

開発番号 一般名 (製品名)	対象疾患	開発段階	作用機序等	備考
<b>JR-141</b> パピナフスプ アルファ	<b>LSD</b> ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)	<b>日本:</b> 製造販売承認申請 <b>ブラジル:</b> 臨床第2相試験	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	酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
<b>JR-171</b>	<b>LSD</b> ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群 等)	<b>グローバル:</b> 臨床第1/2相試験	血液脳関門通過型遺伝子組換え α-L-イズロニダーゼ	酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
<b>JR-162</b>	<b>LSD</b> ポンペ病	前臨床	J-Brain Cargo®適用遺伝子組換え 酸性α-グルコシダーゼ	酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
<b>JR-441</b>	<b>LSD</b> ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリップ症候群A型)	前臨床	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	酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
<b>JR-443</b>	<b>LSD</b> ムコ多糖症VII型 (スライ症候群)	前臨床	血液脳関門通過型遺伝子組換え β-グルクロニダーゼ	酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
<b>JR-446</b>	<b>LSD</b> ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリップ症候群B型)	前臨床	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	酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
<b>JR-401X</b> ソマトロピン (グロウジェクト®)	SHOX異常症における低身長症	臨床第3相試験	遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン	適応拡大
<b>JR-142</b>	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症	臨床第1相試験	遺伝子組換え持続型成長ホルモン	J-MIG System® 採用
<b>JR-041</b>	不妊治療	臨床第1/2相試験	遺伝子組換え卵胞刺激ホルモン	あすか製薬(株)に導出
<b>JR-031EB</b> ヒト (同種) 骨髄由来 間葉系幹細胞 (テムセル®HS注)	表皮水疱症	2019年9月申請取り下げ (今後の開発方針検討中)	ヒト体性幹細胞加工製品	適応拡大 再生医療等製品
<b>JR-031HIE</b> ヒト (同種) 骨髄由来 間葉系幹細胞 (テムセル®HS注)	新生児低酸素性虚血性脳症	臨床第1/2相試験	ヒト体性幹細胞加工製品	適応拡大 再生医療等製品
<b>JTR-161/JR-161</b>	急性期脳梗塞	臨床第1/2相試験	ヒト歯髄由来幹細胞	帝人(株)と共同開発 再生医療等製品

LSD:ライソゾーム病