



Life is Rare

50<sup>th</sup>  
ANNIVERSARY

# Italfarmaco社との契約に関する説明会

2026年1月23日

JCRファーマ株式会社

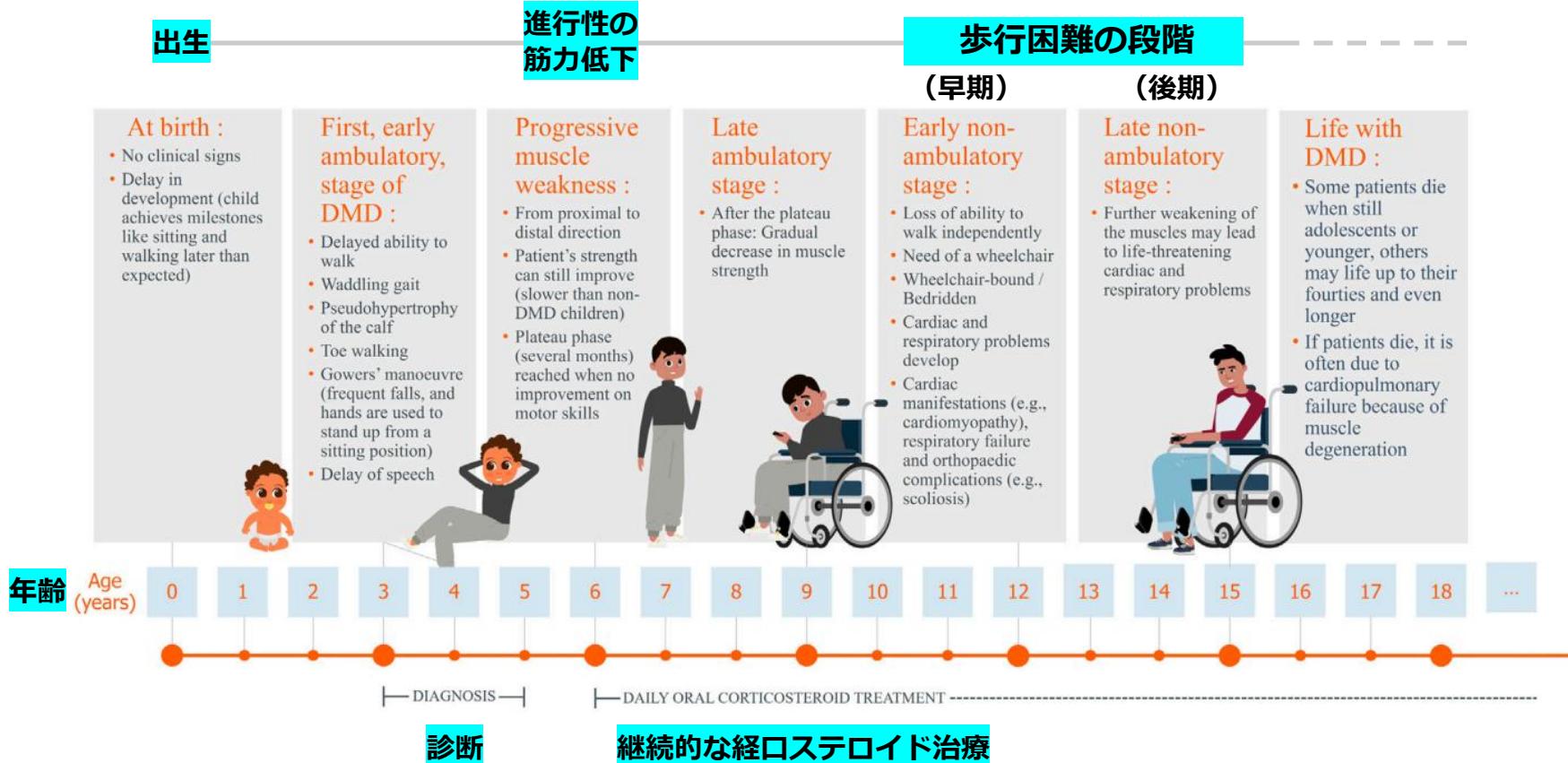
【証券コード】 4552

【問合せ先】 経営戦略本部 広報・IR室 [ir-info@jp.jcrpharm.com](mailto:ir-info@jp.jcrpharm.com)

- 本資料におきまして、当社に関する業績、その他予想、見通し、目標、計画、その他の将来に関する事項が含まれています。これらの事項は、発表日現在において入手可能な情報による当社の仮定、見積り、見通しその他の判断に基づくものであり、既知または未知のリスクおよび不確実性が内在しています。したがって、その後のさまざまな要因により、予想・計画・目標等が記載どおりに実現しない可能性や、実際の業績、開発の成否・進捗その他の見通し等が記載内容と大きく異なる可能性があります。
- 本資料には医薬品・医療機器（開発中のものを含む）に関する情報が含まれていますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイス等を目的とするものではありません。

- **デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬Givinostatの開発および商業化**
  - 日本における独占的ライセンス契約の締結
- **希少疾病治療薬についての戦略的提携**
  - 両社のポートフォリオの拡充
  - 当社R&Dパイプラインおよび基盤技術における共同機会の探求

# 新規導入品目 Givinostat



## 1 病因<sup>1</sup>

- ジストロフィン遺伝子の変異による、筋線維膜直下のジストロフィン蛋白質欠損により生じる

## 2 患者数

- 国内約3,500名

## 3 症状<sup>1</sup>

- 3歳～5歳で症状発現。5歳頃から運動機能障害が進行し、10歳頃で歩行不可能になる
- 10歳以降は呼吸不全や心筋症を発症する。進行には個人差がある

## 4 治療環境

- 国内では2製剤が承認（ステロイド治療を除く）
- FDA・EMA承認薬のドラッグラグ・ロスが課題

|              | 承認状況           |    |    | 備考 <sup>1</sup>   |
|--------------|----------------|----|----|---|
|              | 日本             | 米国 | EU |   |
| 遺伝子治療        | ✓ <sup>3</sup> | ✓  |    | <ul style="list-style-type: none"><li>・抗AAVrh74抗体が陰性の患者</li><li>・歩行可能な患者</li><li>・3歳以上8歳未満の患者</li></ul> |
| エクソンスキッピング療法 | ✓ <sup>3</sup> | ✓  |    | <ul style="list-style-type: none"><li>・特定の遺伝子変異を有する患者<sup>2</sup></li></ul>                             |
| ステロイド        | ✓              | ✓  | ✓  | —   |

## Givinostat

国内承認済みの治療薬とは異なる作用機序により  
DMDにアプローチする

## 1 一般名：Givinostat（海外での製品名：Duvyzat）

- ヒストン脱アセチル化酵素（HDAC）の阻害剤
- 経口投与の非ステロイド剤（1日2回）

## 2 海外の適応症

- 6歳以上のデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者

※EU：ステロイドを併用する歩行可能な6歳以上の患者に限定

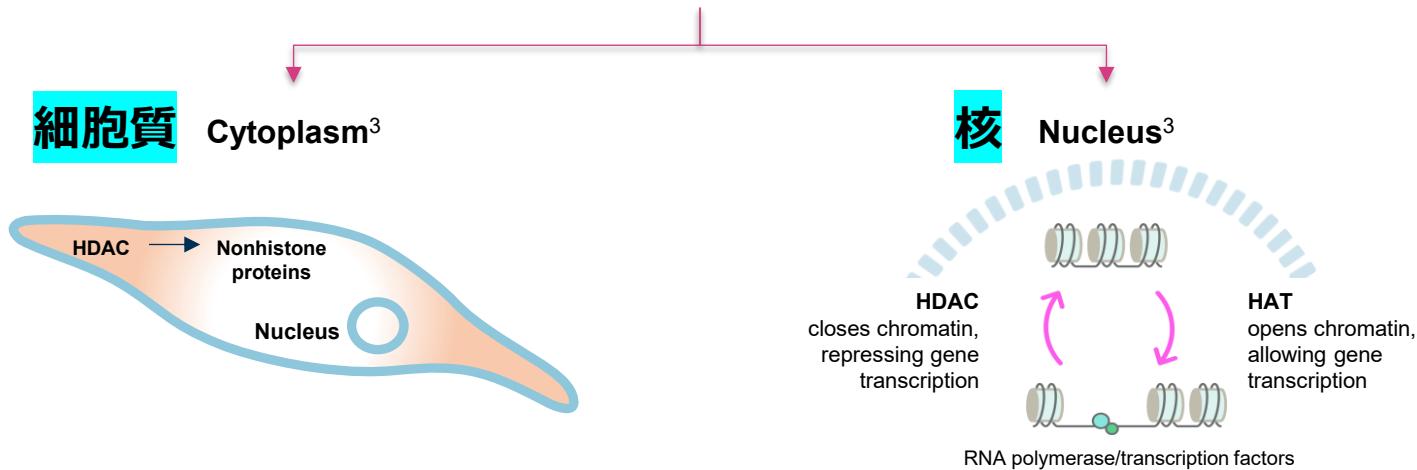
## 3 承認状況

- 米国（2024年3月）
- EU（2025年6月 条件付き承認）
- その他、イギリスを含む複数カ国で承認済み
- 本邦では未承認

## 4 特徴

- 複数の疾患修飾エピジェネティック作用により、DMD患者の遺伝子変異に依存せず使用可能
- ステロイドとの併用

## HDACは、細胞質内および核内での活性により筋恒常性の調節を助ける<sup>1,2</sup>



HDACは、ヒストンおよび非ヒストンタンパク質の両方に作用することで細胞内の恒常性（ホメオスタシス）を調節する<sup>4</sup>

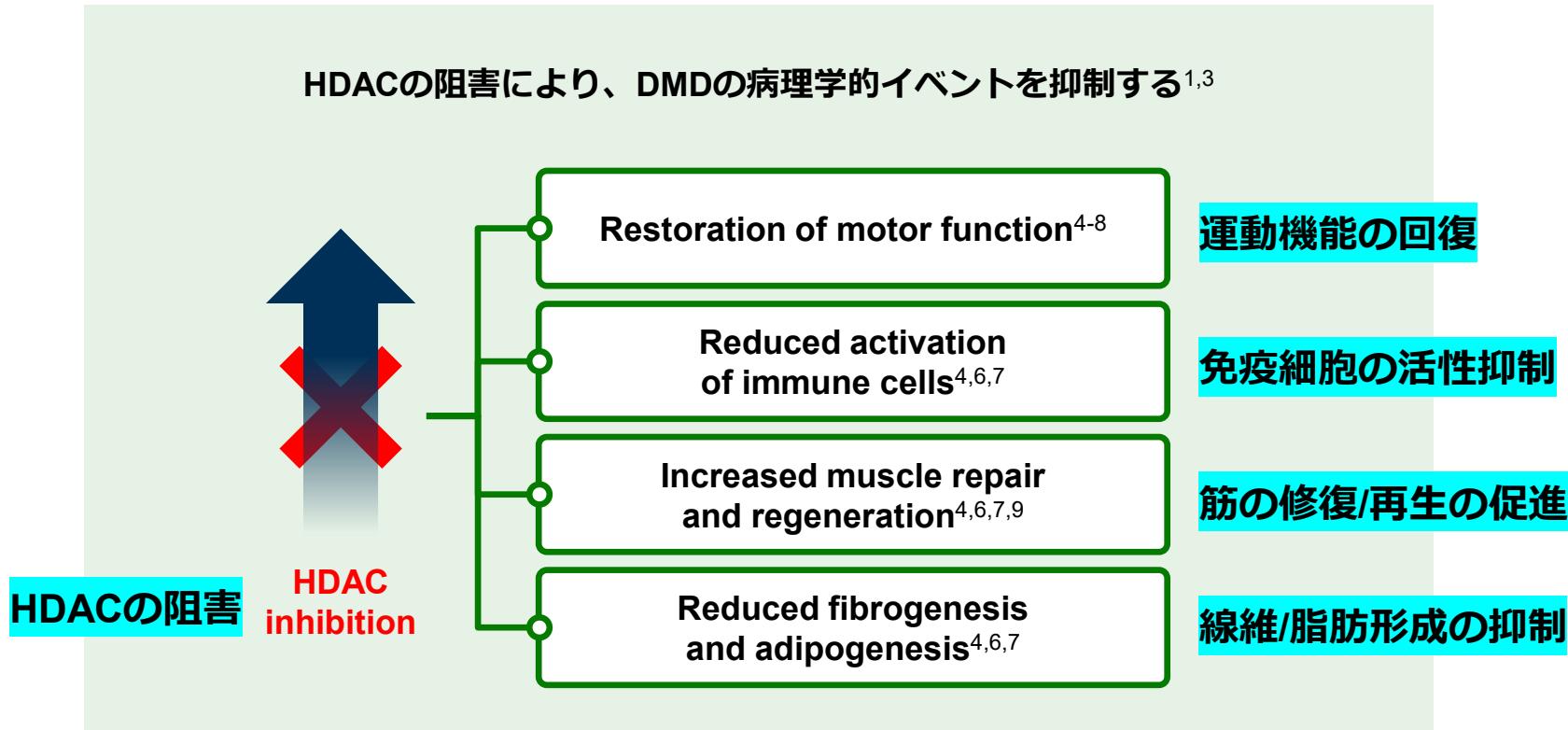
- ・ 転写因子のアクセスを低下させる<sup>5</sup>
- ・ タンパク質の安定性や局在化、転写因子、ホルモン受容体、ミトコンドリアタンパク質、酵素活性、mRNAの安定性、の調節<sup>4</sup>

\*HDAC and HAT work in balance to regulate the expression of muscle repair factors.

HAT, histone acetyltransferase; HDAC, histone deacetylase; mRNA, messenger ribonucleic acid; RNA, ribonucleic acid.

1. Consalvi S, et al. Mol Med. 2011;17(5-6):457-465. 2. Kodipalli K, et al. Front Physiol. 2023;14:1180980. 3. Sandonà M, et al. Int J Mol Sci. 2023;24(5):4306. 4. Milazzo G, et al. Genes. 2020;11(5):556.

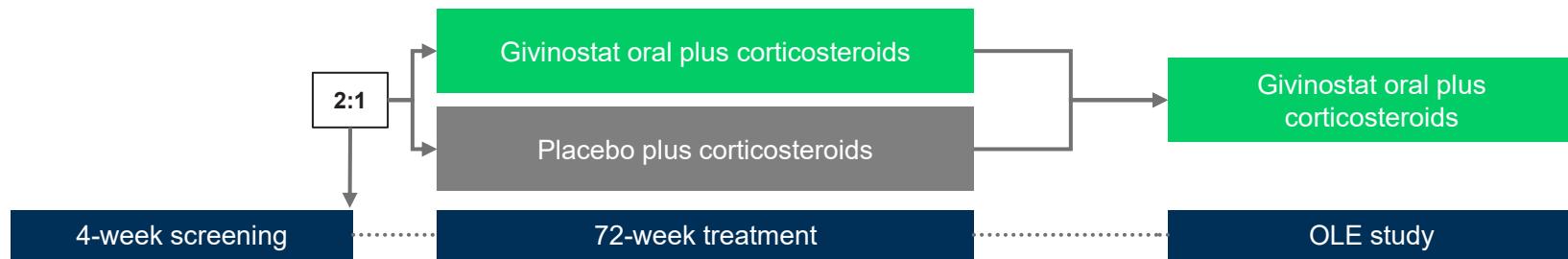
5. Ceccacci E, et al. Br J Cancer. 2016;114(6):605-11.



DMD, Duchenne muscular dystrophy; HDAC, histone deacetylase.

1. Consalvi S, et al. *Mol Med*. 2011;17(5–6):457–465.
2. Kodippili K, et al. *Front Physiol*. 2023;14:1180980.
3. Sandonà M, et al. *Int J Mol Sci*. 2023;24(5):4306.
4. Wilson DGS, et al. *Commun Biol*. 2022;5(1):1022.
5. Campbell KP, et al. *Nature*. 1989;338(6212):259–262.
6. Guiraud S, et al. *Exp Physiol*. 2015;100(12):1458–1467.
7. Reid AL, et al. *Life*. 2021;11(7):648.
8. Ervasti JM, et al. *J Cell Biol*. 1993;122(4):809–823.
9. Sandonà M, et al. *EMBO Rep*. 2020;21(9):e50863.

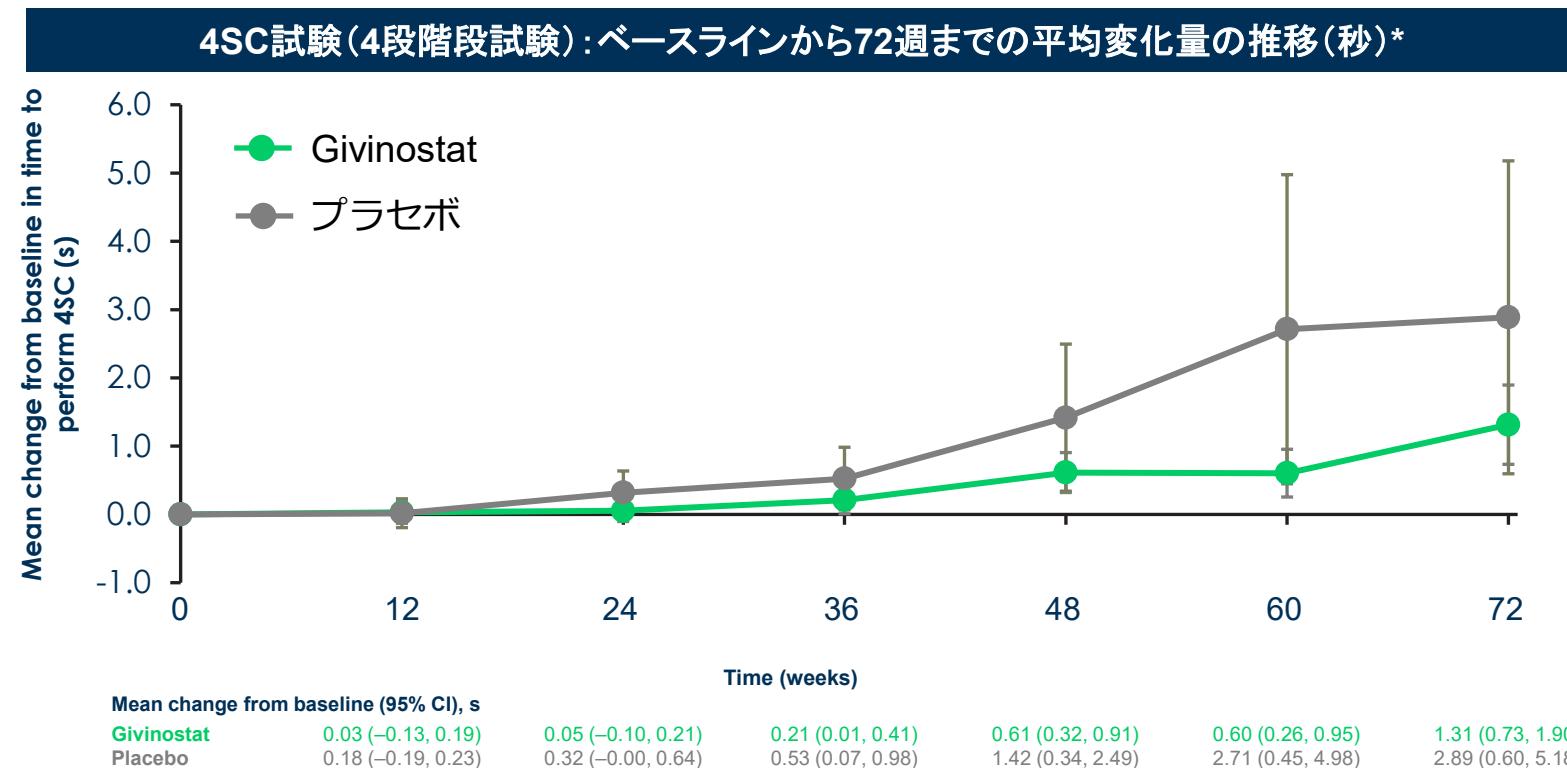
- 無作為化二重盲検並行群間プラセボ対照試験
- 179名の歩行可能な男児を2:1で無作為に割付 (Givinostat投与群 : プラセボ投与群)
- コルチコステロイドの併用下、Givinostatまたはプラセボを投与



OLE, open-label extension.

1. Mercuri E et al. *Lancet Neurol*. 2024;23(4):393-403. 2. ClinicalTrials.gov. NCT02851797. Updated February 2, 2023. Accessed May 9, 2024.  
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT02851797>

3. Vandenborne K. Oral presentation at Muscular Dystrophy Association Clinical & Scientific Conference; March 19-22, 2023; Dallas, TX, USA.

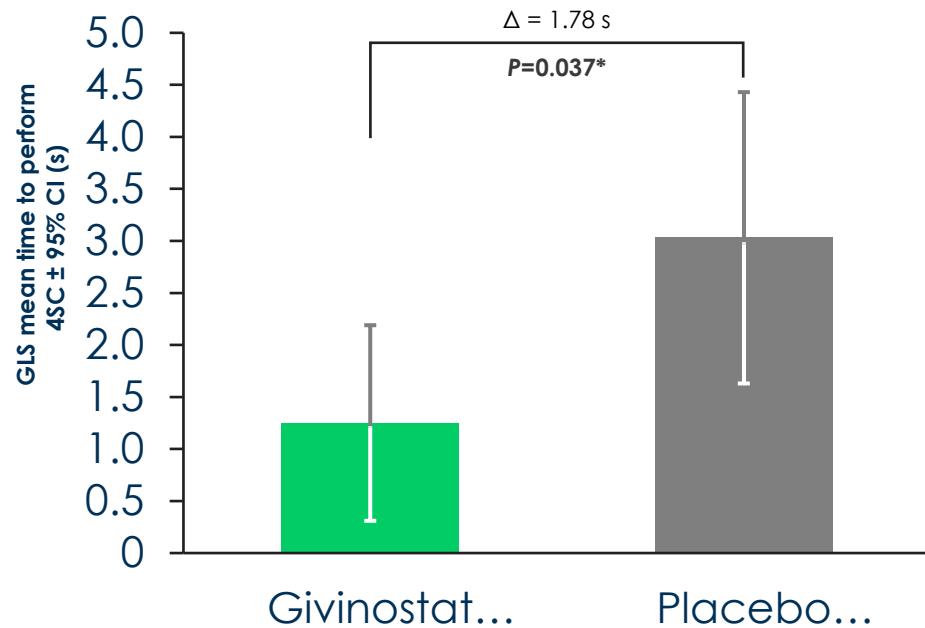


\*Data are means and 95% confidence intervals. The confidence intervals have not been adjusted for multiplicity and should not be used for hypothesis testing. Baseline mean values were 3.39 s and 3.48 s for the givinostat and placebo groups, respectively. All patients were also receiving systemic corticosteroids in a dose and regimen that was to remain unchanged over the follow-up period.  
4SC, 4-stair climb; s, seconds.

1. Mercuri E et al. Lancet Neurol. 2024;23(4):393-403.

## 72週時点におけるベースラインからの平均変化量(非対数変換)

- Givinostat + コルチコステロイドは、  
プラセボ + コルチコステロイドと比較  
して、72週時点において、 4SC試験  
時間の悪化を1.78秒減少させた

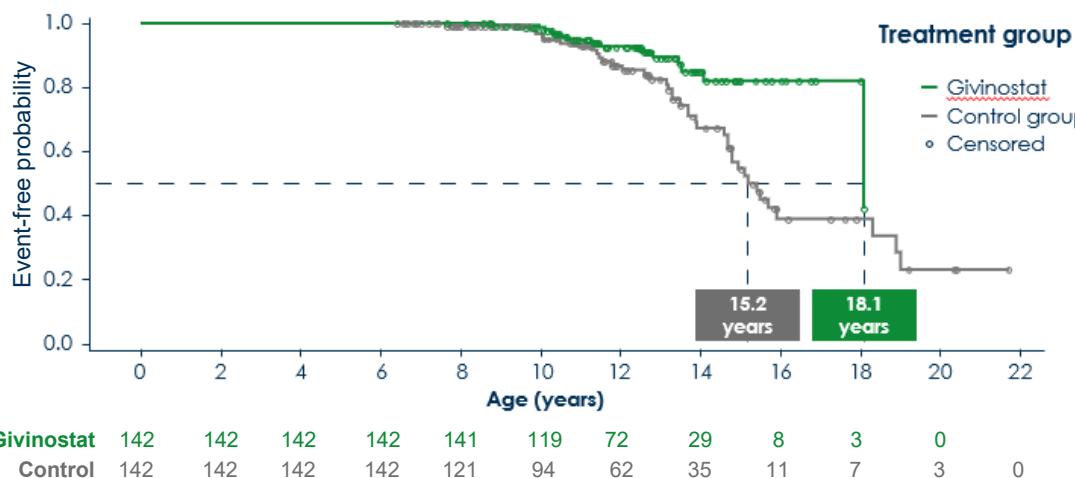


\*Data are means and 95% confidence intervals. The confidence intervals have not been adjusted for multiplicity and should not be used for hypothesis testing. Baseline mean values were 3.39 s and 3.48 s for the givinostat and placebo groups, respectively. All patients were also receiving systemic corticosteroids in a dose and regimen that was to remain unchanged over the follow-up period.

4SC, 4-stair climb; GLS, geometric least squares; s, seconds.

1. Mercuri E et al. Lancet Neurol. 2024;23(4):393-403.

- Givinostatとコルチコステロイド（標準治療）を併用した患者では、標準治療単独の患者と比較して、歩行能力が2.9年間維持された  
(ハザード比 0.42; 95%信頼区間 0.23-0.76;  $P=0.004$ )



| Parameter                               | Givinostat<br>(n=142) | Control<br>(n=142)     |
|---|-----------------------|------------------------|
| <b>Patients, n (%)</b>                  |                       |                        |
| Assessed                                | 142 (100)             | 142 (100)              |
| Who lost ambulation                     | 14 (9.9)              | 39 (27.5)              |
| Censored                                | 128 (90.1)            | 103 (72.5)             |
| <b>Age at loss of ambulation, years</b> |                       |                        |
| Median (95% CI)                         | 18.1<br>(18.09, NE)   | 15.2<br>(14.70, 18.31) |
| <b>P-value</b>                          | 0.004                 |                        |
| <b>HR (95% CI)*</b>                     | 0.42 (0.23, 0.76)     |                        |

\*HR and associated 95% CI and P value are obtained from a Cox proportional hazards model, including the treatment group as an independent classification factor.

HR, hazard ratio; NE, not estimable.

1. McDonald CM, et al. Ann Clin Transl Neurol. Published online August 19, 2025. 2. EPIDYS studyを含むデータを用いて自然歴研究との比較を行ったpost hoc analyses（事後解析）

## 日本のデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者の方々には 大きなアンメットメディカルニーズが存在する

- 日本のDMD患者総数：約3,500名<sup>1</sup>
- 6歳以上、かつ歩行可能なDMD患者※：1,000名以上<sup>2</sup>  
※EMAの承認条件
- 6歳以上のDMD患者：3,000名以上<sup>2</sup>
- 日本で承認済みの非ステロイド系治療薬は2剤のみ

日本の患者数やアンメットニーズの現状から  
売上ポテンシャルは大きいと想定される<sup>3</sup>

## 2028年までの製造販売承認取得を目指す

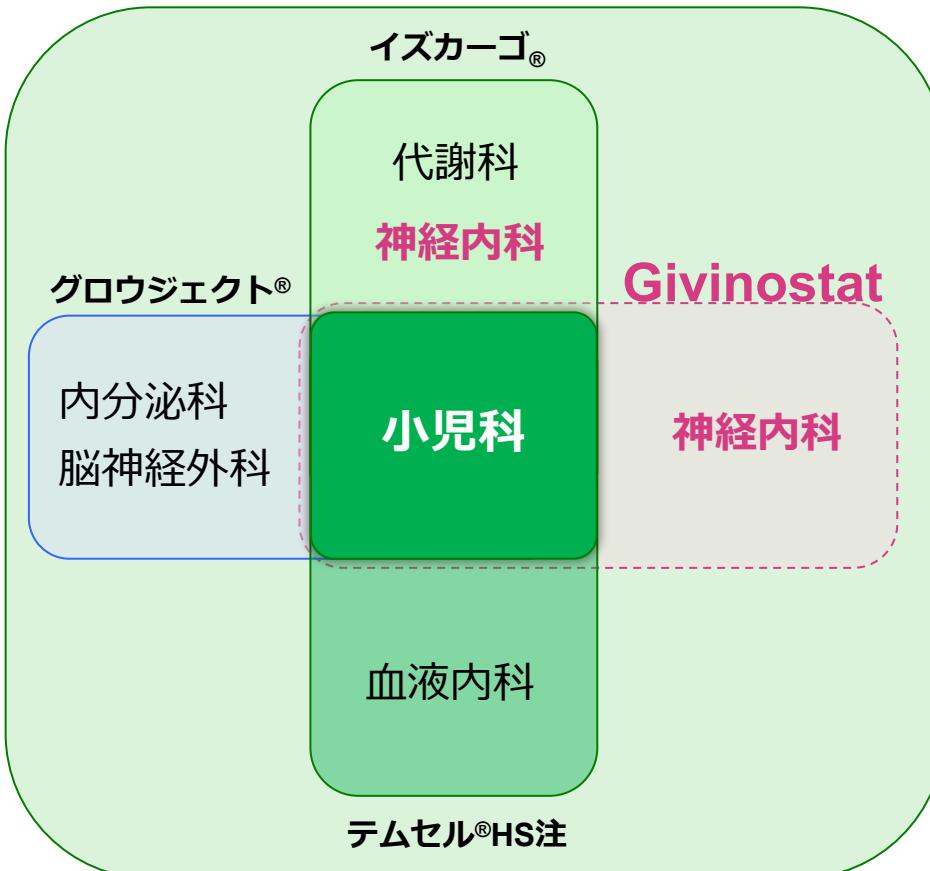
DMD, duchenne muscular dystrophy

1. 川井 充. 脳と発達. 2013;45(Suppl.):S324.

2. 右記情報を基に当社にて算出 (Remudy (Registry of Muscular Dystrophy) およびNakamura H et al. *Orphanet J Rare Dis.* 2013;8:60)

3. 公開情報を基にした既存治療薬 (Viltolarsen) の年間治療コスト：約3800 – 6800万円 (体重25~45 kgの想定で当社にて算出)

## 希少疾病



- 既存製品で貢献する小児科領域におけるアドバンテージ
  - 長年築き上げてきた、小児科領域でのプレゼンス
  - 既存製品の営業において、DMD患者のフォロー施設を60%以上カバー済み（当社調べ）
  - マーケティング上の相乗効果
- 希少疾病領域の豊富な開発経験

## Givinostat : 経口非ステロイド性DMD治療薬

### 1 既存の治療薬とは異なる作用機序

- ・ 遺伝子変異に依存せず使用可能なHDAC阻害剤

### 2 海外での承認実績

- ・ 米国、欧州、その他主要国での承認
- ・ プラセボ対照の臨床試験で示されたエビデンス

### 3 当社の強みとの相乗効果

- ・ 小児・希少疾病領域における販売経験との適合性
- ・ DMD患者をフォローする医師との強固なネットワーク

### 4 大きな商業的ポテンシャル



Life is Rare

# Appendix



## Italfarmaco S.p.A

- 1938年設立（イタリア、ミラノ）の非上場グローバル製薬企業
- 処方薬および一般用医薬品の開発、製造、マーケティング、販売
- 免疫腫瘍、神経科、心血管疾患を含む多くの領域で実績を確立
- 希少疾病部門では、筋ジストロフィー、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、真性多血症のプログラムを展開



従業員数  
>4000名



事業展開  
>90カ国



製造サイト  
6施設



R&D部門  
>300名