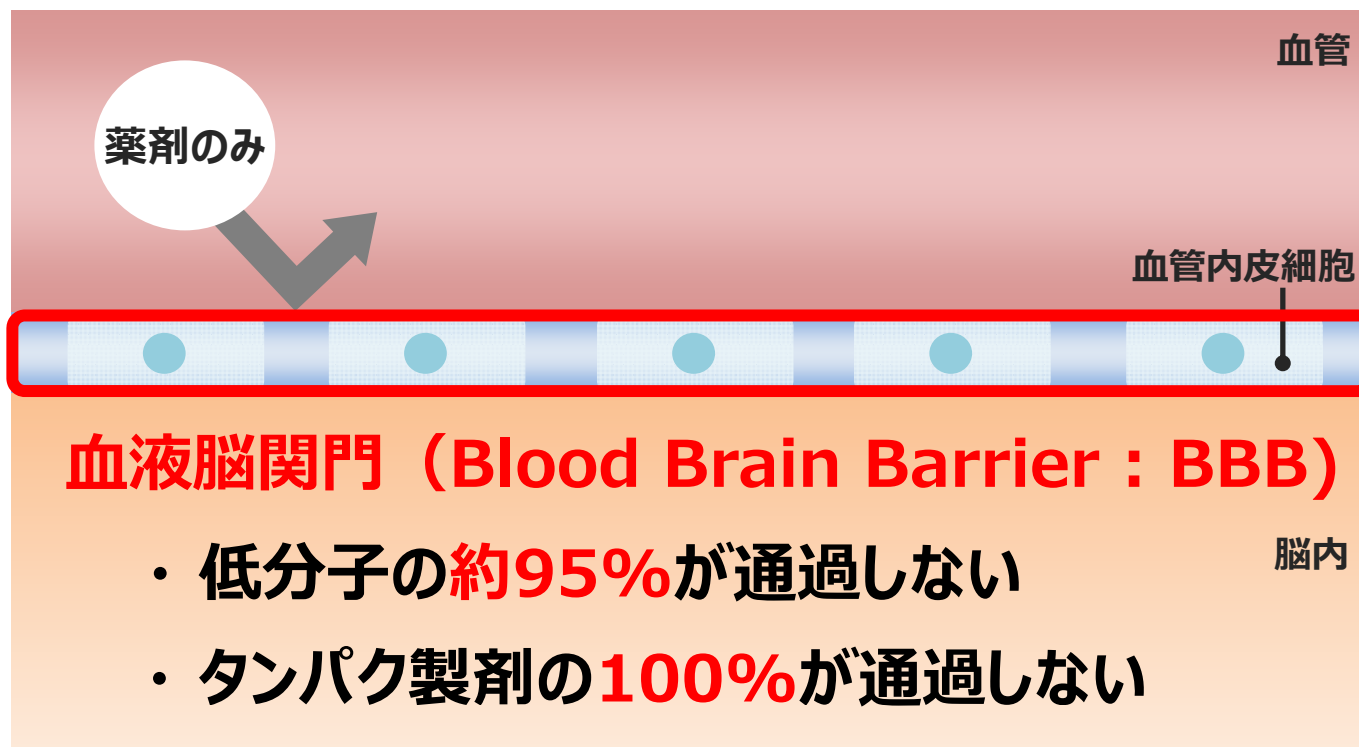


JCRの独自技術

特許出願済
(2016年12月特許公開)

血液脳関門通過技術

J-Brain Cargo[®]

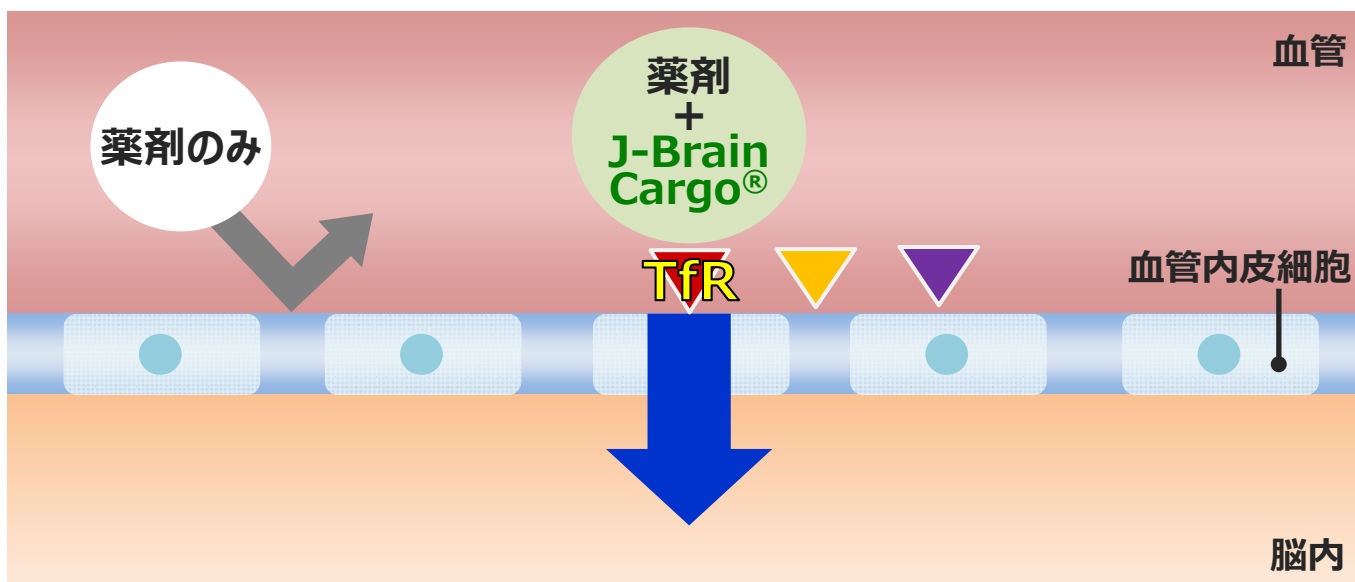


JCRの独自技術

特許出願済
(2016年12月特許公開)

血液脳関門通過技術

J-Brain Cargo[®]



抗体ベースの
組織ターゲティング技術

低分子から酵素、抗体
といった高分子まで
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

J-Brain Cargo[®]を利用したライソゾーム病*治療酵素製剤

JR-141

血液脳関門通過型
ハンター症候群治療酵素製剤

2017年3月から日本で
第I/II相試験実施中

JR-162

J-Brain Cargo[®]適用
ポンペ病治療酵素製剤

2018年度中に
臨床試験開始予定

*ライソゾーム病

ライソゾームは、細胞の中の“ごみ処理工場”のような役割をしている細胞内小器官で、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。分解される物質の種類に応じて様々な酵素がライソゾーム内に存在する。それらの酵素の一つが生まれつき欠損しているか、その働きが低下していることによって、その酵素によって分解されるべき物質が老廃物として体内に蓄積し、さまざまな症状を引き起こす疾患である。欠けている酵素の種類により蓄積する物質も症状も異なり、現在までに数十種類のライソゾーム病が知られている。

J-Brain Cargo[®]を利用したライソゾーム病治療酵素製剤

JR-141 血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤

➤ **ハンター症候群（ムコ多糖症II型）** **厚生労働省指定難病**

■ 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BBBを通過せず
中枢神経症状に効果がない

JR-141で、全身症状と中枢神経症状の両面の改善を目指す

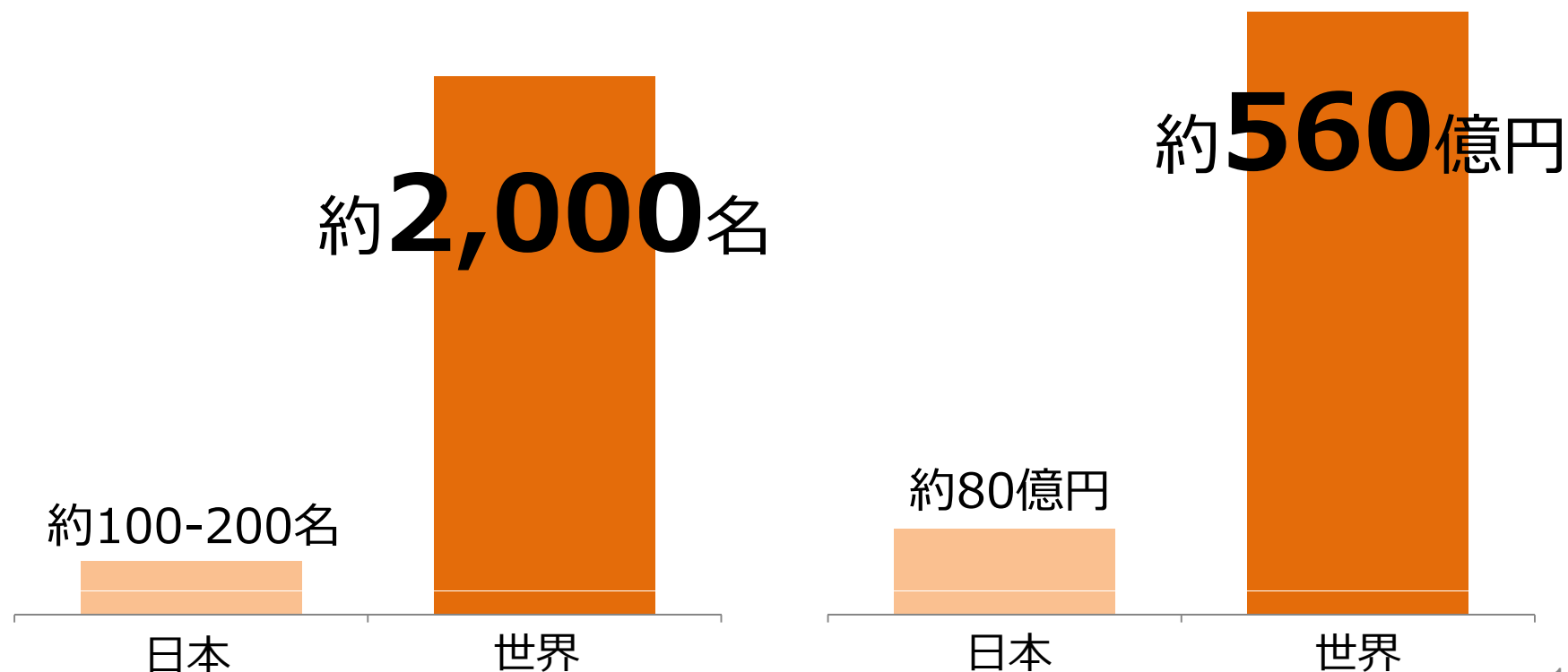
J-Brain Cargo[®]を利用したライソゾーム病治療酵素製剤

JR-141 血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤

➤ ハンター症候群（ムコ多糖症II型） 厚生労働省指定難病

■ 患者数

■ 市場規模



*当社調べ

J-Brain Cargo[®]を利用したライソゾーム病治療酵素製剤

JR-141

血液脳関門通過型
ハンター症候群治療酵素製剤

2017年3月から日本で
第I/II相試験実施中

JR-162

J-Brain Cargo[®]適用
ポンペ病治療酵素製剤

2018年度中に
臨床試験開始予定

J-Brain Cargo[®]を利用したライソゾーム病治療酵素製剤

JR-162 J-Brain Cargo[®]適用ポンペ病治療酵素製剤

➤ ポンペ病（酸性α-グルコシダーゼ欠損症）

厚生労働省指定難病

■ 症状：主に筋組織が侵され、呼吸、運動および心臓の機能障害が起こる

- 乳児型：心機能障害、筋力の低下、呼吸困難、呼吸器感染症
誤嚥性肺炎、成長の遅れ
- 小児型・成人型：心機能障害、頭痛、筋力の低下・腰痛
呼吸困難、呼吸器感染症、誤嚥性肺炎
発達の遅れ、栄養不足



**JR-162で、骨格筋への原因物質の蓄積に対して
効率的な改善を目指す**

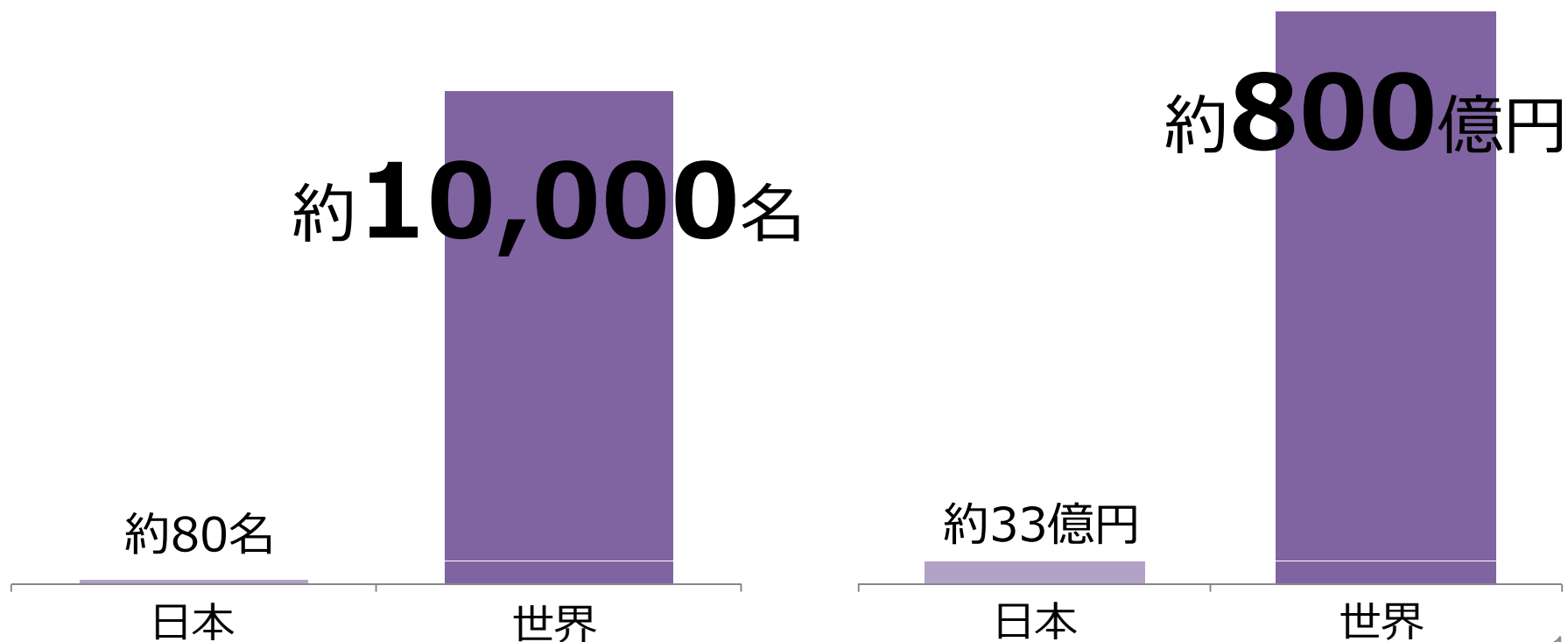
J-Brain Cargo[®]を利用したライソゾーム病治療酵素製剤

JR-162 J-Brain Cargo[®]適用ポンペ病治療酵素製剤

➤ ポンペ病（酸性α-グルコシダーゼ欠損症）

■ 患者数

■ 市場規模



*当社調べ

J-Brain Cargo[®]を利用したライソゾーム病治療酵素製剤

血液脳関門通過技術

J-Brain Cargo[®]

JR-141

血液脳関門通過型
ハンター症候群治療酵素製剤

JR-162

J-Brain Cargo[®]適用
ポンペ病治療酵素製剤

サンフィリップ
症候群
A/B

バッテン病
・ 遅発乳児型
・ 乳児型

ハーラー
症候群

ゴーシェ病

異染性白質
ジストロフィー

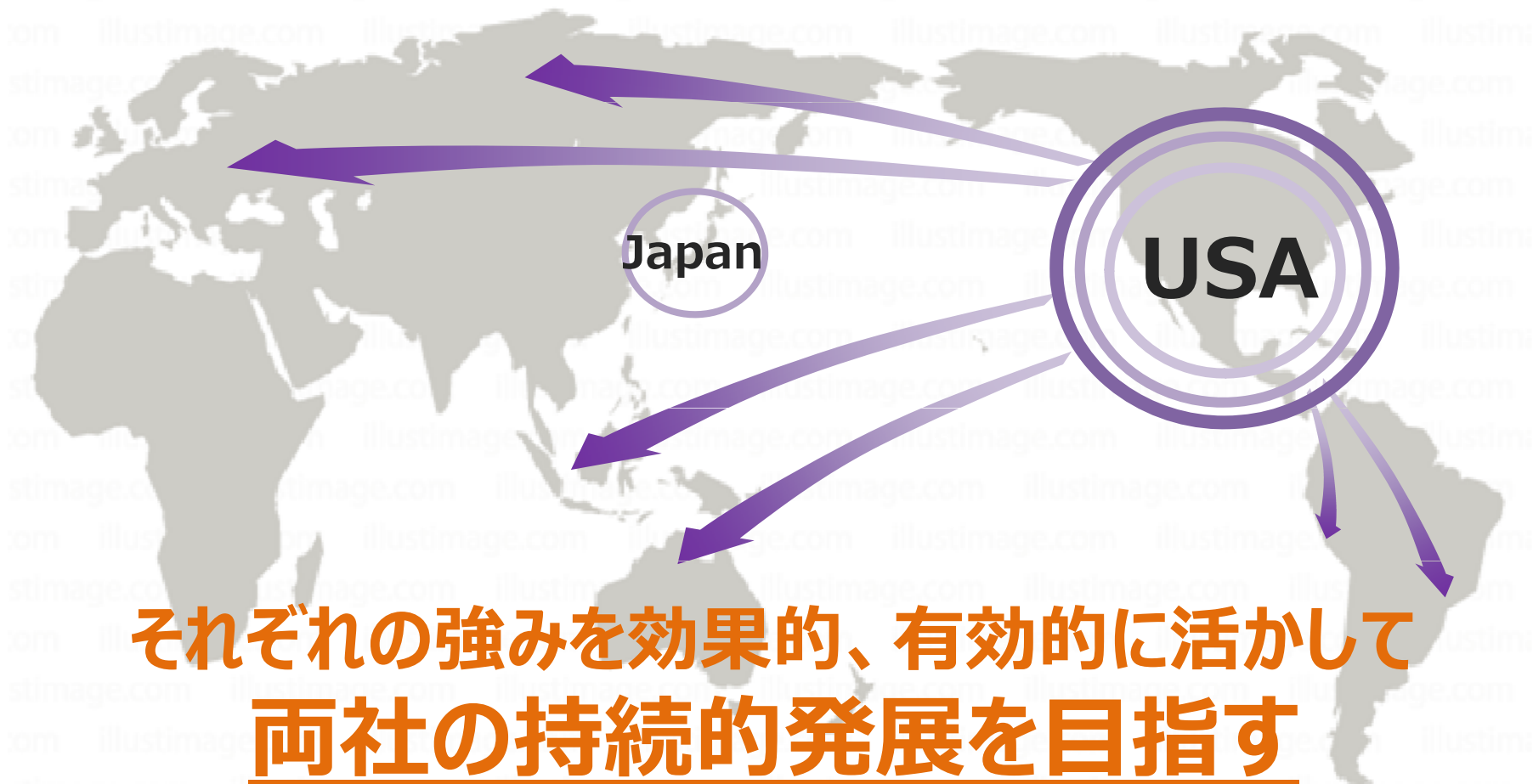
他のライソゾーム病治療酵素製剤も積極的に開発

今後の展開

物流力・販売力



創薬力



それぞれの強みを効果的、有効的に活かして
両社の持続的発展を目指す

※現在、米国に拠点はございません

JCRファーマ株式会社・株式会社メディカルホールディングス
共同発表会

