各　　位

2014年9月26日

会 社 名　ＪＣＲファーマ株式会社
代表者名　代表取締役会長兼社長　芦田　信
（東証１部　コード番号4552）
問合せ先　経営戦略部 広報・IRグループ長　伊藤　学
（ＴＥＬ　0797-32-8591）

日本初の細胞性医薬品（開発番号：JR-031）製造販売承認申請のお知らせ

当社は、ヒト間葉系幹細胞（MSC）を利用した細胞性医薬品（開発番号：JR-031）について、本日、「急性移植片対宿主病（急性GVHD）」を効能、効果として、厚生労働省に製造販売承認申請を行いましたのでお知らせいたします。

JR-031は、造血幹細胞移植時に発生する重篤な合併症である急性GVHDの治療薬として、当社が日本国内において開発を進めてまいりました品目です。2007年から第I/II相試験を開始し、重症例を対象とした第II/III相試験も2013年11月に終了し良好な結果を得ております（2014年3月10日付当社リリースをご参照ください）。なお、急性GVHDに対しては、第1段階の治療としてステロイドが投与されますが、この臨床試験を通じてJR-031がステロイドに対して抵抗性の患者様に効力を発揮することが示されました。

JR-031は、健康なドナーから採取した骨髄液から間葉系幹細胞を分離し、拡大培養して製造する細胞性医薬品であり、静脈内から細胞が投与され、その細胞自体が有する性質を利用して患者様を治療するという画期的な製品となります。また、免疫原性が弱いため、通常の医薬品と同様に、不特定多数の患者様に投与できるという利点があります。流通については、緊急時にも速やかに臨床現場にお届けすることを可能とする超低温輸送システムを株式会社メディパルホールディングスと共同開発中であります。

承認を取得した際には、JR-031が日本初の細胞性医薬品として、移植片対宿主病の治療における新たな選択肢となることを期待しています。当社は今後も希少疾病治療薬の開発に取り組むスペシャリティファーマとして、より多くの患者様の治療に貢献できるように取り組んでまいります。

なお、本製品は本年11月施行の改正薬事法に則り、再生医療等製品として製造販売承認申請を行っております。

以上

【語句の説明】

JR-031（ヒト間葉系幹細胞）

当社が、2003年に米国オサイリス社（Osiris Therapeutics, Inc.）から技術導入した品目。主に骨髄中に存在する未分化な細胞であり、骨、軟骨、脂肪、筋肉など様々な細胞に分化する能力を有する。免疫調節機能を有するため、免疫が関与する様々な疾患に有効な可能性がある。なお、オサイリス社がMSCに関する権利を豪州メゾブラスト社（Mesoblast Limited）に譲渡したことに伴い、当社が保有する権利のライセンサーも同社に変更されている。

造血幹細胞移植

血液を造るもとになる細胞（造血幹細胞）を移植する治療法。
白血病などの根治的な治療手段として実施されており、造血幹細胞のソースにより、骨髄移植、末梢血移植、臍帯血移植などの種類がある。

急性移植片対宿主病（急性GVHD）

造血幹細胞移植後の予後を左右する移植関連合併症の一つで、移植された造血幹細胞に含まれる免疫担当細胞（リンパ球など）が、患者様の身体を異物とみなして攻撃する疾患。