

## Together we soar.

A JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. é uma empresa farmacêutica global especializada que está expandindo as possibilidades para pessoas com doenças raras e genéticas em todo o mundo. Continuamos a desenvolver nosso legado de 50 anos no Japão, enquanto expandimos nossa presença global na Europa, América Latina e Estados Unidos. Melhoramos a vida dos pacientes aplicando nossa expertise científica e tecnologias exclusivas para pesquisa, desenvolvimento e fornecimento de terapias de última geração.

## Nossos valores fundamentais são:

### 1. Colocando pessoas em primeiro lugar

Nossa comunidade é nossa prioridade. Pacientes, famílias, médicos e nossos funcionários estão no centro de tudo o que fazemos.

### 2. Traçando o nosso próprio caminho

Livres das convenções, criamos novas soluções que ninguém mais consegue criar.

### 3. Sempre avançando

Não ficamos parados. Nossa pesquisa continua desafiando os limites para proporcionar o melhor aos pacientes e suas famílias.

### 4. Comprometidos com a excelência

Oferecemos os mais altos padrões para nossos parceiros, pacientes e funcionários.

## J-Brain Cargo<sup>®</sup>



### A primeira tecnologia aprovada que atravessa a barreira hematoencefálica

Nossa tecnologia proprietária **J-Brain Cargo<sup>®</sup>** é a primeira plataforma aprovada que pode ajudar os medicamentos a atravessar a barreira hematoencefálica, permitindo uma administração direcionada inovadora.

### Indo além do cérebro

A **J-Brain Cargo<sup>®</sup>** permite a administração de medicamentos através da barreira hematoencefálica, ao mesmo tempo que atua em tecidos do corpo inteiro. Isso abre o potencial para tratar não apenas doenças do sistema nervoso central, mas também doenças oculares, cardíacas, musculares e muito mais.

## Localização dos escritórios

### Sede:

3-19 Kasuga-cho, Ashiya,  
Hyogo, 659-0021 Japão

### Kobe Science Park Center:

7-3-15 Ibukidai Higashimachi,  
Nishi-ku, Kobe, Hyogo, 651-2242 Japão

### Centro de Pesquisa Biológica:

1-5-4 Murotani, Nishi-ku, Kobe,  
Hyogo, 651-2241 Japão

### Instituto de Pesquisa:

2-2-9 Murotani, Nishi-ku, Kobe,  
Hyogo, 651-2241 Japão

### JCR EUA:

12544 High Bluff Drive,  
Suite 340, San Diego,  
CA 92130, EUA

### JCR Brasil:

Av. Dr. Chucuri Zaidan, 1649 – Torre B,  
24º Andar, Conj. 241/242 – Sala 2495  
Vila São Francisco / Zona Sul –  
CEP: 04711-130 / Condomínio: Eze Towers

### JCR Europe B.V.:

Bargelaan 200,  
2333 CW Leiden,  
Países Baixos



Material destinado a profissionais de saúde

Para mais informações, acesse:

→ [jcrpharm.com.br](http://jcrpharm.com.br) ✉ [sac@jcrpharm.com.br](mailto:sac@jcrpharm.com.br)

Copyright © 2025 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. Todos os direitos reservados

# Pipeline de Desenvolvimento

| Código<br>Nome genérico                      | Indicação<br>Pretendida                           | Pré-clínico | Ensaio clínico | Aplicação                       | Aprovação | Mecanismo                                                       |
|----------------------------------------------|---------------------------------------------------|-------------|----------------|---------------------------------|-----------|-----------------------------------------------------------------|
| <b>JR-141<sup>a</sup></b><br>alfapabinafuspe | MPS tipo II<br>(Hunter)                           |             |                | <b>Global Ph3<sup>a</sup></b>   |           | Iduronato-2-sulfatase penetrante na BHE (origem rDNA)           |
| <b>JR-171</b><br>lepunafusp alfa             | MPS tipo I<br>(Hurler, etc.)                      |             |                | <b>Global Ph1/2</b>             |           | a-L-iduronidase penetrante na BHE (origem rDNA)                 |
| <b>JR-142</b><br>redalsomatropina alfa       | Deficiência de hormônio do crescimento pediátrico |             |                | <b>Japão Ph3</b>                |           | Hormônio do crescimento humano de ação prolongada (origem rDNA) |
| <b>JR-441<sup>b</sup></b><br>posnafusp alfa  | MPS tipo III A<br>(Sanfilippo A)                  |             |                | <b>Global Ph1/2<sup>b</sup></b> |           | Heparan N-sulfatase penetrante na BHE (origem rDNA)             |
| <b>JR-446<sup>c</sup></b>                    | MPS tipo III B<br>(Sanfilippo B)                  |             |                | <b>Japão Ph1/2</b>              |           | α-N-acetilglucosaminidase penetrante na BHE (origem rDNA)       |
| <b>JR-471<sup>c</sup></b>                    | Fucosidose                                        |             |                | <b>Pré-clínico</b>              |           | α-L-fucosidase penetrante na BHE (origem rDNA)                  |

<sup>a</sup>Aprovado no Japão. <sup>b</sup>Alemanha: Ph1/2; Japão: Ph1. <sup>c</sup>Em parceria com a MEDIPAL HOLDINGS

## Marcos Recentes

- 2023
- Janeiro:** **JR-141** recebe a designação de doença pediátrica rara pela FDA para o tratamento da MPS tipo II
  - Junho:** A JCR recebe o 48º Prêmio Inoue Harushige para Terapias para Doenças de Armazenamento Lisossomal por uma tecnologia original de penetração da barreira hematoencefálica, juntamente com William M Pardridge, MD, Professor Emérito Distinto da University of Califórnia, Los Angeles
  - Outubro:** A JCR anuncia acordo de colaboração em pesquisa e licenciamento com a Alexion, AstraZeneca Rare Disease, sobre a descoberta de terapias de oligonucleotídeos usando a tecnologia J-Brain Cargo®
  - Outubro:** A JCR anuncia a administração da primeira dose a um paciente em um ensaio clínico global Fase 1/2 do **JR-441** para MPS tipo III A
  - Dezembro:** **JR-441** recebe a designação de medicamento órfão da FDA para o tratamento de MPS tipo III A
- 2024
- Março:** A JCR anuncia a conquista de um marco no uso da tecnologia J-Brain Cargo® para doenças neurodegenerativas em colaboração de pesquisa com a Alexion, AstraZeneca Rare Disease
  - Julho:** A JCR destaca a pesquisa inovadora em terapia gênica no 7º Fórum Internacional de Doenças Lisossomais
  - Julho:** A JCR e a MEDIPAL HOLDINGS anunciam a conclusão do processo de notificação de ensaio clínico no Japão para um ensaio clínico Fase 1/2 do **JR-446**
  - Outubro:** A JCR apresenta pesquisa pré-clínica em terapia gênica no 31º Congresso Anual da Sociedade Europeia de Terapia Genética e Celular
  - Outubro:** A JCR anuncia a administração da primeira dose a um paciente no ensaio clínico Fase 1 do **JR-441** para MPS Tipo III A no Japão
  - Dezembro:** **JR-441** recebe a designação de medicamento órfão do Ministério da Saúde, Trabalho e Bem-Estar do Japão para o tratamento da MPS tipo III A
  - Dezembro:** A JCR e a MEDIPAL HOLDINGS anunciam o primeiro paciente a receber a dose no ensaio clínico Fase 1/2 do **JR-446** para MPS tipo III B no Japão
- 2025
- Maio:** **JR-446** recebe a designação de medicamento órfão da FDA para o tratamento da MPS tipo III B
  - Maio:** A JCR apresenta pesquisa pré-clínica em terapia gênica na 28ª Reunião Anual da Sociedade Americana de Terapia Genética e Celular
  - Junho:** **JR-446** recebe a designação de medicamento órfão da Comissão Europeia para o tratamento da MPS tipo III B
  - Julho:** A JCR anuncia um acordo de licença com a Alexion, AstraZeneca Rare Disease, para as novas cápsides JUST-AAV proprietárias da JCR para desenvolver medicamentos genômicos
  - Julho:** A JCR e a Acumen Pharmaceuticals anunciam colaboração para desenvolver terapia para a doença de Alzheimer, possibilitada pela plataforma tecnológica J-Brain Cargo®

### Abreviações

**BHE**, barreira hematoencefálica; **FDA**, Administração de Alimentos e Medicamentos dos Estados Unidos; **MPS**, mucopolissacaridose; **rDNA**, DNA recombinante.

Material destinado a profissionais de saúde

Para mais informações, acesse:

→ [jcrpharm.com.br](http://jcrpharm.com.br) ✉ [sac@jcrpharm.com.br](mailto:sac@jcrpharm.com.br)

Copyright © 2025 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. Todos os direitos reservados



JCR do Brasil  
Farmacêuticos

100  
95  
75  
25  
5  
0