

JCRファーマ株式会社
2021年3月期決算説明会 主な質疑応答（要約）

- Q1：JR-141を含めた技術のJ-Brain Cargo®提携について、現在交渉継続中でありマイルストーンは2021年3月期には入っておらず、今期に含まれているということでしょうか。
- A1：JR-141の提携については、ご指摘いただいたとおり交渉の段階であり従来と変更はない。今期決算における契約金収入の詳細は非開示だが、一定部分を含めている。
- Q2：提携の契約締結が何度か延期になっている。前回はコロナという理由があったが、まだ締結に至らない要因があるか。また、締結時期の予定は？
- A2：過去、交渉の各段階において、その時点における適切な内容を説明申し上げてきた。提携交渉の中で現段階で特段の支障はないということは申し上げられる。これまで注力してきた品目のグローバルにおける交渉であり、大切に扱いながら交渉を行っている。締結時期は非開示とさせていただきたい。
- Q3：JR-141提携交渉について、JR-141の価値を最大化できるパートナーを探しており、あわせてJ-Brain Cargo®の価値を引き出せるよう交渉していると理解している。一方、JR-441等については自社で海外販売体制構築を目指しているというコメントがあったが矛盾はないのか。
- A3：JR-141の価値最大化が可能なパートナーと具体的に実現に向けて交渉を続けている。JR-441等の自社展開の可能性については、グローバル化を行っていく中でライセンスアウトだけを絶対条件とするのではなく、対象疾患の特性を含め条件に応じた適切なビジネス展開を考えていきたいという趣旨であり、矛盾があるとは考えていない。
- Q4：中期経営計画で示された数字をほぼ達成できるというコメントがあったが、これは今期のみということではなく今後も続くということでしょうか。
- A5：中計の数値目標について、一年早くガイダンスを達成する見込みだが、株主様の負託にこたえるために対前年比で売上高・利益が増えるような経営努力をしている。現段階で来年度の予想数値の詳細を開示することはできないが、そのような趣旨で取り組んでいる。
- Q5：JR-141に加えJ-Brain Cargo®技術のグローバル展開も一つの選択肢ということか。その中でJR-441等をどのように扱うかは、契約内容次第でいろいろな選択肢があるということでしょうか。
- A5：そのような趣旨で差し支えない。
- Q6：研究開発費について2022年3月期は大幅増であるが、乖離が生じる可能性はあるのか。また、来期以降の見通しは？契約金収入にはライセンス締結による影響を一定の部分を織り込んでいると説明があったが、研究開発費は相手方負担により減るといった可能性はあるか？また、来期以降、AZD1222原液の収入が大きく減少するとした場合、研究開発費が20%を大きく超えて売上

利益を圧迫する可能性はあるか？

A6：2022年3月期の研究開発費については、ある程度の精度をもって織り込んでいるので、この範囲に収まると考えている。来期以降の見込みは開示できないが、中期経営計画で示した20%が目安となる。そこから大きく外れることがあるかは明言できない。

Q7：グローバル提携について。スライ症候群やサンフィリップ症候群など患者数が少ない疾患については自社展開を検討しているということだが、単独開発・販売ということなのか、パッケージでライセンスを締結する中でコプロモーションの権利を確保するというものなのか。

A7：様々な選択肢を想定しており、自社で全て展開する、相手方に一部分をお願いするという選択肢もある。現段階で確定しているものはない。

Q8：JR-171のデータについて、患者4名のデータを見るとベースラインの脳脊髄液（CSF）中のヘパラン硫酸（HS）濃度がJR-141と大きく異なる。JR-171の場合、ベースラインから60%程度減少しているが、中枢神経症状の改善を期待できるレベルと理解してよいか。また、ハーラー症候群においてベースラインのHS濃度の数値はあるか？

A8：JR-141、JR-171の対象疾患はいずれもムコ多糖症であるが、HS濃度の情報は今後蓄積することが必要である。特に、ハーラー症候群については当社の測定系で初めて得たヒトのデータなので、現段階で二つの疾患のデータを単純比較することは難しい。また、今回のPart1にエントリーした患者さんは比較的軽症であり、被験者背景の違いも考慮する必要がある。Part2で重症型の患者がエントリーすることで、ハーラー症候群におけるCSF中のHS濃度の意義が明らかになると考える。

Q9：今回のJR-171のデータは、中枢神経症状の改善を期待できるという結果と理解してよいか。

A9：全例でCSF中のHS濃度において60%の減少が認められたというのは、中枢に作用し、ライソゾームにしっかり働いたというエビデンスになっていると考える。

Q10：JR-141のグローバル臨床第III相試験について、「中間解析結果によっては申請を検討」とあるが、順調にいった場合、どのくらいの時期に申請すると見込まれるか。

A10：申請時期は、試験期間（投与期間）としての一年間と、患者さんのリクルート期間をみて考えることになる。現段階でリクルート期間を正確にお伝えすることは難しい。

Q11：グローバル臨床第III相試験については、来年後半ごろに中間解析結果が明らかになるということはあるか？

A11：最後の患者がエントリーした後、53週間投与し、その後解析して発表となる。

Q12：アストラゼネカ社（以下、AZ社）のワクチンについて、仮に製造販売承認が見送りになったとしても業績インパクト（下方修正）はないと考えてよいか。

A12：ワクチン原液についてはAZ社との契約に基づき売上見通しを立てており、製造販売承認の有無によって変動するとは捉えていない。

Q13：JR-141のグローバル臨床第III相試験について、中間解析結果で申請できる条件は？また、患

者の組み入れが終わった旨は開示していただけるか。

A13 : 日本の臨床試験において、バイオマーカーをプライマリーエンドポイントで評価し、発達とあわせて試験結果が認められて製造販売承認を得た。グローバル臨床第 III 相試験では、バイオマーカーだけでなく発達の改善を評価し、かつ、対照群との比較を求められている。組み入れ終了後のアナウンスについては検討する。

Q14 : J-Brain Cargo® 導出に関して外部からは見えにくい状態である。適時開示項目に相当すると考えるため、契約金が入った場合等については固有名詞が入った形で適時開示していただけるか。

A14 : JR-141 のライセンスが締結された場合、しかるべきタイミングで適切な内容を開示する。

Q15 : JR-141 のブラジルでの臨床第 II 相試験の結果について、日本の結果では 8 歳以上では発達年齢は維持または減少であったと記憶している。ブラジルでは 8 歳以上で上昇している被験者がいるように見える。これらの患者の HS 濃度との関係性はどうか。

A15 : はっきりとした要因は申し上げられない。治療環境の違いなどもあるかもしれない。ブラジルで得た結果は発達年齢での評価であるが、日本の試験で用いた発達評価項目において言語等において改善が認められた患者もいるので、矛盾があるとは考えていない。HS 濃度と行動学的な改善は相関していると考えている。個別のデータは今後開示することになる。

Q16 : JR-141 のグローバル臨床第 III 相試験について、2021 年 3 月期中に開始できるということだったが、現段階で始まっていない。その理由は提携交渉と関係があるか。契約交渉如何に関わらず始まると理解してよいか。

A16 : 契約交渉の内容と治験の開始は関係ない。開始が当初示した時期からずれている点としては、2 月に FDA (米国食品医薬品局) から IND 受理の連絡を受けているが、多少詰める部分が残っていることや医療機関との契約時期などの精査により時期がずれた。

Q17 : JTR-161 について、2022 年から臨床第 III 相試験と記載されているが、臨床第 I/II 相試験で良好な結果がでたということか。現段階でどの程度の期待をもってよいか。

A17 : JTR-161 の臨床試験は帝人ファーマ社で実施しており、当社側から回答は差控えさせていただく。

Q18 : JR-171 の臨床データについて、4 名のうち 1 人だけ CSF 中の HS 値のベースラインが高いが、この 1 名は他の 3 名に比べて違いはあるか。

A18 : 短い投与期間の検討であること、ベースラインでの CSF 中の HS 値にはバリエーションがあるので、現段階では評価は難しい。

Q19 : AZ ワクチン原液について、例えば、日本以外の地域に向けて原液を供給するシナリオはありえるか。

A19 : AZ ワクチンは、国によって公募された緊急整備事業の中で認められていると承知している。当社はその枠組みの中で原液を製造しているので、現段階で国外に向けての供給は想定していない。

Q20 : AZ が国から受ける助成金を用いて工場を建設する件につき、財務処理はどうなるのか。

A20 : 2021 年 3 月期決算短信の連結貸借対照表中の負債の部「圧縮末決算特別勘定」にて計上している。

Q21 : JR-141 のブラジルでの申請について、今期の売上ガイダンスには含まれているのか。

A21 : 申請中であり今期中に承認されると見込んでいるが、今期ガイダンスには含まれていない。

Q22 : JR-142 について、JCR 独自の技術ということだが他社競合品との差別化ポイントは何か。

A22 : 現在、複数社が対象となる疾患は異なるが開発している。差別化ポイントを直接比較はできないので難しいが、有効性、安全性の両面で調整が求められる中で、IGF-I の調節がしやすいという点を期待できる。加えて、電動デバイスという点も優位性となりうる点を他社との優位性として検討していく。

Q23 : ワクチン原液新工場の製造能力、タンクの大きさは。

A23 : ワクチン原液新工場の概要については現段階で開示できない。

Q24 : 2022 年 3 月期の契約金収入のガイダンスは 72 億円だが、前期はグローバル提携を含め期初予想 42 億円だった。開発が進捗している点からグローバル提携による収入は昨年度と比較して増額していると考えてよいか。

A24 : イズカーゴの経済的価値は年々上がってきたと考えている。そのような状況を踏まえて交渉している。2022 年 3 月期の契約金収入の内訳について開示はしないが、一定の期待値を織り込んでいる。

Q25 : 販売・一般管理費について、86 億円から今期の予想を 117 億円と増加するが、これはブラジルでの販売体制構築に要する費用か。それ以外によるものなのか。

A25 : ブラジル体制強化に要する費用は大きく見込んでいない。現在、当社は成長局面にあるため、効率化等に対する投資を含んでいる。今後のワクチン等に要する人員の増加、管理を織り込んだ費用となっている。

Q26-1 : ワクチン原液製造について、技術的にかなりハードルの高い案件であったと思うが、うまくいった要因は何か。

A26-1 : このワクチンは細胞を培養してワクチンを得るというものである。これまでの当社の研究開発品目と方法論がよく似ていたということだと考える。また、当社でも遺伝子治療技術のノウハウを蓄積しており、それを活用することができたという点が挙げられる。

Q26-2 : 規制当局からの後押しもあったと理解してよいか。

A26-2 : モノづくりという点においては当社自身の責任においてやり遂げた。

Q27 : 次の基盤技術の構築というコメントがあったが、どのようなモダリティであるか。

A27 : 現時点では具体的には申し上げられない。時期がくれば開示するが、当社のターゲットである希少疾患、たんぱく、遺伝子、再生医療等製品という方針には変わらない。その発展形と考えて

ほしい。

Q28：ワクチン関連で計上されている今期 147 億円について、製造販売承認見送りのインパクトはないとのことだが、承認が遅れる事により製造が遅延し、2023 年 3 月期にずれ込むということはあるか。また、今期は営業利益率見込みが高いが、これはワクチンによるものか。

A28：ワクチンの承認可否、あるいはタイミングにより決算数字が変わると見込んでいない。品目別の利益率は開示していない。

Q29：JR-141 提携について、昨年度には 2021 年度 3 月期に契約見込とされていた。契約締結時期や交渉先が複数社なのかを示して欲しい。

A29：契約締結時期は差控えさせていただく。交渉は鋭意続けている。契約交渉の相手先として、5 社や 10 社と契約交渉をしているわけではない。

Q30：ワクチン原液製造について、現在製造している工場を用いて追加で発注が入った場合、どの程度対応できるか。

A30：工場の生産能力については開示していない。

Q31：腎性貧血治療薬について、エポエチン、ダルベポエチン共に売上減少との見込みだが、競合環境によるものか。

A31：腎性貧血治療薬についてはキッセイ薬品工業株式会社が販売担当であり、当社からは回答できない。販売計画について薬価は加味しているが競合の影響はないと考えている。

【注意事項】

本資料に記載の内容は、フェアディスクローズの観点から、J C R ファーマ株式会社 2021 年 3 月期決算説明会の質疑をもとに、当社の文責により趣旨を要約（順序不同・補足・補正）したものであり、その情報の正確性・完全性を保証するものではなく、今後予告なく変更される可能性があります。なお、本資料に記載されている業績見通しや将来予測などに関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績は経済情勢等、様々な不確定要因により、これらの予測数値と異なる場合があります。