

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
JR-141 バビナフスプ アルファ (イズカーゴ®点滴静注 用10mg)	LSD ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)	ブラジル :製造販売承認申請 グローバル :臨床第3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
JR-171	LSD ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群 等)	グローバル :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
JR-162	LSD 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
JR-441	LSD 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
JR-443	LSD 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
JR-446	LSD 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
JR-479	LSD GM2ガングリオシドーシス (テイ・サックス病 サンドホフ病)	前臨床	血液脳関門通過型遺伝子組換え β-ヘキシサミニダーゼA	酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-401X 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
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症	臨床第2相試験	遺伝子組換え持続型成長ホルモン	J-MIG System® 採用
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	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

LSD:ライソゾーム病