

# J-Pharma

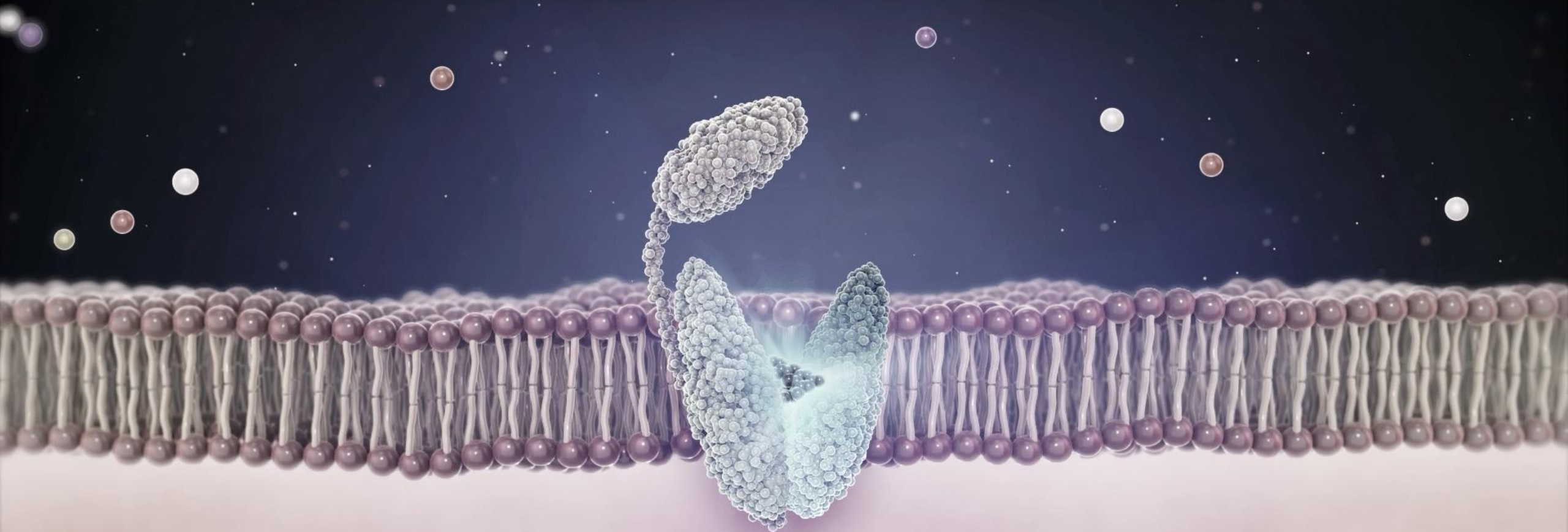


## 会社概要および事業のご紹介

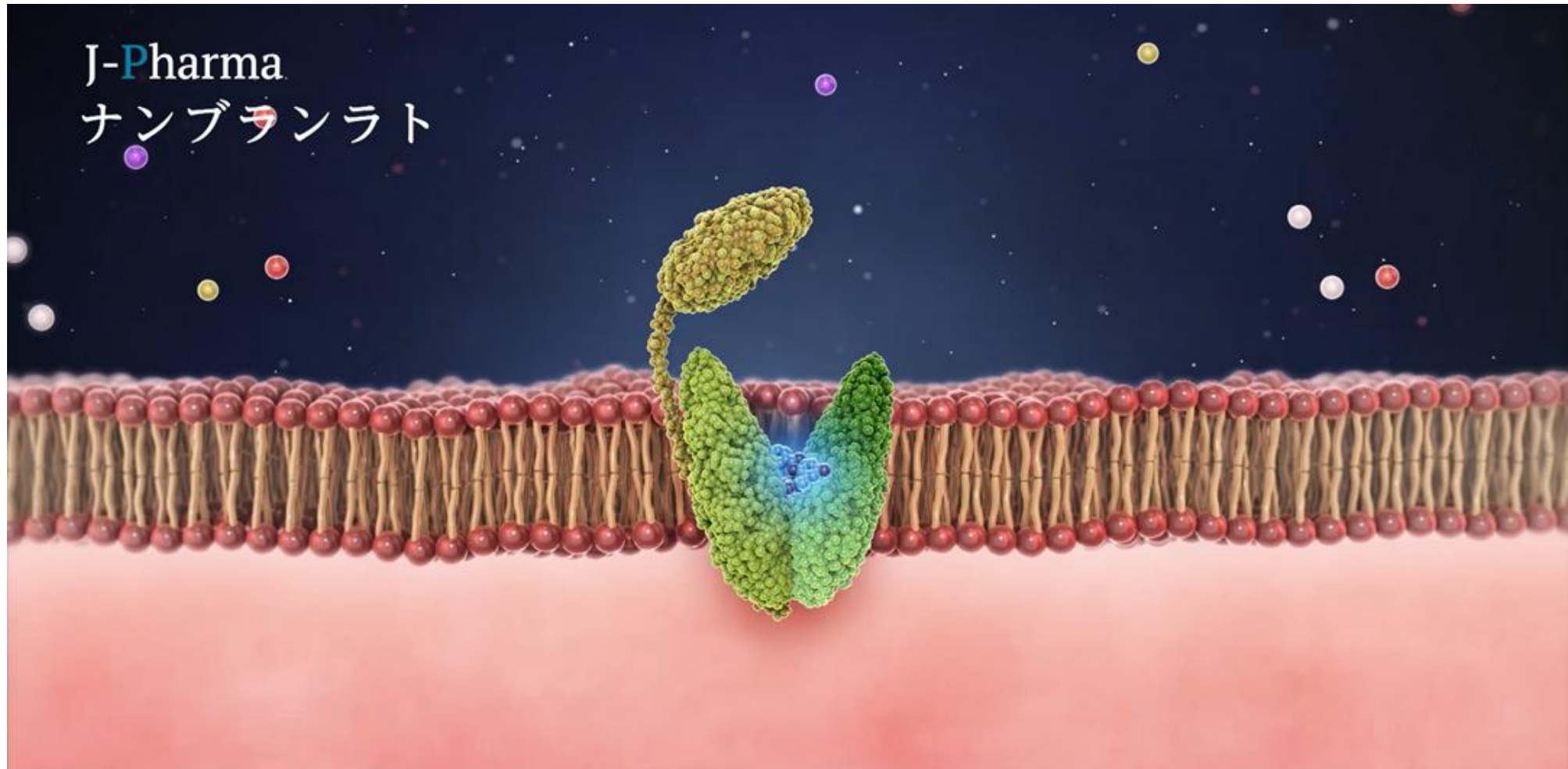
ジェイファーマ株式会社  
代表取締役社長 吉武 益広

2026年4月18日

SLCトランスポーター創薬の新たな可能性を追求し、  
グローバルベンチャーとして世界中の人々が抱える  
アンメット・メディカル・ニーズに応える革新的新薬の開発を通じ、  
人々が健康を維持し、希望を持ち続けることに貢献します。



# L型アミノ酸トランスポーター1 (LAT1) と、当社開発品ナンプランラト



<https://www.j-pharma.com/assets/video/251209.mp4>

# LAT1阻害剤：開発パイプライン：2026年3月現在

化合物	対象疾患		開発ステージ				
			基礎研究	非臨床試験	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
First-in-Class ナンブランラト (JPH203)	胆道がん 2次療法	単剤療法	[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ2]				グローバル
	胆道がん 1次療法	ICI併用療法	[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ2]				JP
	KRAS変異大腸がん		[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ2]				US
	希少疾患		[Progress bar from 基礎研究 to 非臨床試験]				
中枢神経系（脳） 移行型 JPH034	再発を伴わない 2次性進行型多発性硬化症		[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ1]				US
	グリオーマ		[Progress bar from 基礎研究 to フェーズ1]				US
Best-in-Class (JPT-0008)	がん全般・自己免疫疾患・ 希少疾患		[Progress bar from 基礎研究 to 非臨床試験]				JP

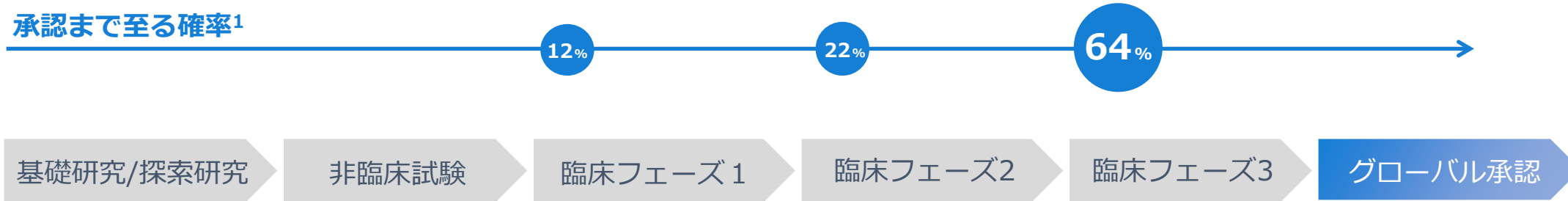
2剤で、米国FDAレビュー  
下での臨床試験が進行中

注：開発ステージにかかる記載は今後の開発予定を記載したイメージ図であり、実際は異なる可能性がある

注：1. AMED: 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（事業経費の2/3が補填される。IPOすると補助が終了する。2025年11月時点で885百万円受領済） 2. NMSS: The National Multiple Sclerosis Society（60万米ドルの補助金を受領済）

# 医薬品のグローバル開発、承認に至る確率と、必要とされる開発費

承認まで至る確率<sup>1</sup>



ナンブランラト

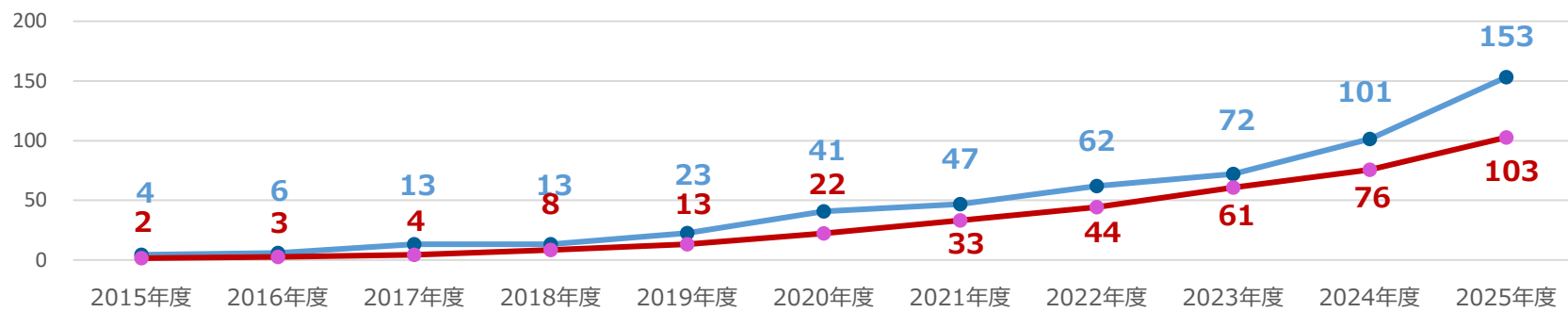
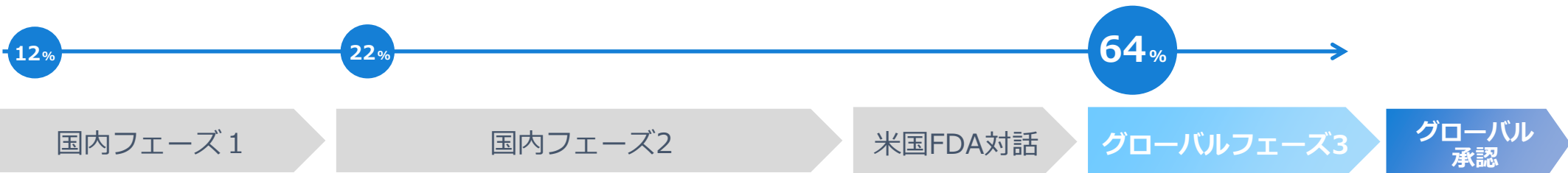
JPH034

データ・人材・資金を  
結集し、  
未踏の世界の難峰へ挑む

未踏の世界の難峰を  
踏破すると  
大きなリターンに繋がる

# ナンブランラトの開発状況と、累積調達金額・累積赤字（投資）金額

承認まで  
至る確率<sup>1</sup>



● 累積調達額 (IPOでの調達と補助金を含む)

● 累積赤字額 (2015年度以降)

純損失 (億円)	2	1	2	4	5	9	11	11	17	15	27
----------	---	---	---	---	---	---	----	----	----	----	----



出所：1. 経済産業省/厚生労働省「創業ベンチャーの育成」2021.

# 太陽のように患者に寄り添う抗がん剤の開発

## 北風のような副作用の強い抗がん剤

- 辛い治療
- 長期間治療ができない

## 太陽のように副作用が少なく患者に寄り添う抗がん剤

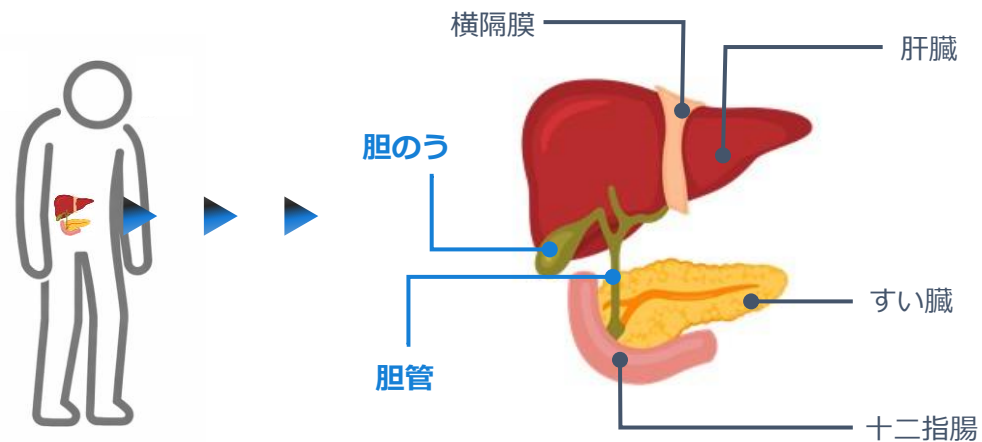
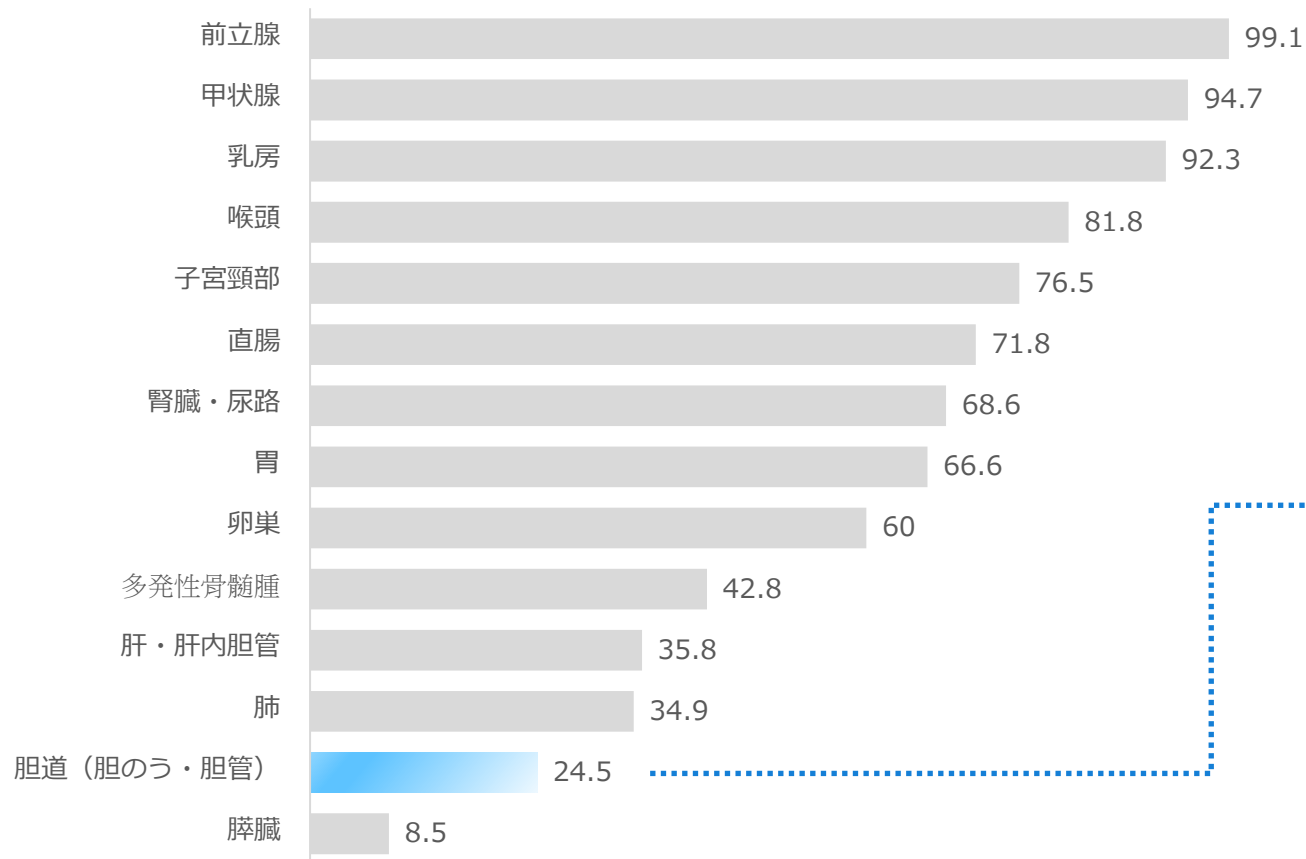
### 目標とする治療により得られるメリット

- 生活の質を維持したまま、ご家族との時間を増やせる
- 長期間の治療が可能 → さらなる延命効果
- 最後まで希望をもてる

本資料の将来に関する見通しは現時点での想定であり、臨床試験結果や規制当局の判断、事業環境の変化等により実際の結果は異なる可能性があります。

# 胆道がん — 患者数は少ないが、極めてアンメットニーズが高いがん種

## がん種別5年相対生存率



### 胆道 (胆のう・胆管)

- 1次療法 (最初に行われる薬物治療) の効果が十分とは言えない
- 2次療法は選択肢が極めて限定的
- 患者の90%以上は65歳以上  
副作用の強い抗がん剤での治療が難しい

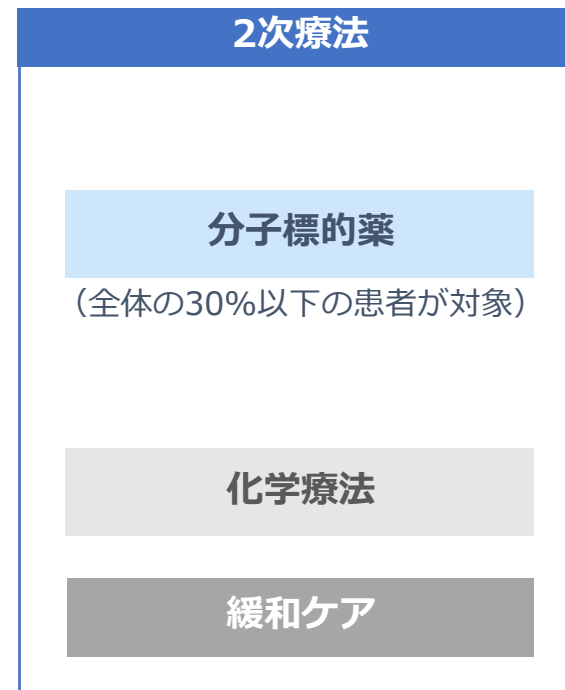
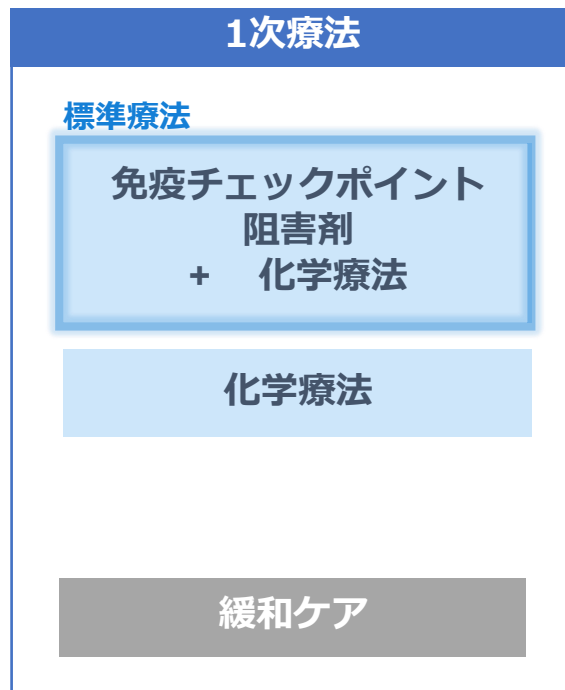
出所：公益財団法人がん研究振興財団 がんの統計2023、National Cancer Institute Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER) Programを元に当社作成

# 欧米における、胆道がん治療の現状と課題

早期の治療ライン（1次・2次療法）にアンメットニーズがある

米国FDAからの要請に応じて、米国6万例の保険データから解析した  
胆道がんの薬物治療の流れ

転移性／切除不能  
胆道がん患者



承認薬

非承認薬

課題：

標準療法において、24か月生存するのは25%以下であり、  
いまだアンメットニーズが高い

患者全体の30%程度にしか承認薬がなく、  
大半の患者は緩和ケアもしくは非承認薬に頼る（欧米の状況）\*

\*: 日本では標準治療としてS-1（テガフル・ギメラシル・オテラシルカリウム（Tegafur/Gimeracil/Oteracil）を有効成分とする経口の抗悪性腫瘍剤が承認されている

# 2026年3月時点で東証グロースに上場している創薬ベンチャーのうち、日本で自ら創製した化合物のデータを積み重ねてグローバルフェーズ3まで進めている唯一の事例（当社調べ）

承認まで  
至る確率<sup>1</sup>

12%

22%

64%

国内フェーズ1  
(2015~2017)

胆道がん、大腸がん  
への一定の効果を  
確認

国内フェーズ2  
(2018~2022)

胆道がん2次療法を対象に  
100名以上を組み入れた  
大規模試験で効果を実証

プラセボと変わらない  
安全性を確認

ASCO GI 2023, ASCO  
Annual Meeting: 口頭発表  
Clinical Cancer Research 掲載

米国FDA対話  
(2023~2024)

米国の患者層に合わせた  
フェーズ2データ再解析で  
延命効果を確認

とくに、投与期間が長い程、  
延命に繋がることを確認

ESMO 2025: ポスター発表

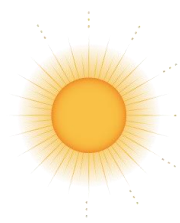
グローバルフェーズ3  
(2025~)



承認（計画）

日本発のブロックバスター製品（売上> 10億米ドル）を目指す

「副作用が少なく、太陽のように患者に寄り添う抗がん剤」  
のコンセプトどおり、安全で長く治療できることで、延命に繋がる可能性



本資料の将来に関する見通しは現時点での想定であり、臨床試験結果や規制当局の判断、事業環境の変化等により実際の結果は異なる可能性があります。

出所：1. 経済産業省/厚生労働省「創薬ベンチャーの育成」2021

# 免疫チェックポイント阻害剤（ICI）との併用療法への展開

免疫のブレーキ解除と免疫活性化の相乗効果による抗腫瘍効果の増強

## 免疫チェックポイント阻害剤（ICI）の働き方

1. がんは免疫細胞に「攻撃するな」と、ブレーキをかける
2. ICIはそのブレーキを解除する働き
3. その結果、免疫ががん細胞を攻撃できるようになる

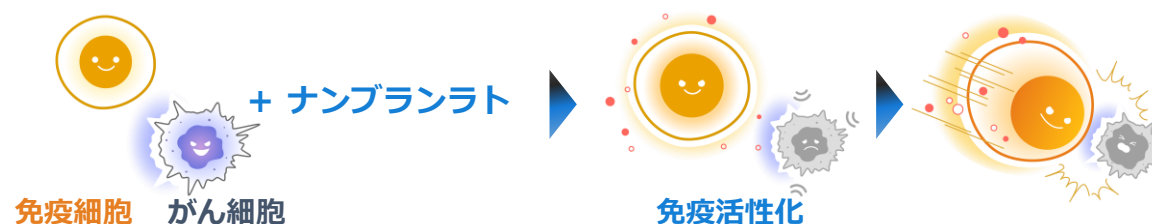
## ナンブランラの免疫学的意義

1. がんはLAT1を介して周辺のアミノ酸を奪い、免疫細胞を弱らせる
2. LAT1阻害剤によりがん細胞のアミノ酸を枯渇させると同時に、周辺のアミノ酸濃度を戻し、免疫細胞を活性化
3. その結果、免疫細胞によるがん細胞への攻撃力を高める

### がん細胞による、免疫のブレーキ解除



### 免疫細胞のエネルギー回復による免疫活性化



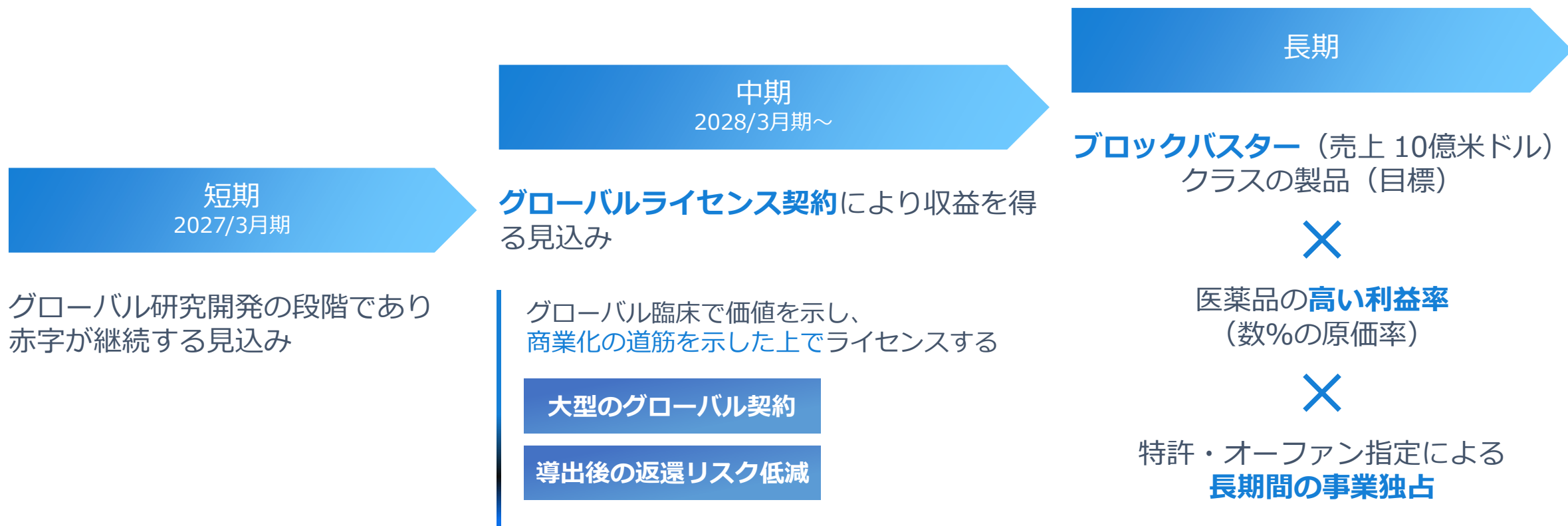
併用

「免疫のブレーキ解除」 × 「免疫活性化」 = 抗腫瘍効果増強

+ ICI

+ ナンブランラ

# 胆道がんにおける事業計画



本資料の将来に関する見通しは現時点での想定であり、臨床試験結果や規制当局の判断、事業環境の変化等により実際の結果は異なる可能性があります。

# 世界トップレベルの研究者から、研究成果をグローバルに送り出す医薬品開発専門家にバトンタッチ

国内大学で生まれ、NEDO<sup>1</sup>やAMED<sup>2</sup>の国内公的資金で育てられた技術シーズが、  
グローバル製品として育つ

創業者遠藤仁（杏林大学名誉教授）による、  
世界トップレベルのトランスポーター研究



創業者  
遠藤仁（杏林大学名誉教授）

吉武益広（当社代表取締役社長）をはじめとする、  
大手製薬企業でグローバル承認を勝ち得た経験を有する  
チームメンバーによる、グローバル開発



代表取締役社長  
吉武益広

+

世界的製薬企業で  
実績を上げてきた  
研究開発チーム

+

世界最先端の  
大学・研究機関  
（アカデミア）

注：1.国立研究開発法人 新エネルギー・産業技術総合開発機構（New Energy and Industrial Technology Development Organization）2.国立研究開発法人日本医療研究開発機構（Japan Agency for Medical Research and Development）

# 当社のグローバル開発を支える世界最先端の大学・研究機関の医師・科学者

## 胆道がん



古瀬純司, M.D., Ph.D.

神奈川県立がんセンター総長

臨床



Dr. Eric Rowinsky, M.D.<sup>1</sup>

がん治療薬開発および薬事コンサルタント

臨床

薬事



Dr. Michael Szarek, Ph.D.<sup>1</sup>

コロラド大学、およびマウントサイナイ病院研究教授  
ベンロック

統計学

薬事

## 多発性硬化症



Dr. Jeff Huang, Ph.D.

ジョージタウン大学准教授

基礎研究



Dr. Pavan Bhargava, M.D.

ジョンズ・ホプキンス病院准教授

臨床



Dr. Laura Airas, M.D., Ph.D.<sup>2</sup>

トゥルク大学神経免疫学教授

画像診断

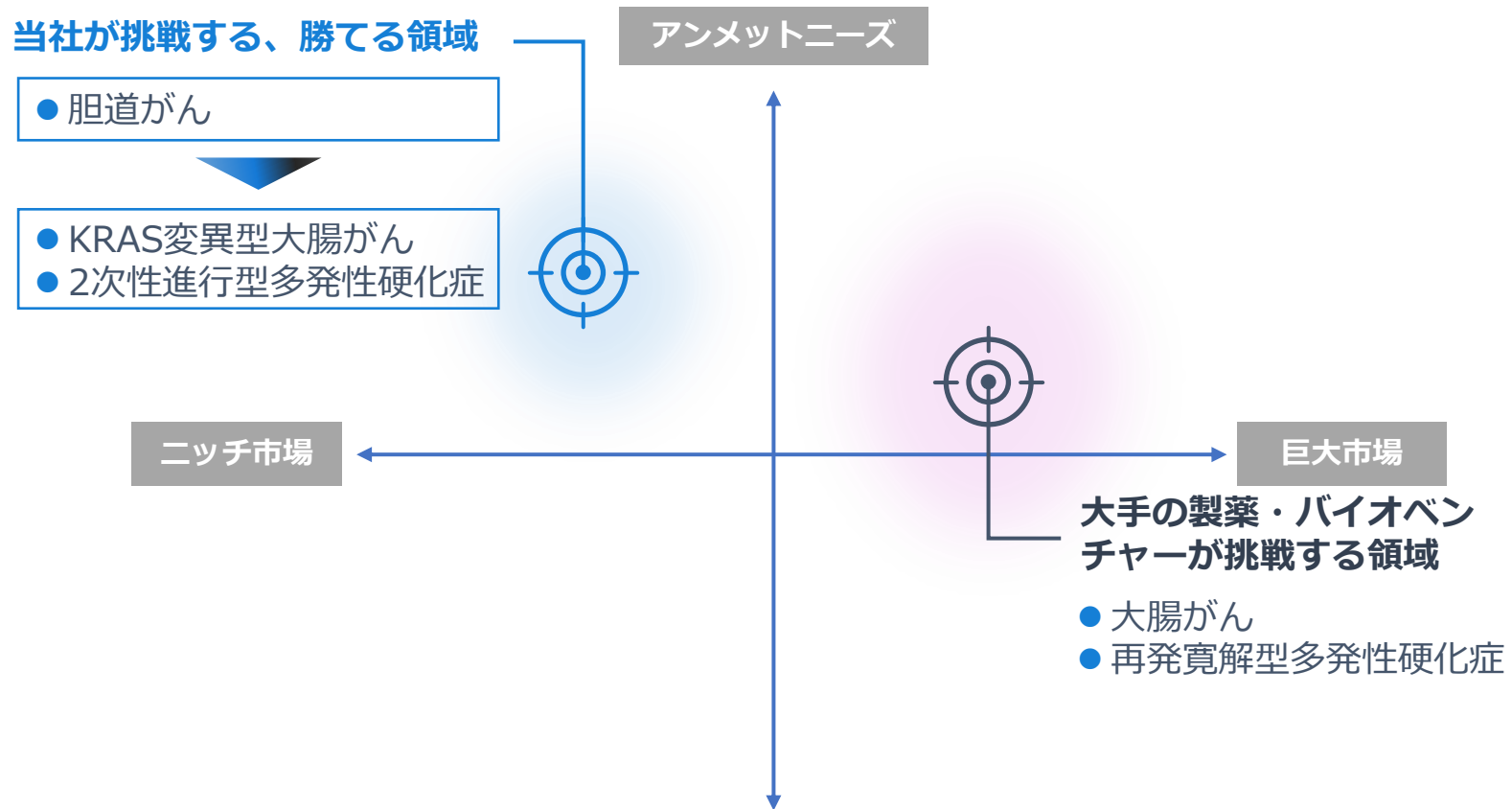
臨床

注：1. Dr. Eric Rowinsky, M.D. と Dr. Michael Szarek, Ph.D. は、当社との直接のアドバイザー契約ではなく、米国の薬事・開発コンサルティング会社を通じての間接的な契約 2. Dr. Laura Airas, M.D., Ph.D. は当社と Turku University Hospital との間の委託研究契約に署名する Principal Investigator

# 今後のビジネス展開 — ニッチでアンメットニーズが高い疾患領域を狙う

## ニッチでアンメットニーズが高い領域で事業展開

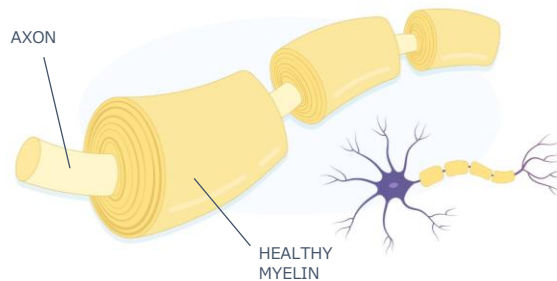
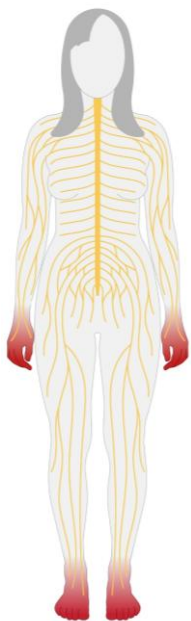
独自のLAT1創薬技術を基盤に、  
世界中の研究機関との共同研究・開発を  
通じて、独自のデータを積み重ね、  
当社の強みで患者さんに貢献できる領域で  
の開発を進めている



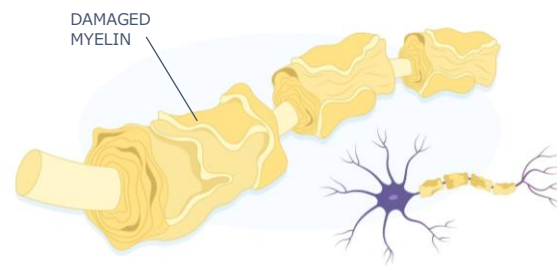
# 多発性硬化症（MS）概要

若年で発症する慢性の難病で、全世界で290万人もの罹患者数

## MSの主な症状



正常な神経組織



MS神経組織

- 厚生労働省 指定難病13
- 診断平均年齢（全世界）：32歳<sup>1</sup>
- 患者数<sup>2</sup>

国・地域	罹患者数（人）
全世界	2,900,000
米国	913,925
EU4+UK	705,290
中国	42,440
日本	18,000

- 免疫反応による炎症により、神経細胞の軸索を取り囲む髄鞘が損傷（脱髄）
- その結果、神経信号の伝達が遅延または途絶し、さまざまな神経症状が発生

出所：1. Atlas of MS 3rd edition, MS International federation, September 2020 (<https://www.msif.org/wp-content/uploads/2020/10/Atlas-3rd-Edition-Epidemiology-report-EN-updated-30-9-20.pdf>). 2. MS Fact Sheet, MS International federation (<https://atlasofms.org/map/global/epidemiology/number-of-people-with-ms> 閲覧日 2026年3月11日)

# 多発性硬化症の進行とくすぶり炎症

2次性進行型において、くすぶり炎症に直接アプローチできる治療法が求められる

## MSの臨床経過<sup>1</sup>と、くすぶり炎症

臨床前期  
(自覚症状なし)



末梢の免疫細胞が脳内に浸潤し、脱髄が引き起こされる再発 (relapse) と寛解 (remission) を繰り返す

既存薬：疾患修飾薬 (Disease modifying drugs; DMDs)

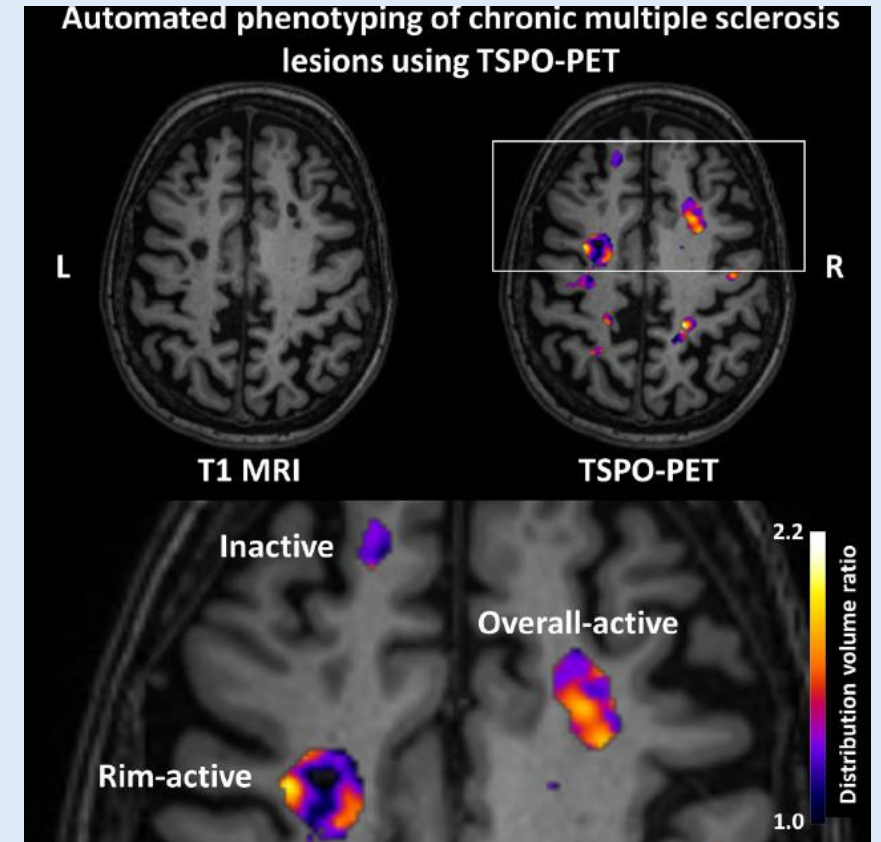
10-15年



神経変性 (軸索損傷・脳萎縮) が主体  
脳内で「くすぶり炎症」と呼ばれる炎症が持続

既存薬：DMDsの効果は限定的  
「くすぶり炎症」に直接アプローチできる治療法が求められる

## TSPO-PET で可視化したSPMS脳内の「くすぶり炎症」<sup>2</sup>



出典：1. Cleve Clin J Med., 2001, 68, 157-70. 2. Marjo Nylund, Brain Communications, Volume 4, 2022, 3. 当社と Georgetown University, University of Turku との共同・委託研究結果に基づく社内レポート

# 2次性進行型多発性硬化症に対し、独自の技術で切り込む

脳移行型LAT1阻害剤「JPH034」で、脳内の免疫細胞を再プログラム

## LAT1阻害剤による当社のアプローチ

- SPMSにおける「くすぶり炎症」は、**脳内の免疫細胞ミクログリア**が引き起こし、既存薬のミクログリアに対する作用は限定的
- **脳移行型LAT1阻害剤「JPH034」**は、**脳内に移行し、ミクログリアを標的**とすることで、**新しい治療アプローチ**となる可能性
  - くすぶり炎症への**LAT1の関与**をヒトの患者脳で実証
  - JPH034の**脳への移行性**をサルで実証
  - 複数の動物モデルで、JPH034の**多発性硬化症**に対する**効果**を実証

## 海外大学や補助金団体と協力

GEORGETOWN  
UNIVERSITY



日本医療研究開発機構 (AMED)

National MS Society



2026年3月23日、JPH034の第1相臨床試験を米国開始

# ジェイファーマの強み — 日本発の革新的創薬をグローバル市場へ

## 当社の独自性

### 創薬ベンチャー初の、日本発自社創製化合物のグローバル承認を目指す存在

- 当社は東証グロース上場企業で唯一、国内自社創製化合物のグローバルフェーズ3実施中（当社調べ）
- 2024年世界での上市品の約85%は海外新興バイオ企業由来である<sup>1</sup>一方、日本の創薬ベンチャーから、自社創製化合物のFDA承認はいまだない

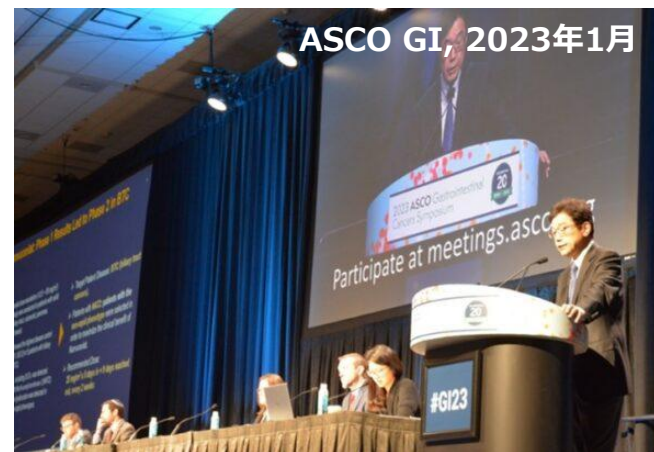


勝てるニッチに特化し、独自サイエンス × グローバル開発力により、  
世界のアンメットメディカルニーズに挑戦

Back-up

# 第2相臨床試験成功以降の、研究開発の進捗と対外的な発表

2022年 12月	LAT1阻害剤ナンブランラト（開発コード：JPH203）の国内における第2相臨床試験を終了
2023年 1月	米国臨床腫瘍学会消化器がんシンポジウム（ASCO GI）においてナンブランラトに関する最新情報について口頭発表
2023年 5月	米国臨床腫瘍学会年次総会（ASCO Annual Meeting）においてナンブランラトの最新の知見を口頭発表
2023年 12月	「日経バイオテック」記者が選んだイチオシ記事〔2023年バイオスタートアップ業界10大ニュース〕に当社のニュースが第1位に
2024年 6月	JPH034が国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）「創薬ベンチャーエコシステム強化事業」に採択
2024年 9月	ナンブランラトの国内第II相試験の結果に関する論文、医学ジャーナル誌「Clinical Cancer Research」2024年9月15日発刊号に掲載
2025年 1月	J.P. モルガン ヘルスケア カンファレンスで5年連続のプレゼンテーション実施
2025年 12月	ナンブランラトのグローバル第3相臨床試験（胆道がん2次療法を対象）を開始
2026年 3月	JPH034の米国第1相臨床試験を開始
2026年 3月	AMED創薬ベンチャーエコシステム強化事業で支援した創薬ベンチャー初の新規上場
2026年 4月	Cholangiocarcinoma Foundationの主催で、米国の患者様、ご家族および医療従事者向けにグローバル第3相試験について紹介するウェビナー開催



**A Phase II Placebo-Controlled Study of the Effect and Safety of Nanuranlat in Patients with Advanced Biliary Tract Cancers Previously Treated by Systemic Chemotherapy**  
 Junji Furuta<sup>1</sup>, Masafumi Ikeda<sup>2</sup>, Makoto Ueno<sup>3</sup>, Masayuki Furukawa<sup>4</sup>, Chigusa Morizane<sup>5</sup>, Tetsuo Takehara<sup>6</sup>, Tomohiro Nishina<sup>7</sup>, Akiyo Todaka<sup>8</sup>, Naohiro Okano<sup>9</sup>, Kazuo Hara<sup>9</sup>, Youzuke Nakai<sup>10</sup>, Kazuyoshi Ohkawa<sup>11</sup>, Takashi Sasaki<sup>12</sup>, Kazuya Sugimori<sup>13</sup>, Naoyuki Yokoyama<sup>14</sup>, and Kouji Yamamoto<sup>15</sup>

**Clinical Cancer Research掲載 2024年9月**

**ABSTRACT**  
**Purpose:** To evaluate the efficacy and safety of nanuranlat (an L-type amino acid transporter 1 inhibitor) monotherapy as a later-line treatment in advanced, metastatic, and refractory biliary tract cancers. **Patients and Methods:** A multicenter, randomized, double-blind, placebo-controlled phase II study was conducted across fourteen leading Japanese cancer centers and hospitals. Nanuranlat 25 mg/m<sup>2</sup>/day or placebo was administered for 5 consecutive days followed by progression-free survival (PFS), overall survival (OS), and disease progression and biliary tract toxicity. **Results:** A total of 211 patients were randomized. Among these, 70 received nanuranlat and 141 received placebo. Nanuranlat demonstrated an improvement in PFS when compared with placebo (HR, 0.56; 95% confidence interval, 0.34-0.85; P = 0.002). Grade 1 or higher adverse events were reported in 30.0% and 22.9% of those in the nanuranlat and placebo groups, respectively. The overall survival was not statistically different between nanuranlat- and placebo-treated patients. An exploratory analysis of PFS in patients with 1 or 2 previous lines of systemic chemotherapy is ongoing.

CHOLANGIOCARCINOMA FOUNDATION WEBINAR SERIES

**UNDERSTANDING A PHASE 3 CLINICAL STUDY OF NANVRANLAT FOR ADVANCED BILIARY TRACT CANCER**

**SPEAKER**  
**Eric Rowinsky, MD**  
 Chief Medical Officer at Uniphar Development

**J-Pharma**  
 Cholangiocarcinoma

**Cholangiocarcinoma Foundation**  
**ウェビナー**  
**2026年4月**