

研究開発パイプライン

(2024年5月10日時点)



開発番号 一般名 (製品名)	適応症	前臨床	臨床試験	申請	承認	備考
JR-141 pabinafusp alfa (イズカーゴ® 点滴静注用 10mg)	ムコ多糖症Ⅱ型 (ハンター症候群)		グローバル Ph3			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
JR-171 lepunafusp alfa	ムコ多糖症Ⅰ型 (ハーラー症候群 等)		グローバル Ph1/2			血液脳関門通過型遺伝子組換え α-L-イズロニダーゼ
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症		国内 Ph2			遺伝子組換え持続型成長ホルモン
JR-031HIE 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		国内 Ph1/2			ヒト体性幹細胞加工製品
JR-441	ムコ多糖症ⅢA型 (サンフィリップ症候群A型)		グローバル Ph1/2			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
JR-446	ムコ多糖症ⅢB型 (サンフィリップ症候群B型)					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
JR-471	フコシドーシス					血液脳関門通過型遺伝子組換え α-L-フコシダーゼ
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)					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
JR-162	ポンベ病					血液脳関門通過型遺伝子組換え 酸性α-グルコシダーゼ
JR-443	ムコ多糖症Ⅶ型 (スライ症候群)					血液脳関門通過型遺伝子組換え β-グルクロニダーゼ