



JCR ファーマ株式会社

2021 年 3 月期決算説明会（プレゼンテーション）

2020 年 5 月 17 日

イベント概要

[企業名]	JCR ファーマ株式会社
[企業 ID]	4552
[イベント言語]	JPN
[イベント種類]	決算説明会
[イベント名]	2021 年 3 月期決算説明会（プレゼンテーション）
[決算期]	2020 年 通期
[日程]	2020 年 5 月 17 日
[ページ数]	32
[時間]	15:00 – 15:30 (合計：30 分、登壇：30 分)
[開催場所]	インターネット配信
[会場面積]	
[出席人数]	
[登壇者]	3 名
	代表取締役会長兼社長 芦田 信 (以下、芦田)
	執行役員 開発本部長 谷澤 和紀 (以下、谷澤)
	管理本部 経理部長 太田 義博 (以下、太田)

登壇

芦田：JCR ファーマ株式会社の芦田信でございます。本日は 2021 年 3 月期決算説明会の動画をご覧いただき、誠にありがとうございます。皆様におかれましては、平素より当社の格別のご理解とご支援を賜り、誠にありがとうございます。

本日の決算説明会は、2021 年 3 月期の決算概要と研究開発状況について、後ほど各担当者からご説明をいたします。

初めに、2021 年 3 月期の決算は、売上高、各利益ともに、期首の予想を大きく上回る結果となり、過去最高となりました。

次に、JR-141 に関しましては、日本において 3 月にイズカーゴとして製造販売承認を取得し、5 月 19 日に薬価基準収載され、販売を開始する予定です。これは、当社にとって大変重要なマイルストーンとなります。

JR-141 は、われわれの独自技術である J-Brain Cargo を適用した初めての医薬品です。日本で実施したフェーズ 1/2 試験で、4 週間から始まり、今日まで 100 週以上の長期投与結果により、安全性に問題がないということが確認できました。

これらの臨床試験の結果から、J-Brain Cargo は、現在開発中のライソゾーム病約 16 疾患についても良い結果が出ることを確信できました。また、臨床結果から、患者さんにとっても、患者さんの家族にとっても大変良い結果が得られました。

次に、JR-141 に関するライセンス契約についてお話しいたします。われわれが開発している JR-141 をはじめとする J-Brain Cargo を適用したライソゾーム治療薬は、グローバルでも販売することができる企業でないといけないと考え、契約締結に向けた交渉を継続して行っています。

交渉先とは、JR-141 だけではなく、他のライソゾーム病に関して J-Brain Cargo 技術を利用した医薬品開発に関しても、同時に交渉を行っています。また、世界でも患者数の少ない、例えばスライ症候群やサンフィリップ症候群のような疾患については、われわれがグローバル販売を行うことも検討しています。

次に、アストラゼネカ社のワクチン原液製造に関する件をお話しいたします。

ワクチン原液製造については、相当な人員を投入し、今年の初めから製造を行い、無事3月に出荷いたしました。このワクチン原液は、世界の10ヶ国以上の企業にライセンスをされており、われわれが製造した原液の品質について高い評価をいただいております。いまだ新型コロナウイルス感染拡大の収束が見えない中、1日も早く日本国内の安定供給に貢献できるよう、製造現場を中心に鋭意取り組んでまいります。

昨年5月に公表しました3ヶ年計画「変革」については、売上高や営業利益は予想を大きく上回るることになりますが、重要経営課題については引き続き取り組んでまいります。

最後に、来月開催予定の株主総会の取締役新体制および組織変更についてお話しいたします。

昨年、新たに就任いたしました取締役を含め、若い取締役が会社に新たな成長をもたらしていることを実感しています。会社の組織として、昨年に引き続き株主総会後に組織変更を実施いたします。当社はJ-Brain Cargoの次の基盤技術開発についても取り組んでおり、より長期的に成長するために必須であると考えております。

今、JCRは第2の創業だと思っています。これら若い経営層や社員が中心となって会社を牽引し、チームJCR一丸で挑戦し続けてまいります。今後とも皆様のご理解とご支援を賜りたく、よろしくお願い申し上げます。

通期実績
 (2021年3月期)

**売上高および営業利益、経常利益、当期純利益は
過去最高の数値・業績を達成**

売上高	: 30,085百万円 (前期比 +21.4%)
営業利益	: 8,269百万円 (前期比 +154.9%)
経常利益	: 8,488百万円 (前期比 +157.7%)
親会社株主に帰属する 当期純利益	: 6,892百万円 (前期比 +157.4%)

- 主力製品：グロウジエクト®および腎性貧血治療薬（エポエチンアルファBS、ダルベポエチンアルファBS 合計）はいずれも前期比増。
- 数量ベースでは、グロウジエクト®は9.8%増。
- 販管費に関し、コロナ禍をきっかけとした業務効率の見直しがあった一方、事業拡大期における人件費の増加などの要因により前期比13.1%増となった。研究開発費は効率的な研究開発を行った結果、前期比10.6%減少となった。

太田：管理本部経理部の太田と申します。2021年3月期実績ならびに2022年3月期予想につきましてご説明させていただきますので、よろしくお願い申し上げます。

まず、2021年3月期の概要につきまして、ご説明申し上げます。売上高、営業利益、経常利益、当期純利益は、いずれも過去最高を達成しております。

連結	2020年3月期 A	2021年3月期		参考 期初予想 (修正前)	
		B	前期比 (B-A)/A		
売上高	24,781	30,085	21.4%	27,200	
売上原価	7,901	7,812	△ 1.1%	6,800	
売上総利益	16,880	22,272	31.9%	20,400	
販売・一般管理費	7,638	8,643	13.1%	8,000	
研究開発費	5,997	5,360	△ 10.6%	6,400	
営業利益	3,244	8,269	154.9%	6,000	
経常利益	3,293	8,488	157.7%	6,000	
親会社株主に帰属する 当期純利益	2,678	6,892	157.4%	4,800	
対売上高	売上原価率	31.9%	26.0%	△ 5.9%	25.0%
	研究開発費率	24.2%	17.8%	△ 6.4%	23.5%
	営業利益率	13.1%	27.5%	+ 14.4%	22.1%
【ご参考】					
共同開発先による負担控除前の 研究開発費	6,582	5,856	△ 11.0%	7,600	

売上高につきましては300億8,500万円を計上しており、前期比21.4%の増加となっております。詳細につきましては、後ほどご説明させていただきます。

販売管理費合計につきましては、前期比2.7%の増加となりました。販売費、一般管理費につきましては、コロナ禍をきっかけとした業務効率の見直しがあった一方で、事業拡大期における人件費の増加などにより、前期比13.1%増の86億4,300万円となりました。

研究開発費につきましては、スケジュールは順調に進捗しておりますが、効率的な研究開発を行いました結果、前期比10.6%減の53億6,000万円にとどまりました。なお、研究開発費の対売上高比は17.8%となっております。

これらの結果、営業利益につきましては、前期比154.9%増の82億6,900万円、経常利益につきましては、前期比157.7%増の84億8,800万円、当期純利益につきましては、前期比157.4%増の68億9,200万円となりました。

なお、売上高、売上原価率は26.0%、前期比5.9ポイント改善。対売上高営業利益率は27.5%と、前期比14.4ポイント改善しております。

品目	2020年3月期		2021年3月期		
	A	構成比	B	構成比	前期比 (B-A)/A
グロウジェクト®	12,650	51.0%	13,256	44.1%	4.8%
腎性貧血治療薬	5,509	22.2%	7,087	23.6%	28.6%
エポエチンアルファ B S 注「JCR」	4,097	16.5%	3,278	10.9%	△ 20.0%
ダルベポエチン アルファ B S 注「JCR」	1,412	5.7%	3,809	12.7%	169.7%
テムセル® HS 注	3,126	12.6%	2,441	8.1%	△ 21.9%
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	317	1.3%	470	1.6%	48.2%
主力製品合計	21,602	87.2%	23,254	77.3%	7.6%
AZD1222 原液	—	—	404	1.3%	—
契約金収入	2,050	8.3%	6,406	21.3%	212.4%
その他	1,125	4.5%	18	0.1%	△ 98.3%
売上高合計	24,781	100.0%	30,085	100.0%	21.4%

続きまして、売上高の内訳につきましてご説明申し上げます。

まず、主力製品である遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン製剤グロウジェクトにつきましては、前期に4.8%増の132億5,600万円となりました。数量ベースでは9.8%の増となり、着実に増加しております。

もう一つの主力製品である腎性貧血治療薬につきましても、前期比28.6%増の70億8,700万円となりました。再生医療等製品テムセルにつきましては、2020年4月から在庫積み増しのため一部出荷制限を実施しましたため、前期比21.9%減となりましたが、ファブリー病治療薬アガルシダーゼベータにつきましては、前期比48.2%の増となりました。

また、アストラゼネカ社より受託しております新型コロナウイルスに対するワクチンの原液AZD1222原液につきましては、4億400万円の売上となりました。また、契約金収入は64億600万円と、前期比43億5,600万円増加しております。

以上により、売上高合計は、前期比21.4%増の300億8,500万円と、過去最高を達成いたしました。

(単位：百万円)

	2020年 3月末	2021年 3月末	主な増減		2020年 3月末	2021年 3月末	主な増減
流動資産	28,342	48,545	現預金 +15,287	流動負債	10,434	29,028	短期借入金 +7,970
			売掛金 +206	固定負債			圧縮未決算特別勘定 +3,828
			棚卸資産 +4,699	負債合計	4,761	6,199	長期借入金 +950
固定資産	19,433	25,238	有形固定資産 +2,297	純資産 合計	15,195	35,227	+20,031
			特許権 +2,988	負債合計	32,579	38,557	純利益など +5,977
合計	47,775	73,784	+26,008	合計	47,775	73,784	+26,008
設備投資	5,296	3,965		自己資本 率	66.6%	51.3%	

2021年5月17日に主な増減を一部訂正。訂正箇所は下線を付して表示。

Financial 4

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

続きまして、2021年度末の財務状態につきましてご説明申し上げます。

資産合計は、737億8,400万円と、前期比260億800万円の増加となりました。流動資産につきましては、現預金ならびに棚卸資産の増加などにより、前期比202億300万円増加しております。

なお、棚卸資産の主な増加要因といたしましては、コロナ禍におきまして、世界的に材料調達が困難な状況になりつつあることを踏まえ、早めの材料調達を行っていることが挙げられます。

固定資産につきましては、前期比58億500万円の増加となりました。これは、新型コロナウイルスワクチン原液の新工場建設用の土地取得ならびに米国ArmaGen社買収などによるものです。

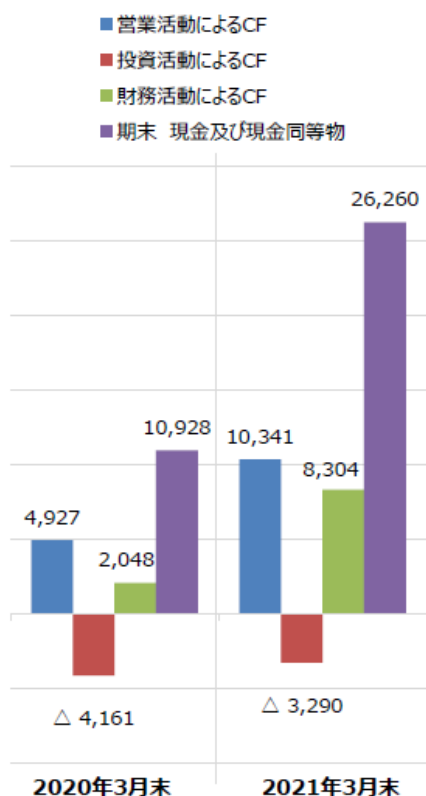
負債合計につきましては、新型コロナウイルス感染症が蔓延する状況を鑑みて、現金同等物残高を厚くすることを目的に、借入金を増加させたことが主な要因となり、前期比200億3,100万円増の352億2,700万円となりました。

なお、純資産につきましては、当期純利益の計上などにより、前期比59億7,700万円増の385億5,700万円となっております。



キャッシュフロー（連結）

（単位：百万円）



	2020年3月末 A	2021年3月末 B	増減 B-A
税金等調整前純利益	3,422	8,653	5,231
減価償却費	1,434	1,892	458
仕入債務	92	2,253	2,161
棚卸資産	258	△ 4,699	△ 4,957
その他	△ 280	2,241	2,521
営業活動によるCF	4,927	10,341	5,413
有価証券	668	147	△ 521
設備投資	△ 4,838	△ 4,780	58
その他	8	1,342	1,334
投資活動によるCF	△ 4,161	△ 3,290	870
借入金	3,200	9,420	6,220
配当金・自己株式	△ 973	△ 1,069	△ 96
その他	△ 177	△ 46	131
財務活動によるCF	2,048	8,304	6,255
期末現金及び 現金同等物	10,928	26,260	15,332

2021年5月17日に増減を一部訂正。訂正箇所は下線を付して表示。

Financial 5

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

続きまして、キャッシュフロー計算書の状況につきまして、ご説明させていただきます。

営業活動により得られたキャッシュフローは、前期比 54 億 1,300 万円増の 103 億 4,100 万円。投資活動により使用したキャッシュフローは、前期比 8 億 7,000 万円減の 32 億 9,000 万円。財務活動により得られたキャッシュフローは、前期比 62 億 5,500 万円増の 83 億 400 万円となりました。これらにより、期末現金同等物の残高は、前期比 153 億 3,200 万円増の 262 億 6,000 万円となりました。

以上が 2021 年 3 月期の業績につきましてのご説明でございました。

**業績予想
(2022年3月期)**

売上高 : 49,000百万円 (前期比 + 62.9%)
営業利益 : 18,700百万円 (前期比 +126.1%)
経常利益 : 18,700百万円 (前期比 +120.3%)
親会社株主に帰属する
当期純利益 : 13,300百万円 (前期比 +92.9%)

- 製品売上に関し、イズカーゴ®の販売を開始するほか、グロウジエクト®の販売数量の伸長による増収を予想
 - 営業体制の変更 (2020年10月/2021年6月予定) により、各製品において、より効果的・効率的な情報提供活動を展開。
 - 成長ホルモン領域において、電動式デバイスという特性を生かした治療満足度の向上による差別化。
 - イズカーゴ® (IZCARGO®)
日本：2021年5月薬価基準収載見込み
- またライセンス事業への積極的な取り組み、およびAZD1222原液製造が大きく寄与し、売上高は62.9%増を予想。
- 以上より、販管費および研究開発費の増加を吸収して、営業利益は126.1%の増益を予想。
 - 販管費35.4%増
 - 研究開発費92.2%増

続きまして、2022年3月期の業績予想につきましてご説明させていただきます。

当期のトピックスといたしましては、ハンター症候群治療薬イズカーゴの販売を開始するほか、ライセンス事業への積極的な取り組み、およびAZD1222原液製造が業績に大きく寄与することが見込まれます。

一方で、主にライソゾーム病治療薬関連の研究開発の進捗によりまして、研究開発費は前期比92.2%増の103億円と、大きく増加することを見込んでおります。また、販売費・一般管理費につきましても、事業拡大の中で増加が見込まれ、前期比35.4%増の117億円を計画しております。



2022年3月期 予想

(単位：百万円)

連結	2021年3月期 A	2022年3月期(予) B	増減 B-A	増減率 (B-A)/A
売上高	30,085	49,000	18,915	62.9%
売上原価	7,812	8,300	488	6.2%
売上総利益	22,272	40,700	18,428	82.7%
販売・一般管理費	8,643	11,700	3,057	35.4%
研究開発費	5,360	10,300	4,940	92.2%
営業利益	8,269	18,700	10,431	126.1%
経常利益	8,488	18,700	10,212	120.3%
親会社株主に帰属する 当期純利益	6,892	13,300	6,408	92.9%

対 売 上 高	売上原価率	26.0%	16.9%	△ 9.10%
	研究開発費率	17.8%	21.0%	3.20%
	営業利益率	27.5%	38.2%	10.70%

(ご参考)

共同開発先による負担控除前の 研究開発費	5,856	11,080	5,223	89.2%
-------------------------	-------	---------------	-------	-------

Financial 7

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

これらの結果、売上高は前期比 62.9%増の 490 億円、営業利益は前期比 126.1%増の 187 億円、経常利益は前期比 120.3%増の 187 億円、当期純利益は前期比 92.9%増の 133 億円と、大幅な増収増益を計画しております。

品目	2021年3月期		2022年3月期 (予)		増減 (B-A)
	A	構成比	B	構成比	
グロウジェクト®	13,256	44.1%	13,900	28.4%	644
腎性貧血治療薬	7,087	23.6%	6,400	13.1%	△ 687
エポエチンアルファ B S 注「JCR」	3,278	10.9%	2,700	5.5%	△ 578
ダルベポエチンアルファ B S 注「JCR」	3,809	12.7%	3,700	7.6%	△ 109
テムセル® HS 注	2,441	8.1%	3,200	6.5%	759
アガルシターゼ ベータ B S 点滴静注「JCR」	470	1.6%	800	1.6%	330
イズカーゴ®	0	0.0%	2,800	5.7%	2,800
主力製品合計	23,254	77.3%	27,100	55.3%	3,846
AZD1222 原液	404	1.3%	14,700	30.0%	14,296
契約金収入	6,406	21.3%	7,200	14.7%	794
その他	18	0.1%	0	0.0%	△ 18
売上高合計	30,085	100.0%	49,000	100.0%	18,915

続きまして、品目別売上高の2022年3月期の予想につきましてご説明させていただきます。

主力製品であるグロウジェクトにつきましては、営業体制の変更により、各製品においてより効率的、効果的な情報提供活動を展開し、また電動式デバイスという特性を活かした治療満足度の向上により差別化を図ることにより、販売数量の伸長を図ってまいります。

その結果、当期比6億4,400万円増の139億円を計画しております。

一方、腎性貧血治療薬につきましては、前期比6億8,700万円減の64億円を計画しております。

また、テムセルは、前期比7億5,900万円増の32億円、アガルシターゼベータは、前期比3億3,000万円増の8億円を計画しております。イズカーゴにつきましては、今月2021年5月、薬価基準収載見込みでありまして、28億円の売上高を計画しております。

また、AZD1222原液につきましては、147億円の売上高を計画しております。契約金収入につきましても、当期比7億9,400万円増の72億円と、増収を計画しております。

以上、2021年3月期実績ならびに2022年3月期予想につきまして、ご説明させていただきました。ありがとうございました。



研究開発ニュースリリースハイライト（期間：2020年11月-2021年3月）

- 2020年
- 10月：JR-171 グローバル第1/2相臨床試験 1例目への投与開始 
 - 12月：JR-142 第2相臨床試験の治験計画届受理
 - 12月：JR-141 ブラジル連邦共和国での製造販売承認申請 
 - 12月：アストラゼネカとの新型コロナウイルスワクチン原液の国内製造に関する業務請負契約締結
- 2021年
- 1月：新研究拠点「バイオリサーチセンター」稼働
 - 2月：JR-141（パピナフスプ アルファ）
米国におけるグローバル臨床第3相試験開始承認 
 - 2月：JR-141（パピナフスプ アルファ）
米国食品医薬品局よりファストトラック指定 
 - 2月：JR-171 米国食品医薬品局よりオーファンドラッグ指定 
 - 3月：JR-031EB「テムセル®HS 注」の表皮水疱症に対する適応拡大 開発中止
 - 3月：遺伝子組換えムコ多糖症II型治療剤「イズカーゴ® 点滴静注用 10 mg」
（開発番号：JR-141）製造販売承認取得 
 - 3月：JR-171 欧州医薬品庁よりオーファンドラッグ指定 

Copyright © 2021 JCR Pharmaceutical Co., Ltd. All rights reserved.

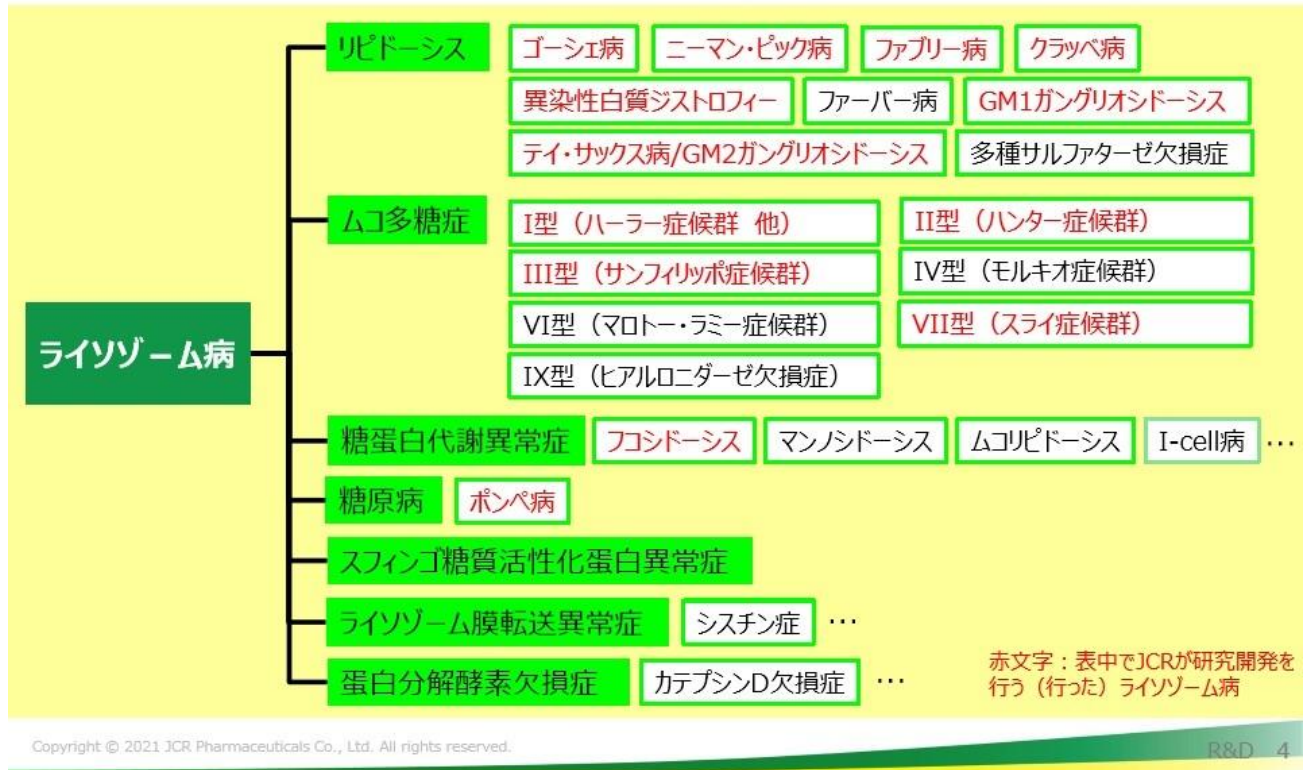
R&D 2

谷澤：開発本部の谷澤でございます。私から、研究開発の進捗についてご説明を申し上げます。

最初に、ニュースリリースのハイライトをお示ししております。大きな点としましては、イズカーゴが3月に製造販売承認を取得いたしました。またJR-171、ハーラー症候群の治療酵素ですけれども、こちらに関しましても第1相試験の進捗が順調に進んでおります。

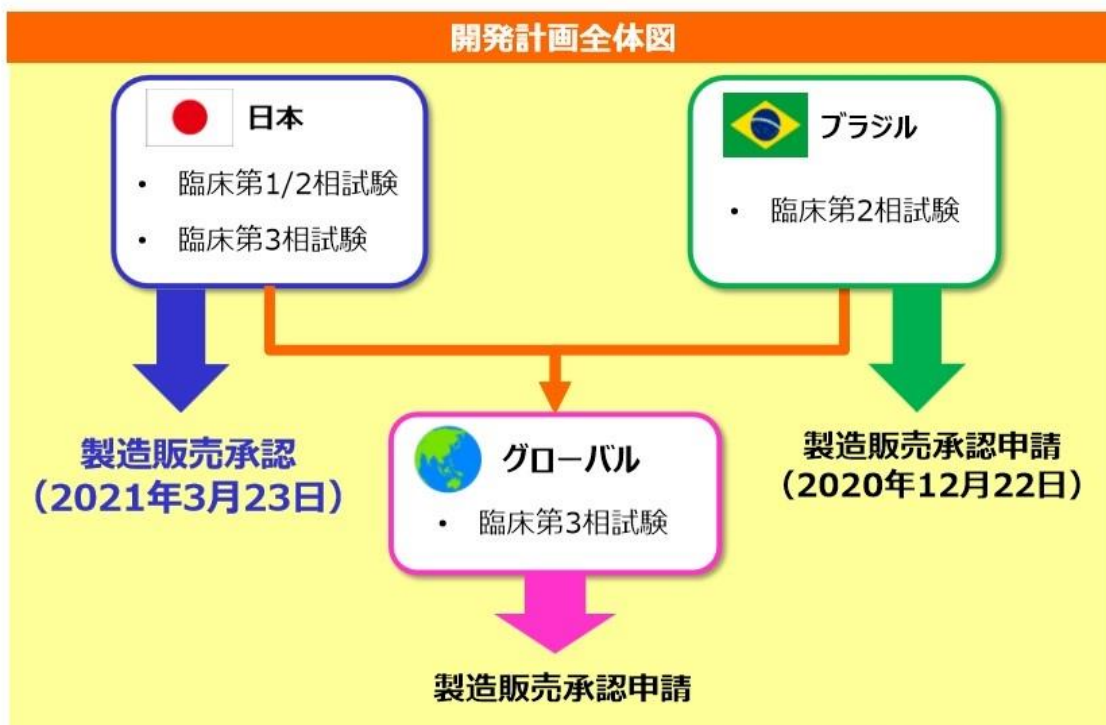
JCR Pharmaceuticals ライソゾーム病とは

指定難病および小児慢性特定疾病に指定されている**先天代謝異常症**の一種。
 ライソゾーム内の分解酵素の働きが弱い、または酵素がないため、本来分解されるべき物質が体内に蓄積してしまう希少疾病。働きの低下した酵素の種類によって蓄積する物質や症状が異なる。



まず、JR-141 の開発状況についてご説明を申し上げます。ライソゾーム病とは、先天代謝異常症の一種でございます。その蓄積する基質によりまして、リポドーシスやムコ多糖症であったり、糖原病といった分類がされております。

JR-141 の対象となっておりますのが、ムコ多糖症Ⅱ型のハンター症候群でございます。JR-171 に関しましては、Ⅰ型のハーラー症候群を対象といたしております。



こちらに JR-141 の開発全体像をお示ししております。

日本にしましては、臨床第 1/2 相試験と国内の第 3 相試験を実施いたしまして、先日承認取得となりました。ブラジルにしましては、第 2 相試験を実施して、現在、製造販売承認申請を行っているところでございます。

今後、グローバルの第 3 相試験を実施していくのですが、今年の 2 月にすでに IND の受理ということで、FDA からレターを受領しておりますので、現在は開始に向けて準備を進めているところでございます。



JR-141 臨床試験

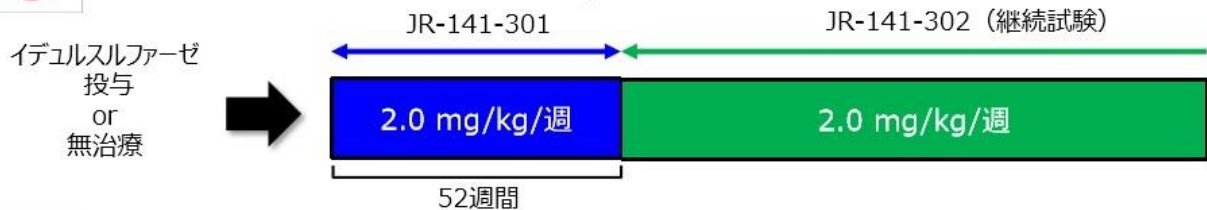
JR-141

イズカーゴ® (日本における製品名)

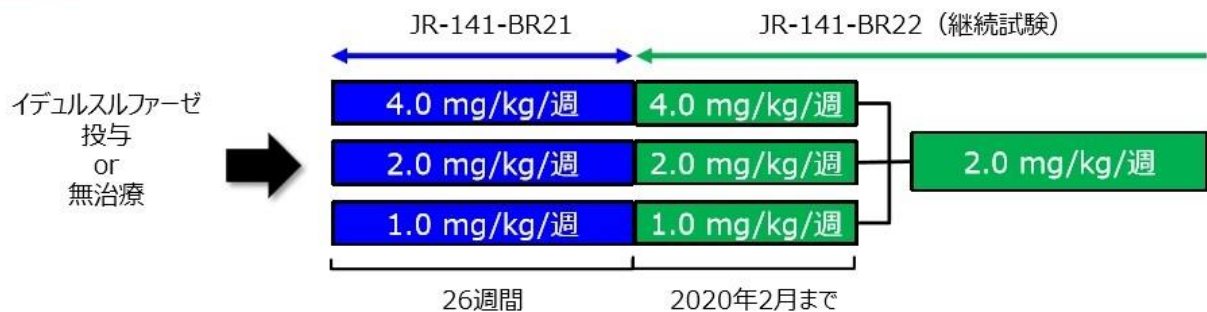
パビナフスプ アルファ (血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ)



国内臨床第3相試験 (JR-141-301/302) : 試験概要



ブラジル臨床第2相試験 (JR-141-BR21/BR22) : 試験概要



Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

R&D 6

こちらに、臨床試験の全体像をお示ししております。

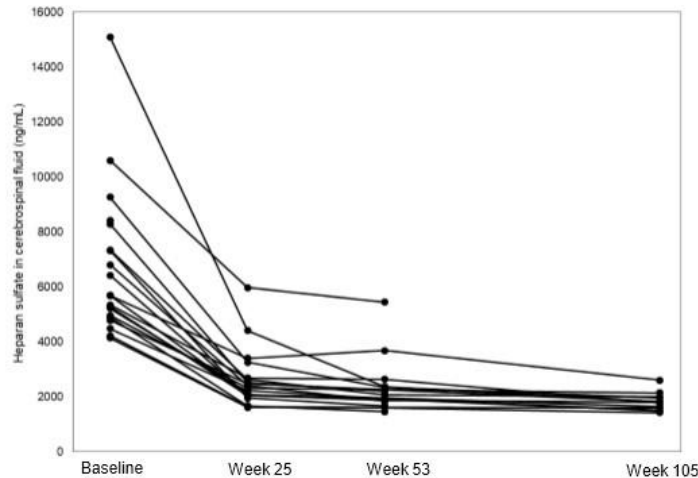
国内の第3相試験は非常にシンプルな形になっておりまして、承認用量であります2mg/kg/週を用いて現在も投与が継続されております。

ブラジルに関しましては、1mg、2mg、4mgの3用量の検討を行いまして、最終的に有効性、安全性の観点から、2mgを選択いたしまして、こちらにも投与が継続されているところでございます。



国内臨床第3相試験・継続試験（JR-141-301/302）：結果

➤ CSF中HS濃度の経時的推移（重症型）



➤ JR-141投与53週後又は105週後のCSF中の基質濃度は全被験者で減少したことから、JR-141がBBBを通過し、中枢神経系において基質分解作用を長期的に発揮することを確認

次のスライドから、データについてお示しを申し上げます。

まず、こちらにお示ししておりますのが、脳脊髄液中のヘパラン硫酸の濃度の経時的推移でございます。このデータは重症型に限っております。

ご覧いただきますように、52週間、1年間にかけて、すべて全例でヘパラン硫酸の減少が認められました。

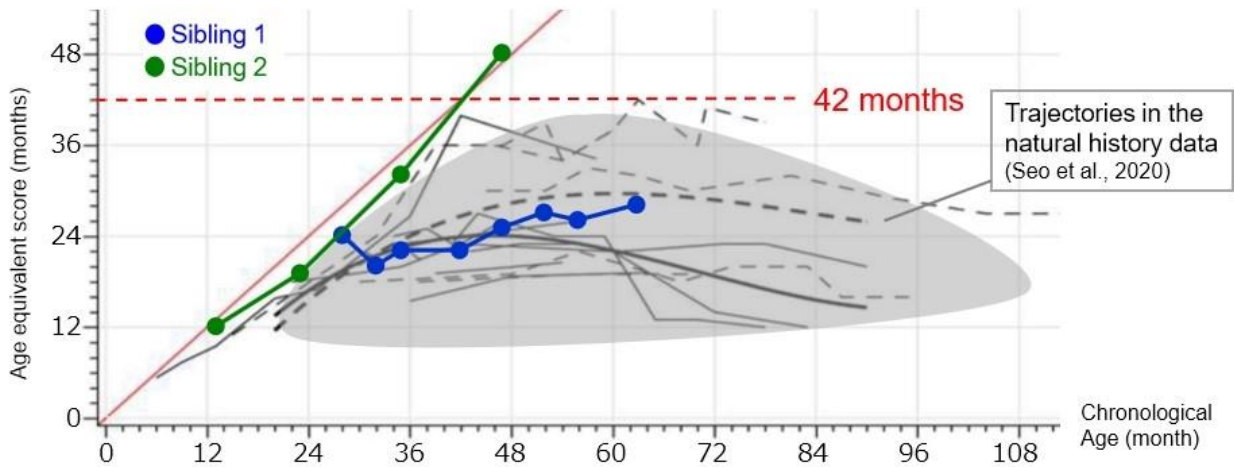
また、2年間の投与を終了しているデータもございますので、そちらを見ますと、52週からさらに減少している例も認められますし、また52週の段階で十分に下がっている被験者に関しましては、その濃度を推移していると。そのまま2年後も推移しているということがご覧いただけるかと思えます。

われわれが考えておりますのは、このヘパラン硫酸の濃度を、attenuateの、軽症型のレベルまで維持することが非常に重要でございます。このデータを見ていただくと分かりますように、JR-141は長期的にヘパラン硫酸を抑えていくことができるということが申し上げます。



国内臨床第3相試験・継続試験 (JR-141-301/302) : 結果

➤ 兄弟例における発達年齢の変化



➤ ムコ多糖症Ⅱ型における早期診断・早期治療の重要性を示すとともに、BBB通過型の酵素補充療法の有効性を示唆

ヘパラン硫酸を低値に抑えていくことの重要性ということで、このスライドをお示しいたしております。この緑のラインが、JR-141 の治療をだいたい1歳11ヶ月ぐらいで始められた患者さんの発達の推移を示しています。

現在、患者さん、48ヶ月で4歳になっているのですけれども、ご覧いただきますように、発達年齢も48ということなので、正常な発達を継続されています。この患者さんのヘパラン硫酸のレベルは2,000未満となっておりますので、やはりヘパラン硫酸のレベルを非常に低い値で維持していくところが、治療上重要なポイントであるということが申し上げます。

この青い線は、この患者さんのお兄さんのデータです。

この方に関しましては、既存の酵素治療を受けられていた患者さんです。後ろにグレーで示しておりますのが、重症患者さんのナチュラルヒストリーと。自然歴ということになりますので、やはり2歳ぐらいのところから発達の鈍化が見られまして、JR-141 の治療を受けられた弟さんとは違った発達の推移を示しているということが申し上げます。

この点から、やはり治療といえますのは、早期診断・早期治療が非常に重要なポイントであるということを示唆したいと思います。



JR-141 臨床試験 (ブラジル)

JR-141

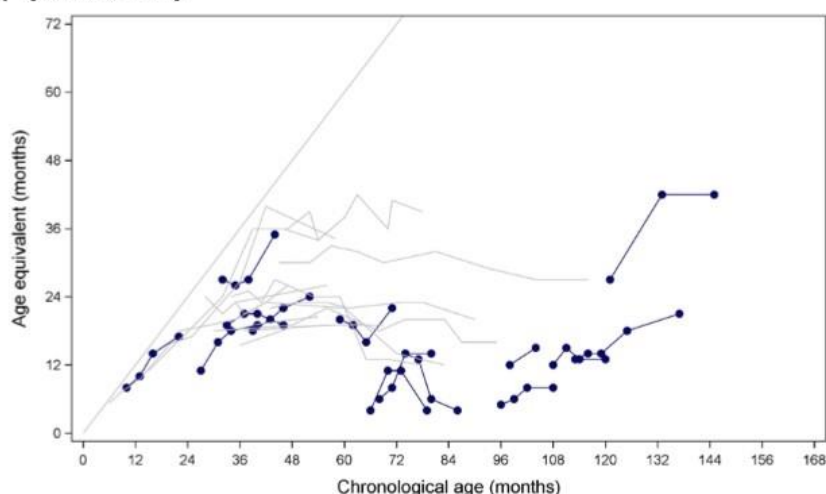
イズカーゴ® (日本における製品名)

パピナフスプ アルファ (血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ)



ブラジル臨床第2相試験・継続試験 (JR-141-BR21/BR22) : 結果

➤ 発達評価 (BSID-III)



➤ 発達評価の維持または改善が認められたことから、JR-141がムコ多糖症Ⅱ型の中樞神経症状を改善する可能性を示唆

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

R&D 9

続きまして、こちらも発達ですけれども、ブラジルの試験における長期的な発達の推移ということでこちらにお示しをしております。

こちらの試験では、Bayley-IIIという発達の質問票を用いまして、発達年齢の評価を行いました。このBayley-IIIといえますのは、ムコ多糖症あるいはライソゾーム病の中で発達を評価する上でのスタンダードな質問票となっています。

ご覧いただけますように、早期の年齢ですね。5歳未満、あるいは5歳以上、10歳以上のいずれの年齢群におきましても、発達年齢の改善または維持というところが明確に認められていることが読み取れるかと思えます。

また、強調申し上げたい点としまして、次に実施しますグローバル第3相試験は、72ヶ月未満の患者さんのリクルートを考えております。用いる質問票はBayley-IIIでありまして、こちらも主要

評価項目の中に組み込んでおります。ですので、この結果といいますのが、将来の第3相試験の結果の一つ予想になる点ということでも重要だということ、強調申し上げたいと思います。



JR-141 臨床試験 (グローバル)

JR-141

イズカーゴ® (日本における製品名)

パビナフスプ アルファ (血液脳関門通過型 遺伝子組換えエズロン酸-2-スルファターゼ)



グローバル臨床第3相試験 (JR-141-GS31) : 試験概要

実施予定国 : 米国、ブラジル、欧州 (ドイツ、フランス、イギリス)

目的 : 中枢神経症状および全身症状に対する有効性を示す

試験概要 :
 • **2コホート 標準治療薬対照並行群間比較試験**
 • 組み入れ被験者数 : 計50人 (男性)

	対象	標準治療群	JR-141投与群	試験期間
CohortA	<ul style="list-style-type: none"> • Neuronopathic patients • 月齢36-71でIQ 55-75 • 月齢30-35で遺伝子変異型があり重症例と判断 	15人	15人	105週
CohortB	<ul style="list-style-type: none"> • Attenuated patients • 6歳以上 IQ 70以上 	10人	10人	53週

主要評価項目 :
 • 脳脊髄液 (CSF) 中ヘパラン硫酸 (HS) 濃度、中枢神経症状 (認知)
 • 全身症状 (肝脾容積、6分間歩行試験)

試験詳細 : [Clinical Trials.gov Identifier : NCT04573023](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04573023)

R&D 10

では、ここからグローバル第3相試験の試験概要について、ご説明を申し上げます。

実施予定国は、米国、ブラジル、欧州ドイツ、フランス、イギリスとなっております。大きな特徴としましては、この試験は二つの Cohort がございます。一つは、Neuronopathic patients を対象とした Cohort A、Attenuated patients を対象とした Cohort B というのがございます。トータルで50名の患者さんのリクルートを考えておまして、対象群も設定いたします。

重要な点として、主要評価項目ですけれども、こちらは単一の主要評価項目を設定はしておりません。脳脊髄液中ヘパラン硫酸の濃度と、中枢神経症状の評価、また全身症状の評価といった複数の項目を評価していく予定としております。



JR-141 臨床試験 (グローバル)

JR-141

イズカーゴ® (日本における製品名)

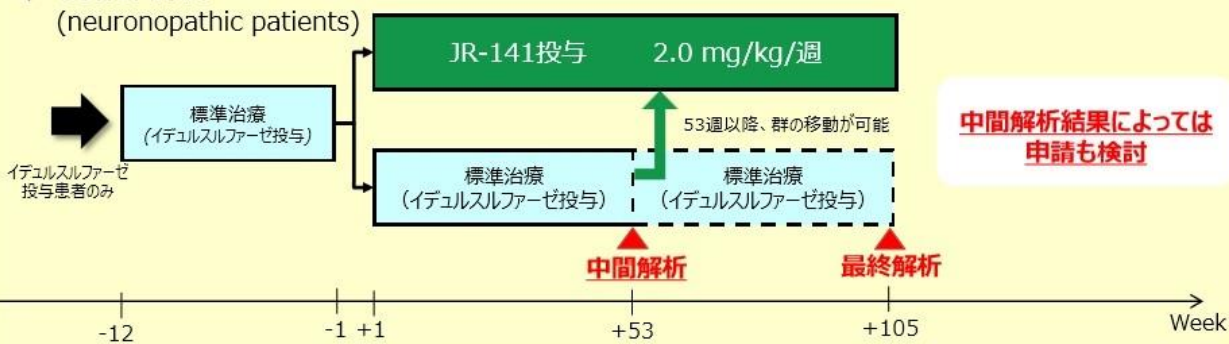
パピナフスプ アルファ (血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ)



グローバル臨床第3相試験 (JR-141-GS31) : 試験概要

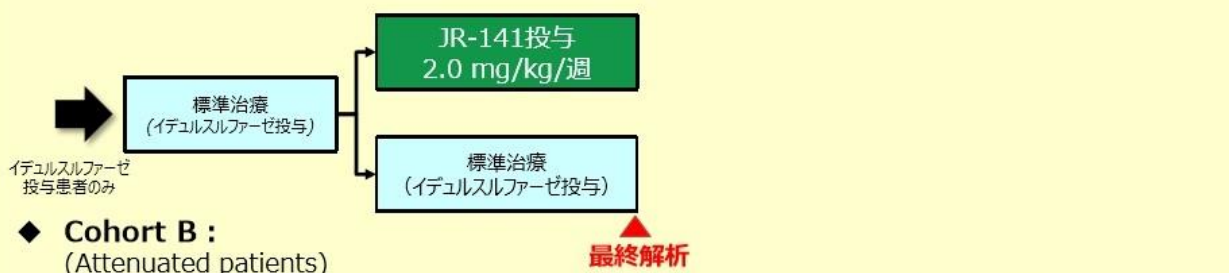
◆ Cohort A :

(neuronopathic patients)



◆ Cohort B :

(Attenuated patients)



こちらに試験デザインを示しております。

先ほどご説明申し上げましたとおり、Cohort A は Neuronopathic patients を対象として、2 年間の試験を予定しています。Cohort B は軽症型の患者さんで、1 年間の試験です。

いずれも中間解析を 1 年間のところで置いておりますので、先ほどご説明しました主要評価項目を対象群と比較して検討するというのを、この中間解析の段階で実施します。

その結果によりましては、申請というところも考えたいと思います。



JR-141 開発状況

JR-141

イズカーゴ® (日本における製品名)

パピナフスプ アルファ (血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ)



欧州

- 2019年2月に欧州医薬品庁よりオーファンドラッグに指定



日本

- 2018年3月に厚生労働省より、「先駆け審査指定制度」の対象品目に指定
- **2021年3月23日に製造販売承認取得**
- **2021年5月薬価基準収載予定**



米国

- 2018年10月に米国食品医薬品局よりオーファンドラッグに指定
- 2021年2月に米国医薬品局よりファストトラックに指定



ブラジル

- **2020年12月に製造販売承認申請**



2021年度にグローバル臨床第3相試験を開始予定

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

R&D 12

こちらが世界的な開発状況を示しております。

先ほど申しましたように、日本は3月に製造販売承認を取得いたしました。また、5月には薬価収載を予定しております。

ブラジルに関しましては、昨年12月に申請を行いまして、現在もANVISAとディスカッションを行っているところでございます。予定どおりでありましたら、2021年、グローバル第3相試験というのはもうすぐ開始できると思います。

JR-171 血液脳関門通過型 遺伝子組換え α -L-アイズロニダーゼ

適応症 : **ムコ多糖症I型（ハーラー症候群、ハーラー・シャイエ症候群、シャイエ症候群）**

患者数*1 : 約60人（日本）、約3,600人（WW）

市場規模*2 : 約16億円（2019年/日本）、約280億円（2019年/WW）

疾患概要 : ムコ多糖を体内で分解する酵素（ α -L-iduronidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。幅広い症状があるなか、既存の治療酵素製剤は血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経症状に対し効果が期待できないことが重大な課題となっている。

*1 患者数：厚生労働省研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

● **JR-171グローバル開発状況**

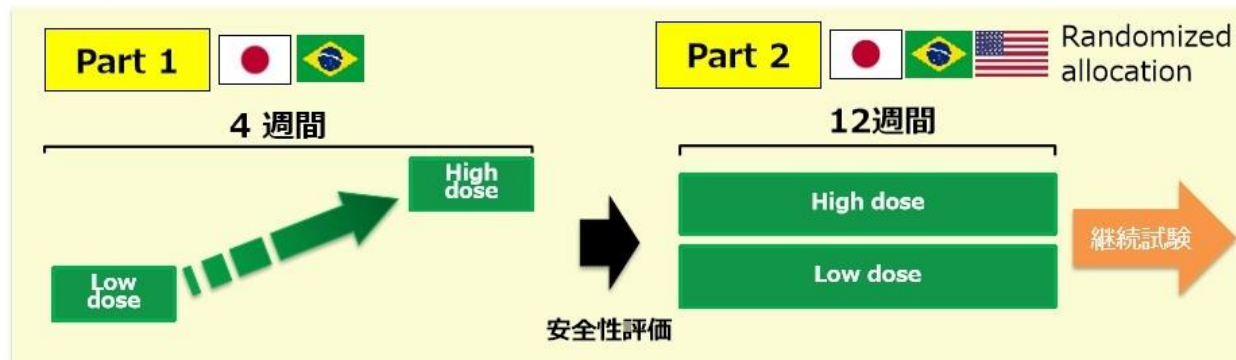


それでは、次に JR-171 の開発状況について、ご説明を申し上げます。

この JR-171 は、ムコ多糖症 I 型、ハーラー症候群を対象とした治療薬でございます。今期、オーファンドラッグの指定もすでに受けておりますし、臨床第 1/2 相試験というのが順調に推移しておりますので、その内容についてご説明を申し上げます。

JR-171 血液脳関門通過型 遺伝子組換えα-L-アミノグリセロール

グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101) : 試験概要



	Part1	Part2
主要評価項目	安全性	
副次評価項目	血漿中薬物動態 中枢神経症状および全身症状に対する探索的有効性	
目標組み入れ被験者数	19人	
試験実施国	日本・ブラジル	日本・ブラジル・米国
試験詳細	clinicaltrials.gov (Identifier : NCT04227600)	

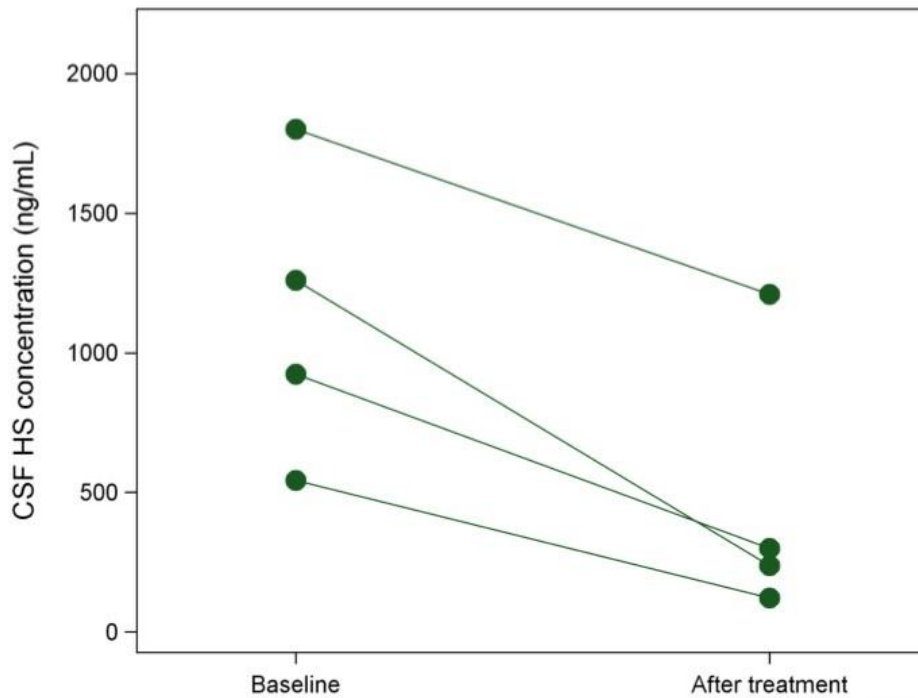
こちらがグローバル第 1/2 相試験の試験概要になります。

Part 1 と Part 2 の二つに分かれておりまして、Part 1 では、用法用量の安全性の検討を行いまして、今後 Part 2 で、Low dose、High dose のより長期的な検討を行います。PK/PD プロファイルなどをこの試験で確認をしましてまいりました。すでに Part 1 が終わっておりまして、ヘパラン硫酸のデータが得られておりますので、次のスライドでお示しをしたいと思います。



グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101) : 結果

Part 1(N=4)



Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

R&D 16

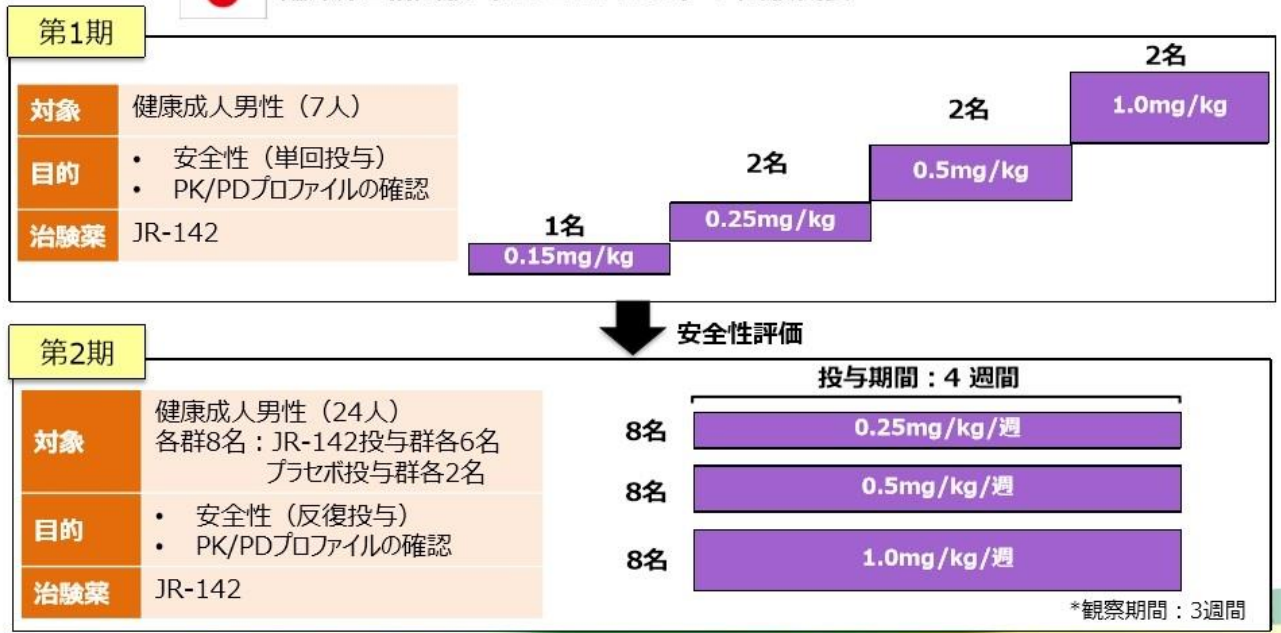
こちら、見ていただいたら分かりますように、全例で4週間の検討の下で、ヘパラン硫酸の減少が確認されました。また、その平均をとりますと、60%以上の減少が確認されておりますので、われわれが当初期待していた結果が、この試験で得られたと思います。

ですので、この次に Part 2 でより長期的なヘパラン硫酸の変化を見ていくとか、臨床的な有効性を検討するということが、今後必要な検討になっていくかと思えます。

JR-142 遺伝子組換え持続型成長ホルモン

適応症 : 小児成長ホルモン分泌不全性低身長症
 技術特徴 : 独自の改変型アルブミンを融合させることにより、
 バイオ医薬品の血中半減期を大幅に延長させる技術を開発 (特許出願済)

臨床第1相試験 (JR-142-101) : 試験概要



続きまして、JR-142 です。長期作用型の、持続型の成長ホルモンの開発進捗についてご説明を申し上げます。

こちらは、適応症は小児成長ホルモン分泌不全性低身長ということで開発を進めております。技術は独自の改変型アルブミンを用いたものになりまして、こちらは JCR 研究所で開発をした技術ということになります。

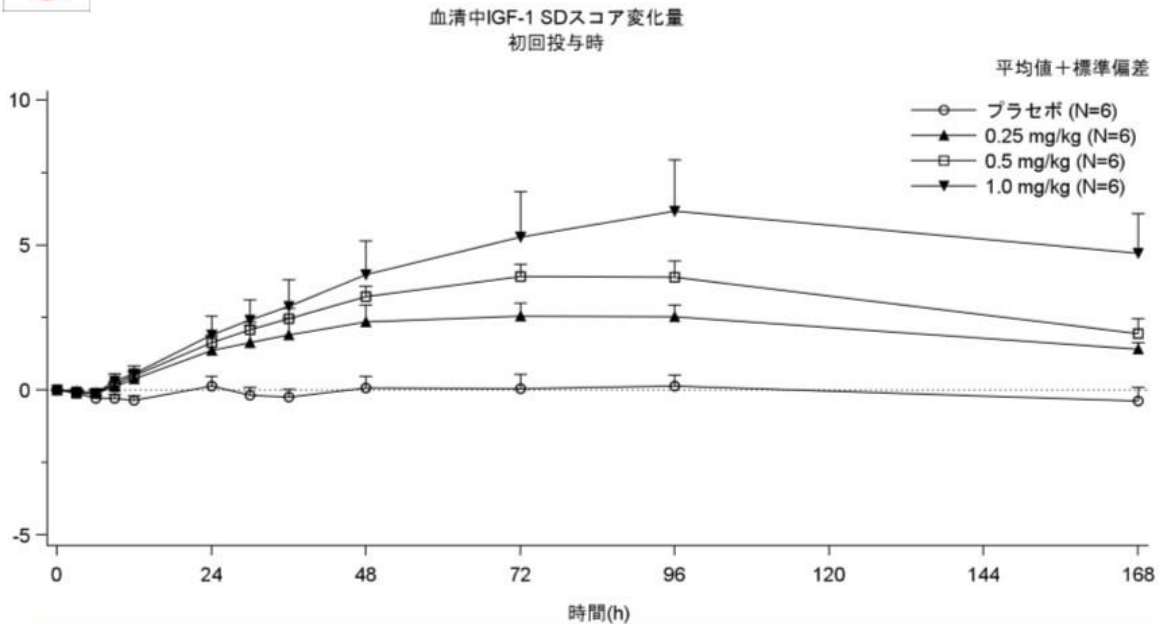
すでに、第1相試験です。健康成人を対象とした第1相試験が終わっておりますので、その結果についてお話しを申し上げたいと思います。

第1相試験は安全性と PK/PD のプロファイルを見る試験になっておりますので、第1期でこのように dose を上げていくフェーズと、4週間の継続的な投与するフェーズに分かれております。

JR-142 遺伝子組換え持続型成長ホルモン



臨床第1相試験 (JR-142-101) : 結果



- 用量依存的なPKパラメータと薬力学マーカーの増加が確認された
- 異常所見等は認められなかった

成長ホルモンの治療で非常に重要なポイントといたしますのは、バイオマーカーであります IGF-1 の上昇というところがございます。IGF-1 が上昇することによって、成長に対して寄与するということが分かっておりまして。

ただ、この IGF-1 を上げていくことが一番重要ということではなくて、上がり過ぎることも少し気をつける必要がございます。ですので、上がり過ぎず、下がり過ぎずというか、いいところでキープをしていくところが、非常に治療方針としては重要ですけども、

このデータ、見ていただいたら分かりますように、非常にきれいな用量依存的な IGF-1 の増加が認められておりまして、1 週間の結果を見ているのですけれども、次の試験で用法用量を検討するのに非常に十分なデータが得られたと考えています。

この結果をもちまして、現在、患者さんを対象とした第 2 相試験の準備を進めているところでございます。

JR-142 遺伝子組換え持続型成長ホルモン

● 臨床第2相試験 (JR-142-201) : 試験概要



対象	骨端線閉鎖を伴わない小児成長ホルモン分泌不全性低身長症 (小児GHD)
目的	<ul style="list-style-type: none"> PK/PDプロファイルの確認 JR-142各用量群における成長促進効果の比較検討・用量選択 (対照：グロウジェット投与群) 安全性の比較検討 (対照：グロウジェット投与群)
デザイン	多施設共同、非盲検、無作為割付、並行群間比較試験
症例数	24名 (各群8名)
治験薬	JR-142 / グロウジェット ※いずれもオートインジェクターにて投与
試験詳細	jRCT(Identifier : jRCT2031200372)

こちらは、今準備を進めております第2相試験の試験概要です。

対象群として、連日投与のグロウジェットを設定しまして、長期作用型の治療には、低用量、高用量という形で2群設定しています。今月5月に第1症例目の投与を予定しております。評価項目は身長ということになります。

この剤に関しましては、非常に多くの先生方から期待をいただいておりますので、その契約の下で、24名のリクルートというものを予定しております。



その他の開発パイプライン (ライソゾーム病)

JCRが取り組むライソゾーム病治療薬の開発ステージ

	既存薬あり (WW)	既存薬なし (WW)
製造販売承認申請	JR-141 ムコ多糖症II型 (ハンター症候群) ★	★ : 17th Annual WORLD Symposium™2021 で発表
臨床試験	JR-171 ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群 他) ★	
前臨床	JR-162 ポンベ病 ★	JR-441 ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリップ症候群A型) ★
製法検討	JR-443 ムコ多糖症VII型 (スライ症候群)	JR-446 ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリップ症候群B型) ★ GM1 ガングリオシドーシス フコシドーシス
動物モデルでの薬効確認	ニーマンピック病 ゴージェ病 バッテン病 遅発乳児型 (CLN2)	バッテン病 乳児型 (CLN1) 異染性白質 ジストロフィー クラッペ病 α-マンノシドーシス
基礎研究		テイサックス病

Copyright © 2021 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

R&D 22

続きまして、その他のライソゾーム病治療薬の開発についてお話しを申し上げます。

JR-141、JR-171 は順調に臨床のステージに進んでおります。次の日の品目としましては、JR-162 でありますとか、JR-441、III型の治療薬ということになります。また、ムコ多糖症VII型、III型等の他の品目も控えておりますので、JR-141 によって J-Brain Cargo の技術が確立されたという背景を踏まえまして、開発を1日でも早く進めていきたいと考えております。

今後の想定タイムライン (ライソゾーム病)

*2022年以降は現時点での予定

	2021年	2022年	2023年	2024年
JR-141 Pabinafusp alfa (Δコ多糖症II型)	日本：薬価収載・発売 ブラジル：製造販売承認申請済み グローバル：臨床第3相試験開始			
JR-171 (Δコ多糖症I型)	グローバル：臨床第1/2相試験 (実施中)		臨床第3相試験開始	
JR-441 (Δコ多糖症IIIA型)	非臨床試験 (実施中)	臨床第1/2相試験開始		
JR-162 (ポンペ病)	非臨床試験 (実施中)		臨床第1/2相試験開始	
JR-443 (Δコ多糖症VII型)	非臨床試験 (実施中)		臨床第1/2相試験開始	
JR-446 (Δコ多糖症IIIB型)	非臨床試験 (実施中)		臨床第1/2相試験開始	

こちらに想定タイムライン、記載しております。

変更はございませんので、JR-441 に関しましては、来年に 1/2 相試験の開始を目指しております。また、JR-162、JR-443、JR-446 に関しましても、2023 年には臨床に入っていきたいというふうな計画をしております。



今後の想定タイムライン（成長ホルモン領域）

*2022年以降は現時点での予定



今後の想定タイムライン（細胞治療・再生医療等製品）

*2022年以降は現時点での予定



先ほど申しましたように、成長ホルモン関連につきましては、JR-142 が第2相試験に進捗しております。

また、グロウジェットの適用拡大のプロジェクトであります SHOX 異常症を対象とした JR-401X に関しましては、すでに第3相試験のリクルートを終わって、今、経過を観察しているところがございますので、試験が終了次第、製造販売承認申請を行う予定としております。

その他、再生医療等製品につきましては、JTR-161 が臨床第1/2相試験を本年に終了いたします。また、JR-031HIE につきましては、今後1/2相試験の終了とともに、今後の当局への申請の相談を進めていく予定としております。

私からの説明は、以上となります。ありがとうございました。

[了]

脚注

1. 音声不明瞭な箇所については[音声不明瞭]と記載

免責事項

本資料で提供されるコンテンツの信憑性、正確性、完全性、最新性、網羅性、適時性等について、当社は一切の瑕疵担保責任及び保証責任を負いません。さらに、利用者が当社から直接又は間接に本サービスに関する情報を得た場合であっても、当社は利用者に対し本規約において規定されている内容を超えて如何なる保証も行うものではありません。

本資料または当社及びデータソース先の商標、商号は、当社との個別の書面契約なしでは、いかなる投資商品（価格、リターン、パフォーマンスが、本サービスに基づいている、または連動している投資商品、例えば金融派生商品、仕組商品、投資信託、投資資産等）の情報配信・取引・販売促進・広告宣伝に関連して使用をしてはなりません。

本資料を通じて利用者に提供された情報は、投資に関するアドバイスまたは証券売買の勧誘を目的としておりません。本資料を利用した利用者による一切の行為は、すべて会員自身の責任で行っていただきます。かかる利用及び行為の結果についても、利用者自身が責任を負うものとします。

本資料に関連して利用者が被った損害、損失、費用、並びに、本資料の提供の中断、停止、利用不能、変更及び当社による本規約に基づく利用者の情報の削除、利用者の登録の取消し等に関連して会員が被った損害、損失、費用につき、当社及びデータソース先は賠償又は補償する責任を一切負わないものとします。なお、本項における「損害、損失、費用」には、直接的損害及び通常損害のみならず、逸失利益、事業機会の喪失、データの喪失、事業の中断、その他間接的、特別的、派生的若しくは付随的損害の全てを意味します。

本資料に含まれる全ての著作権等の知的財産権は、特に明示された場合を除いて、当社に帰属します。また、本資料において特に明示された場合を除いて、事前の同意なく、これら著作物等の全部又は一部について、複製、送信、表示、実施、配布（有料・無料を問いません）、ライセンスの付与、変更、事後の使用を目的としての保存、その他の使用をすることはできません。

本資料のコンテンツは、当社によって編集されている可能性があります。