

2015-19年度 中期経営計画

2015年6月29日

JCRファーマ株式会社

代表取締役会長兼社長

芦田 信

飛躍

2015-19 Medium-Term Management Plan

1. 企業理念・当社が目指す姿
2. 2015-19年度中期経営計画 キーコンセプト
3. 2015-19年度中期経営計画 数値目標・重点項目
4. 当社の技術と新しい事業展開
5. Appendix — 用語説明


1. 企業理念・当社が目指す姿

医薬品を通して 人々の健康に貢献する

JCRファーマは、この企業理念のもとで、時代を先取りした再生医療、遺伝子組換え技術による医薬品の研究開発・製造・販売を行う企業として、人々の健康と医療の未来に貢献することを目指します。



独自のバイオ技術、細胞治療・再生医療技術により グローバルで存在感のある研究開発型企业へ



高度なバイオ技術による先天代謝異常症をはじめとした希少疾病・難病への取り組みや、更なる再生医療等製品の開発・創出は、当社の重要なミッションです。

創業当初からの自由な社風のもと、チャレンジ精神を持ち続けてきたことで、今日の当社があります。社員ひとりひとりが「早よせい！」スピリッツを発揮し、他社より「一歩前にでる」ことに挑戦し続けます。

2. 2015-19年度 中期経営計画 キーコンセプト

飛躍

新たなステージへ向けて飛躍の時

我々が創業以来蓄積してきた様々な技術・経験が
今、大きな実を結ぼうとしています。

JCRファーマは、新たなステージに飛躍します。

当社の強み(飛躍の原動力)

飛躍

■ 一歩先をゆく、**独自のバイオ技術**

■ 挑戦の成果、**細胞治療・再生医療技術**

■ 研究から製品まで一貫した、**開発体制**

■ グローバル対応可能な、**生産体制**

■ 重点領域に特化した、**営業体制**

■ 迅速な意思決定を可能とする、**経営体制**

■ 自ら考え、自ら行動する、**多才な人財**

2015-19年度中期経営計画

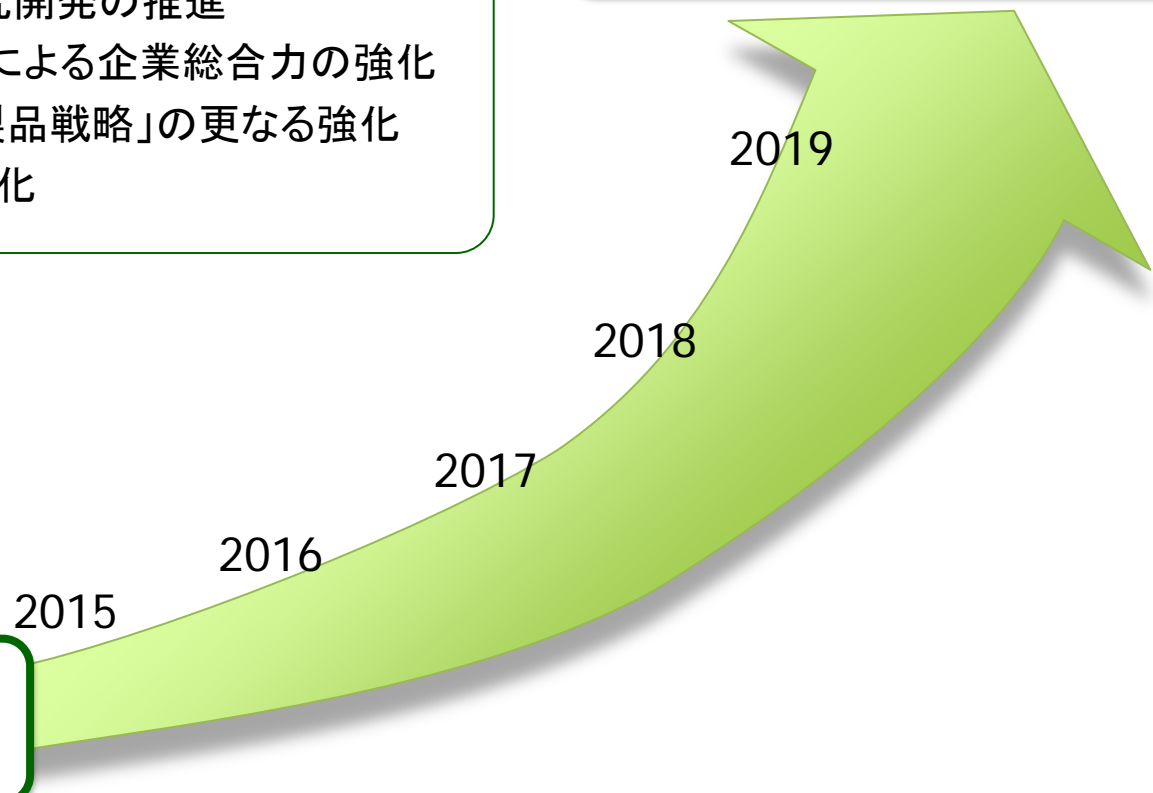
目標達成のための重点項目

1. 一歩先をゆく研究開発の推進
2. 新しい事業展開による企業総合力の強化
3. 「営業体制」と「製品戦略」の更なる強化
4. 「経営基盤」の強化

グローバルで存在感のある
研究開発型企业

独自のバイオ技術
細胞治療・再生医療技術

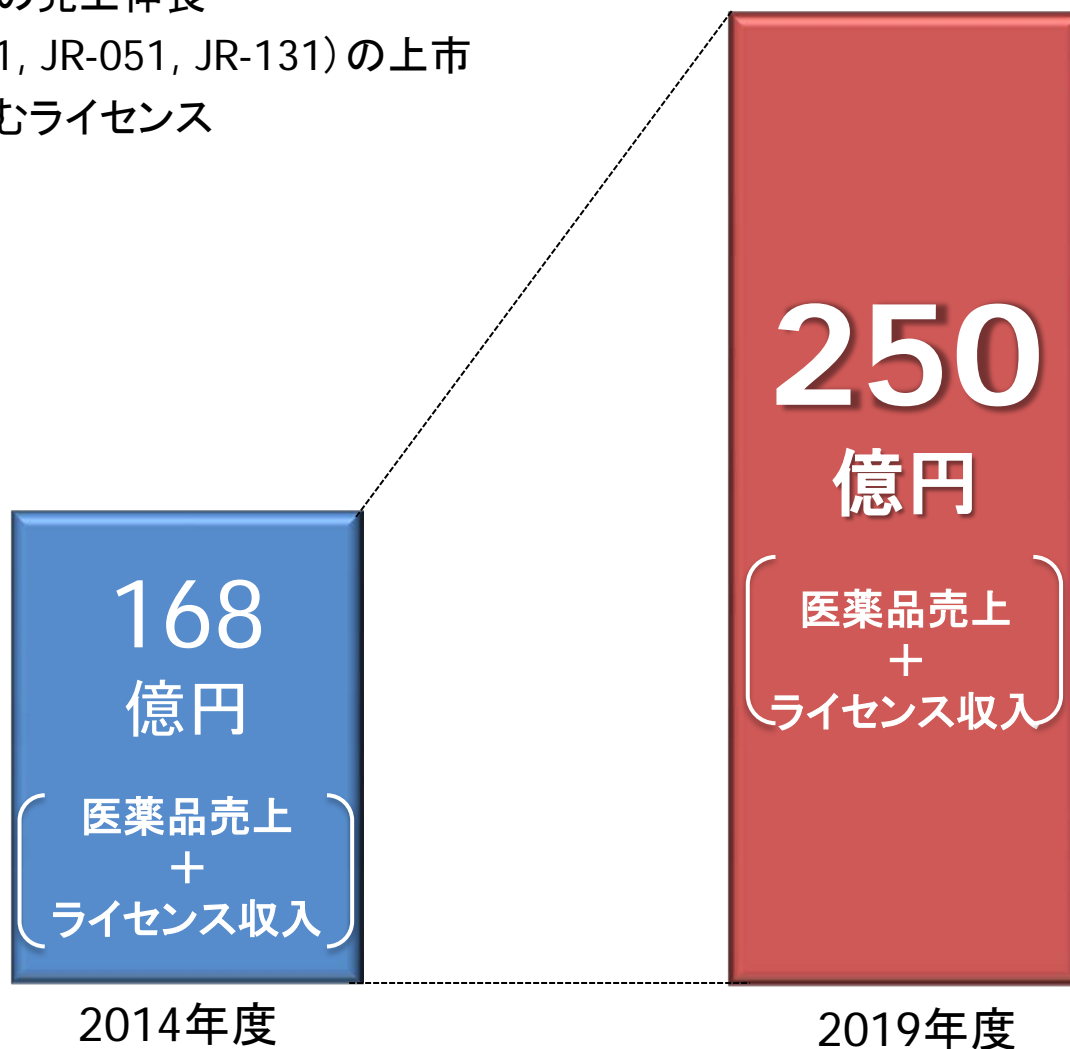
優れた技術を有する
研究開発型企业



3. 2015-19年度 中期経営計画 数値目標・重点項目

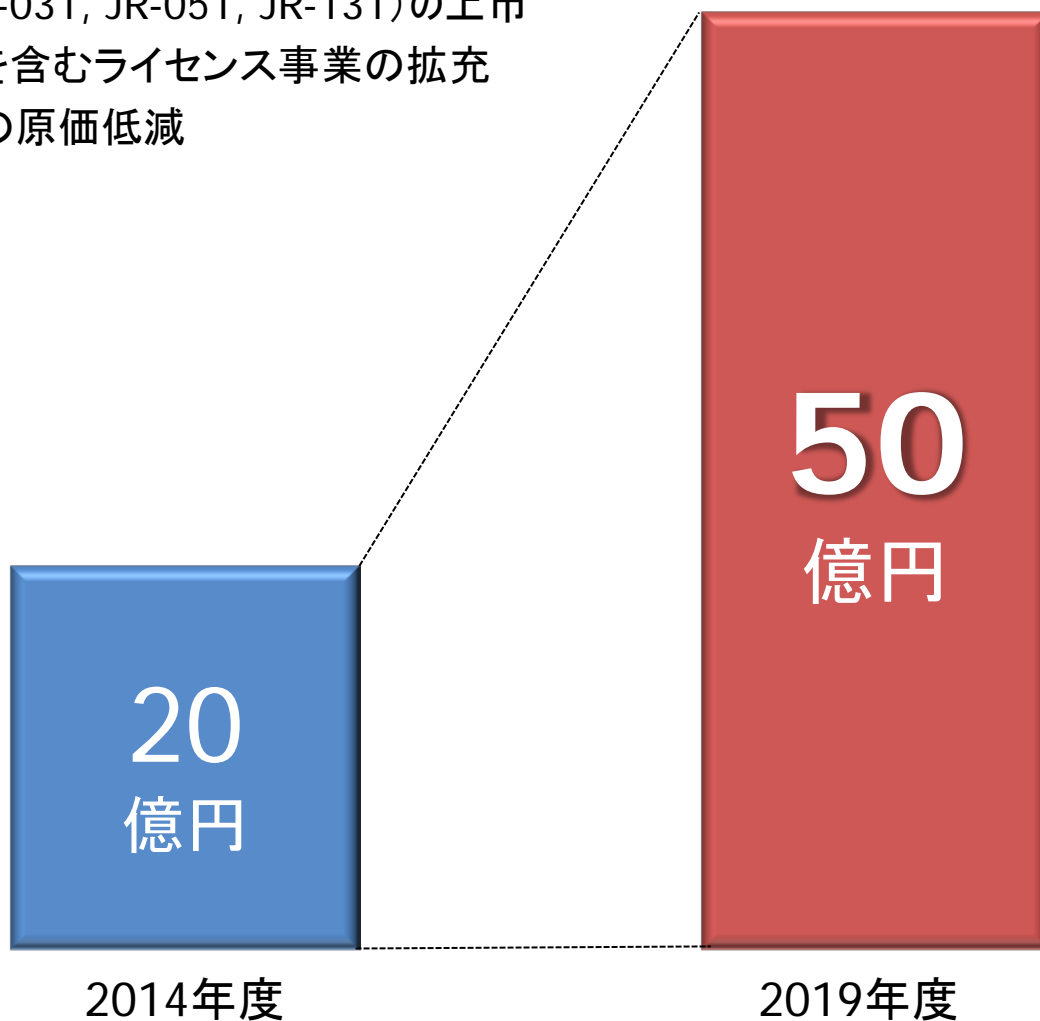
主な伸長要因

- ◎既存主力製品の売上伸長
- ◎新製品 (JR-031, JR-051, JR-131) の上市
- ◎技術導出を含むライセンス事業の拡充



主な伸長要因

- ◎新製品 (JR-031, JR-051, JR-131) の上市
- ◎技術導出を含むライセンス事業の拡充
- ◎既存製品の原価低減



売上高
営業利益率
目標

20%以上

売上高研究開発費率 方針

売上高研究開発費率 **20%**

当社の更なる成長・飛躍には他社に先駆けた技術開発が不可欠となります。
 そのためにもこれまで通り、必要な研究開発費を確保し、
 独自の技術開発に積極的に挑戦していきます。

売上高研究開発費率の推移	2010年度	2011年度	2012年度	2013年度	2014年度
	14.0%	14.3%	14.1%	14.0%	19.8%

(参考)

共同開発先負担額控除前の売上高研究開発費率	2010年度	2011年度	2012年度	2013年度	2014年度
	14.2%	17.9%	20.3%	17.7%	21.5%

配当性向 方針

配当性向

40%

継続的かつ安定的な配当を基本方針として株主還元を努めて、
一人でも多くのJCRファン拡大に取り組みます。

また、着実に自己資本を積み上げることで
新薬開発や経営体質強化のための内部留保を確保します。

配当性向 の推移	2010年度	2011年度	2012年度	2013年度	2014年度
	41.5%	60.8%	52.1%	41.7%	35.0%

目標達成のための重点項目

1. 一步先をゆく研究開発の推進

- 技術の蓄積・柔軟な発想に基づいた、他社より「一步前にでる」研究開発の推進
- 独自のバイオ技術による日本発・世界初の「新薬」創出への挑戦
- 細胞治療・再生医療領域における更なる展開
- 遺伝子治療やiPS細胞など、新たな技術への取り組み

2. 新しい事業展開による企業総合力の強化

- 事業開発・ライセンス機能の強化
- JCR独自技術の国内外企業への導出促進
- グローバル基準の生産・品質保証体制による製品創出
- アライアンスの強化によるJCR製品のグローバル展開

3. 「営業体制」と「製品戦略」の更なる強化

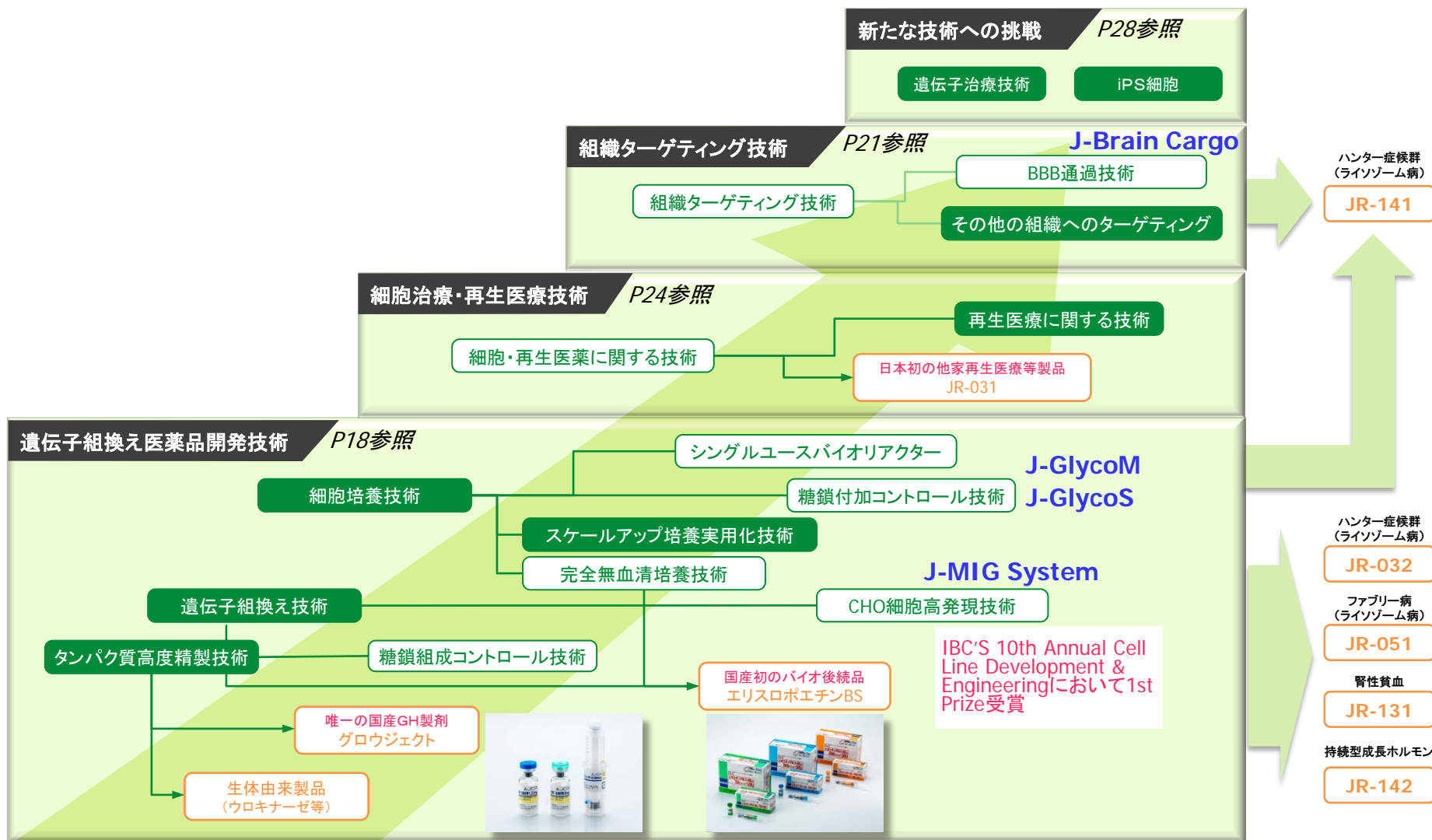
- 主力製品「グロウジェクト」・「エポエチンアルファBS注「JCR」」の販売促進強化
- 製品ポートフォリオの拡充に対応した「基幹病院」へのウイング拡大
- 当社重点領域への複数のバイオ医薬品投入
- 細胞治療・再生医療領域におけるプレゼンス確立

4. 「経営基盤」の強化

- 持続的成長を支える人材育成の強化
- 複数のアライアンス・パートナーとの資本関係を通じた財務体質強化
- 株主還元の充実と自己資本の着実な積上げ
- いかなる金融環境の変化にも柔軟に対応できるグローバルな財務戦略
- コーポレートガバナンスの強化

4. 当社の技術と新しい事業展開

飛躍のステージへと導く「技術力の蓄積」



遺伝子組換え医薬品開発技術

長年培ってきた
遺伝子組換え技術

バイオ医薬品開発の
経験から得た技術

当社の開発パイプラインに活用
JR-051, JR-131, JR-141
JR-142...

特許出願済

J-MIG System

CHO細胞
高発現技術

特許出願済

J-GlycoM

特許出願済

J-GlycoS

糖鎖
コントロール技術

完全無血清培養技術

シングルユース
バイオリアクター

技術プラットフォーム

生産プラットフォーム

高収率 ⇒ コストダウン
高品質 ⇒ 安全性の向上・他社製品との差別化
高効率 ⇒ ひとつの工場で多品目の製造に対応

CHO細胞高発現技術 J-MIG System

2014年9月8日

米国で開催されたIBC's 10th Annual Cell Line Development & Engineeringにおいて、1st-prizeを獲得

CHO細胞に導入した目的遺伝子を選択的に強く増幅させ、遺伝子組換えタンパク質を効率よく発現させることに成功

modified-IRES-GS系

薬剤耐性遺伝子と共に、目的遺伝子とGS遺伝子を改変型内部リボソーム進入部位(modified-IRES)で連結させた新規発現ベクターシステム

- ・高い薬剤選択圧
- ・外部導入したGS遺伝子を優位に遺伝子増幅させることが可能



高い生産性を有する細胞株

完全無血清培養技術・シングルユースバイオリアクターとの組み合わせでコンパクトかつ高生産性の細胞培養システムの構築が可能となった

糖鎖コントロール技術 J-GlycoM, J-GlycoS

生物活性を有するほとんどのタンパク質は、構成するアミノ酸の一部に糖の鎖、「糖鎖」が結合したもの(糖タンパク質)であり、糖鎖は生体の各種機能において重要な役割を果たす。

JCRでは、目的の糖鎖構造を得るための技術として下記を有しており、遺伝子組換え医薬品の製造に活用している。

J-GlycoM:

昆虫由来の糖鎖トリミング酵素の遺伝子をCHO細胞に導入することで、全ての糖鎖が高マンノース型となった糖タンパク質を発現させる技術

J-GlycoS:

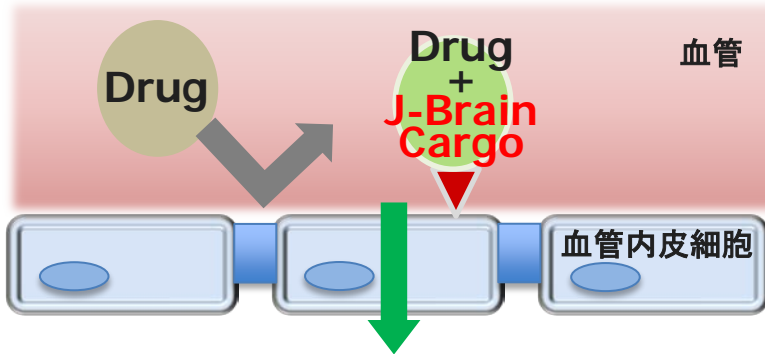
培地成分として、ヘキソサミン生合成およびシアル酸付加に関わる複数の生体内物質を添加することにより、高度にシアル酸修飾された糖タンパク質を発現させる技術

BBB通過技術 J-Brain Cargo

特許出願済

J-Brain Cargo

JCR独自の
BBB通過技術



JR-141

BBB通過型遺伝子組換えIDS*
(ハンター症候群治療薬)

2016年度
臨床入り
予定

- マウス:
脳内への移行確認
疾患モデルでの有効性確認
- サル:
脳内への移行確認

*IDS: イズロネート-2-スルファターゼ

ハンター症候群以外の中枢神経症
状を有するライソゾーム病に応用

Farber, Gaucher, GM gangliosidosis, Krabbe,
MLD, MPS IH, MPS III, α -mannosidosis,
 β -mannosidosis, NCL(Batten)等

技術ライセンスビジネス



2015年6月17日
大日本住友製薬株式会社と
F/S契約**締結
現在、複数の企業と交渉中

**F/S契約: フィージビリティスタディ契約

独自技術を活用した製品展開

グロウジェクト事業

JR-142

グロウジェクト

剤型追加: 液状製剤
2017年発売予定

持続型
成長ホルモン
製剤

2017年度臨床入り予定

J-MIG System

CHO細胞高発現技術

J-GlycoM

J-GlycoS

糖鎖コントロール技術

ESA*事業

JR-131

エポエチン
アルファ
BS注

ダルベポエチン
バイオ後続品

2018年度申請予定

希少疾病領域

JR-051

α GAL-A
バイオ後続品
(ファブリー病)

2017年度申請予定

J-Brain Cargo

JR-141

BBB通過型
新薬に
展開

2016年度臨床入り予定

*ESA (Erythropoiesis-stimulating agent): 赤血球造血刺激因子製剤。

製品展開に対応した製造拠点の拡大

グローバル展開を見据えた製造拠点の機能分化を進める。

治験薬製造センター(仮称)

2015年度第2四半期
着工予定

J-Brain Cargoを活用したJR-141の開発を最速化する。

更に、将来にむけ、新たな原薬製造拠点の追加も視野に入れる。

室谷工場



神戸原薬工場



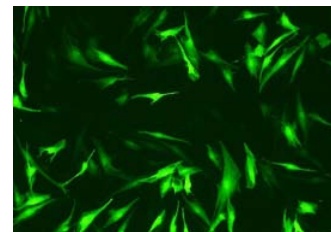
新たな
原薬製造拠点

JR-031 (間葉系幹細胞)

日本初の他家細胞による再生医療等製品

2014年9月26日 製造販売承認申請

2015年 製造販売承認取得(予定)



国内最大規模の 再生医療等製品 製造施設

- ・2014年7月 竣工
- ・最新の設備・インキュベータを導入



超低温下での流通配送システム



研究開発力



(株)メディパルホールディングス

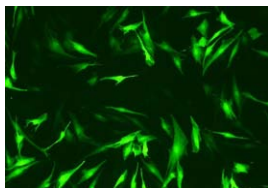
流通力

- 超低温(-130℃以下)での保存・配送
- 対象疾患発症時の迅速配送
- メディパルグループの卸配送主拠点に専用配送システムを開発

遺伝子組換え医薬品に加え、
細胞治療・再生医療を新たな研究開発の軸と位置付ける。

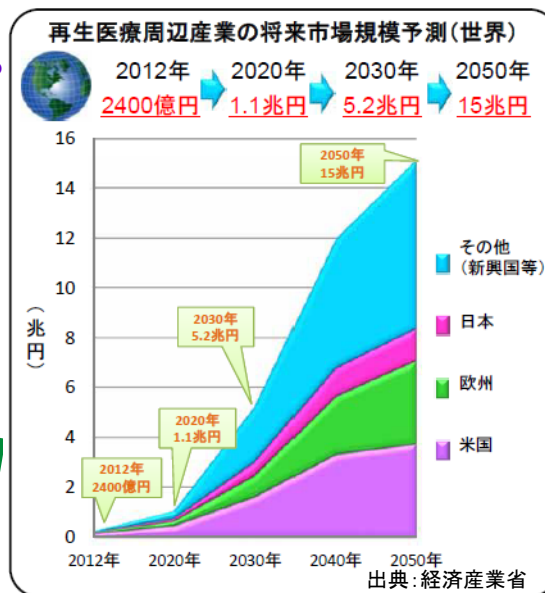
JR-031 (間葉系幹細胞)

日本初の他家細胞による再生医療等製品



2014年9月26日承認申請

- ・希少疾病用医薬品指定(2013年12月)
- ・製造工場 竣工(2014年7月)
- ・最新鋭の設備・国内最大規模のインキュベータを導入



長年培ってきた
独自の細胞培養ノウハウ

細胞治療・再生医療の新たな展開

新たな細胞ソース、新たな対象疾患



(経済産業省委託事業に採択)

- ・平成25年度再生医療等産業化促進事業
- ・平成26年度再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業

(AMED委託事業に採択)

- ・平成27年度再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業

新しい事業展開

アライアンスの強化・ライセンスアウトの
戦略的活用

国内

グローバルで存在感のある
研究開発型企业

海外

製品化・販売
積極的な営業展開



ライセンス事業
国内企業への
積極的な技術導出



ライセンス事業
海外企業への
積極的な技術導出



製品供給
JCR開発品目の
グローバル展開
パートナーとの連携



新しい
事業展開

アライアンス活用

JCRの開発品目

- ・希少疾病(ライゾーム病)
- ・酵素製剤

JCRの技術

- ・J-Brain Cargo
- ・J-GlycoS
- ・J-MIG System
- ・J-GlycoM

世界基準に対応した生産・品質保証体制



グラクソ・スミスクライングループとの提携の成果



開発コード	開発品目 (下段:適応症)	前臨床	臨床試験	申請	承認	備考	
JR-041	遺伝子組換え卵胞刺激ホルモン 不妊治療	臨床第I/II相試験					あすか製薬(株)に 導出
	遺伝子組換えα-GAL-A ファブリー病(ライソゾーム病)	臨床試験 実施中					酵素補充療法 GSKグループと共同 開発
JR-032	遺伝子組換えIDS ハンター症候群(ライソゾーム病)	臨床試験 準備中					酵素補充療法 GSKグループと共同 開発
	遺伝子組換えダルベポエチン 腎性貧血	前臨床					キッセイ薬品工業(株) と共同開発
JR-101	遺伝子組換えGBA ゴーシェ病(ライソゾーム病)	前臨床					酵素補充療法
	BBB通過型遺伝子組換えIDS ハンター症候群(ライソゾーム病)	前臨床					酵素補充療法 J-Brain Cargo* J-MIG System**
JR-142	持続型遺伝子組換えソマトロピン 成長障害	前臨床					持続型GH製剤 J-MIG System**
	ヒト間葉系幹細胞 移植片対宿主病(GVHD)	申請中					他家由来ヒト間葉系 幹細胞の利用

*JCR独自の血液脳関門(Blood-Brain Barrier)通過技術

**JCR独自のCHO細胞高発現技術

新たな技術への挑戦

“希少疾病・難病に取り組む研究開発型企业”として、遺伝子治療やiPS細胞等、最先端の技術にも挑戦していきます。

遺伝子治療

先天代謝疾患の根治は酵素補充療法では困難であり、遺伝子治療が必要です。当社は独自の技術を活用して、遺伝子治療用医薬品の開発を進めていきます。

iPS細胞

世界的に注目されているiPS細胞技術について、薬効評価のための病態モデルとしての活用など、様々な利用を検討しています。また、将来的には、臨床応用の可能性も模索していきます。

5. Appendix — 用語説明

希少疾病用医薬品	医薬品の中で、患者数が本邦において5万人未満であること、代替する適切な医薬品・医療機器又は治療法がなく、既存の医薬品・医療機器と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待されることなど、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致した治療薬は、厚生労働省より、希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器として指定されます。
先天代謝異常症 (ライソゾーム病)	遺伝的な原因により、体内の特定の代謝機能が正常にはたらかないために、代謝産物が蓄積し、体にとって好ましくない状態がもたらされる疾患の総称です。代謝産物の違いにより、「先天性アミノ酸代謝異常症」、「糖質代謝異常症」、「脂質代謝異常症」などに分類されます。 当社の開発パイプラインにある、ライソゾーム病(ハンター症候群、ファブリー病)も先天代謝異常症に分類されます。ライソゾーム病では、細胞内のライソゾームとよばれる器官中の酵素に異常があることで代謝産物が蓄積し、重篤な症状を引き起こします。
CHO細胞高発現技術 J-MIG System	多くのタンパク質は構成成分であるアミノ酸に糖鎖が結合した形、糖タンパク質として活性を持ちます。遺伝子組換え医薬品の有効成分となる糖タンパク質は、その遺伝子を培養細胞に導入して発現させることで製造しますが、最も多く利用されている細胞がチャイニーズ・ハムスターの卵巣由来のCHO細胞と呼ばれるものです。当社では、糖タンパク質を効率よくCHO細胞に発現させるため、組み込んだ目的遺伝子を選択的に強く増幅させるための「modified-IRES-GS系CHO細胞高発現システム」の開発に成功しました。このシステム(J-MIG System)については、2014年9月8日に米国で開催されたバイオ医薬業界最高レベルの学会であるIBC's 10th Annual Cell Line Development & Engineeringにおいてポスター発表し、1st-prizeを獲得しています。

完全無血清培養	<p>バイオ医薬品の製造では、目的物質(タンパク質)をつくりだす細胞を「培地」と呼ばれる液体中で増殖させます。この工程を「培養」と呼ばれます。</p> <p>培地は、通常栄養成分として血清を含みますが、血清を含まない培地で培養を行うことを無血清培養と呼びます。感染の危険性等がなく、医薬品の安全性に大きく寄与する技術です。</p>
シングルユースバイオリアクター	<p>バイオ医薬品製造の細胞培養工程において、使い捨ての樹脂製バッグに培地を入れて培養することで、従来のタンク型培養器での煩雑な滅菌・洗浄の工程を不要とする技術です。</p>
組織ターゲティング	<p>薬剤を特に効力を発揮させたい臓器・組織に効率的に移行させる技術のことです。</p> <p>当社の開発品目であるライソゾーム病の中には、問題となる代謝産物が筋組織に蓄積することで呼吸筋・心筋に対して致命的影響が生じる疾患、骨に蓄積することで頸椎の病変、四肢や背中の変形症状が生じるものが存在します。当社では、代謝産物を分解する酵素を筋肉・骨等の組織に効率よく届ける「組織ターゲティング技術」にも取り組んでいます。</p>
BBB通過技術 J-Brain Cargo	<p>BBBは、血液脳関門(Blood-Brain Barrier)のことであり、重要な脳神経細胞を有害物質から守るバリアー機能です。毛細血管内側に隙間なく細胞が並んでおり、物質が入り込めない構造になっております。通常、タンパク質はBBBを通過することができませんが、それを可能にする技術、「BBB通過技術」が様々な方法で試みられています。</p> <p>当社では、独自技術であるBBB通過技術「J-Brain Cargo」を活用し、ハンター症候群の治療薬など、血液脳関門の存在により脳に医薬品が届きにくい既存薬の現状を打破しようとしています。</p>

<p>間葉系幹細胞(MSC)</p>	<p>幹細胞とは自己増殖能と多分化能を有する細胞のことで、胚性幹細胞、iPS細胞等種々の幹細胞が知られておりますが、間葉系幹細胞(MSC)とよばれる幹細胞も存在し、中胚葉由来の骨・軟骨へ分化します。この分化能を利用して、骨関節疾患の再生医療が研究開発されております。</p> <p>当社では、MSCが保持する免疫調節作用に着目し、造血幹細胞移植時に副作用として発症する急性GVHDに対する治療薬として開発を行っております。</p>
<p>糖鎖付加コントロール技術 J-GlysoM, J-GlycoS</p>	<p>タンパク質は、アミノ酸が鎖のように連なったものであることは知られておりますが、動物では体内を構成するほとんどのタンパク質は、構成するアミノ酸の一部に糖の鎖「糖鎖」が結合したもの(糖タンパク質)です。</p> <p>JCRがバイオ後続品の開発に取り組むダルベポエチンやライソゾーム酵素も糖タンパク質であり、先行品(JR-131であればネスプ)と同等のものを製造するには、糖鎖の部分も先行品と同等のものをつくる必要があります。</p> <p>J-GlysoM,ならびにJ-GlycoSは、遺伝子組換えで製造する際に、目的に合った糖鎖組成をもつ糖タンパク質を得るための技術で、当社が長年遺伝子組換え製品を開発する過程で確立したものです。</p> <p>具体的には、J-GlysoMは、マンノースと呼ばれる糖を糖鎖に多く含ませる技術であり、J-GlycoSは、細胞培養工程における工夫によりで、糖鎖に多くのシアル酸を付加させる技術です。</p>

将来の見通しに関する注意事項

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。

Thank you for your attention.



– JCR Biotech for a New Tomorrow –