



2021年10月6日

JCRファーマ株式会社
2021年10月 臨時カンファレンスコール
ご挨拶内容と主な質疑応答（要約）

◆ご挨拶<代表取締役会長兼社長 芦田信>

皆さんこんにちは。JCRファーマの芦田でございます。本カンファレンスにご参加いただき誠にありがとうございます。

さて、我々JCRは9月30日に武田薬品工業株式会社（以下、武田薬品）とハンター症候群に対する次世代治療薬の共同開発と事業化に向けた契約を締結いたしました。JR-141の導出契約については長い時間を要しましたが、複数の会社からのオファーがあって交渉を行い、その中で最終的に武田薬品と契約をいたしました。様々な条件でのオファーがありましたが、武田薬品と契約することがJR-141をグローバルに届けるには一番良い相手であろうと思っています。また、我々が考えていた以上の内容でJR-141の導出契約ができたことは、JCRにとって非常に素晴らしいことだと思っています。我々のJ-Brain Cargo[®]という技術は1種類ではなく、様々なバリエーションを持っています。このJ-Brain Cargo[®]を初めて適用したJR-141はグローバル展開できるステージにまで来ました。できるだけ早く武田薬品と臨床開発を進め、JR-141をグローバルのハンター症候群の患者の皆さんに届けたいと思っています。これを機に、今後、その他のライソゾーム病15疾患の開発品目についても他社への導出や、ウルトラレアな疾患の場合には自社販売など、様々な選択肢を検討し進めていきたいと考えています。今後ともよろしくお願ひ申し上げます。

◆主な質疑応答（要約）

- Q1 : 業績予想に関し、売上高、各利益は30億円上方修正されている。今回のディールと関係していると思うが、もともと予想に入っていなかった分があったので上方修正となったのか、もともと入っていたが、さらにディールが大きかったのか。上方修正との関係性についてイメージをつかみたい。
- A1 : 上方修正については、期初に見込んでいた契約金72億円を結果的に通期で上回るということが想定されたため、売上高・各利益で+30億円の上方修正を行った。契約金内容については非開示。
- Q2-1 : 契約の詳細は開示されないことは理解しているが、J-Brain Cargo[®]技術をベースにJR-141だけでなく色々導出することも志向していたと伺っていた。となると、当初の想定と比べると形態が違うようにも思える。今後の提携において、その他の品目についてもまず武田薬品と協議するのか。考え方を示してほしい。
- A2-1 : 今回の契約はハンター症候群治療薬JR-141に限ったものであり、他の開発品目についての導出は今回の契約には含まれていない。現状、First Refusal Rightのようなものを締結していることもない。他品目については様々な企業との協業あるいは自社展開を検討していく。

- Q2-2 : つまり今回のディールとは独立したものであるけれども、武田薬品が他品目の導出先候補となることを否定するものではないということでしょうか。
- A2-2 : その理解でよい。
- Q3-1 : 武田薬品との関係について、リリースに「武田薬品はグローバル PhIII 試験完了時に事業化について独占的ライセンスを得る」とある。なぜ、オプション権なのか。米国での開発・承認・販売は製品価値を高めるうえで重要だが、両社の思惑についてお聞きしたい。
- A3-1 : 米国におけるオプション権の理由について、当社と武田薬品の間で各地域・国での事業展開について十分に精査・協議を行った結果である。詳細については非開示。
- Q3-2 : 武田薬品は Shire 社の開発品目を手掛けていると記憶しているが、武田薬品の製品の兼ね合いがあるためオプション権なのか。仮に武田薬品がオプション権を行使しなかった場合は、自社展開をするのか、さらに他社導出を検討するのか。
- A3-2 : あくまで米国についてはオプション権であり、仮に行使されなかった場合は当社の判断となる。
- Q3-3 : 双方にとって不利益にならないようなことを双方で検討するということがよいのか。
- A3-3 : 他社導出・自社展開など様々な選択肢を検討することとなる。
- Q4-1 : JR-141 の展開には武田薬品がベストとのことで確かにそうだろうと思う。では、それ以外のライソゾーム病開発品目の展開について考え方をお聞きしたい。自社展開の可能性も言及していたが、他社提携よりも自社展開に考えが傾いているということでしょうか。包括提携を考えられていた時期もあったと記憶する。今回のイズカーゴの提携において開発費用の大部分を JCR で負担することになると思うが、リソース面や収益のバランスの上で、他の開発品目の展開をどのように考えているか。
- A4-1 : 開発費、人的リソース等当社のみで負担できないものもある。当社自身で販売していくものは、例えば患者数の極端に少ない疾患などは候補となるだろう。ある程度の患者数が見込まれる場合、他社と提携し、共同開発か販売提携かなどを考えていきたい。
- Q4-2 : 患者数がかかなり少ない、ある程度いる、というところの基準はあるか。例えば、スライ症候群はかなり少ない部類だろう。サンフィリップ症候群 B 型やハーラー症候群の場合はどうか。
- A4-2 : 閾値を明確に持っているわけではない。また、患者の数だけで決めるのではなく、開発のしやすさ、血液脳関門透過性など複数の要因がある。それらを複合的に加味して自社展開・他社提携を考えているが、基本的な考えとして、患者さんにいち早く届く方法を探していることに変わらない。
- Q5 : 提携のタイミングとして、他の開発品目は早ければ早いほうがいいのか、ある程度後期のほうがいいのか。
- A5 : 開発品目による。既存薬の有無、ヒトでの PoC の取りやすさなど複数の要因がある。ケースバイケースである。

- Q6 : 短期的・長期的な収益バランスの観点で、ワクチン関連の収入がどうなるかわからないが、来期はいったん減益ということも十分あると思うがその理解でよいか。
- A6 : ワクチン原液製造については今後どうなるかはわからないが、仮にそれがゼロであれば来期減益の可能性もある。開発品に関して、患者数の多いものについてはできるだけ早くライセンスの交渉を始めていきたい。
- Q7-1 : 武田薬品は既存薬のほか、後継品の開発も行っている。こういった提携は独占禁止法に抵触しないのか。
- A7-1 : その点については当社でも認識している。まず今回の提携については独占禁止法上の許諾は不要と判断している。米国での事業展開については主体となる武田薬品に確認してほしい。
- Q7-2 : つまり欧州の展開については独占禁止法を考慮する必要はないが、米国については考慮する必要があるということか。
- A7-2 : 独占禁止法の規制については米国に限らず欧州についても認識している。これまで両社で十分に検討したうえで、今回の提携に至っている。
- Q8-1 : なぜこのタイミングでの提携だったのか。過去数年、提携のガイダンスがある中で遅れてきた経緯がある。欧州、米国の展開はもう少し後であることを考えると、なぜ、この時期だったのか。
- A8-1 : 契約締結に至る詳細は申し上げることはできないが、JR-141を国内ですでに上市しており、できるだけ早くグローバルの患者さんに届けるということを実現するために交渉を行ってきた。
- Q8-2 : 薬剤をいち早くマーケットに届けるという意味では、例えば今年の締結と来年の締結でどのような違いがあるのか。
- A8-2 : 今年と来年で大きな違いは結果的にはないかもしれない。今回提携したことにより、両社の協議を早く開始することで早く準備を開始することができる。
- Q9 : 米国においてグローバル試験の成功確度はかなり高いと考えているが、武田薬品がこの時点でライセンス契約をすることを躊躇した要因は何かあるのか。
- A9 : 武田薬品側が躊躇、あるいは逡巡しているというようには理解していない。
- Q10 : JR-141 のグローバル試験がうまくいった場合、既存薬とのポジショニングはどうか。
- A10 : 当社は回答する立場にない。
- Q11 : 包括ではなく JR-141 単体での提携となったことについて。武田薬品は Denali 社とも提携しており、領域は違うものの武田薬品側のスタンスについては、同じ血液脳関門通過領域、かつ、Denali 社は米国でライソゾーム病領域の開発も行っている。JR-141 単体の提携は武田薬品側のリスクヘッジということなのか。

- A11 : 武田薬品側の評価であり、当社は回答する立場にない。
- Q12 : JR-141 以外の J-Brain Cargo[®]適用の開発品目について、患者数の多いものについてはできるだけ早く交渉を開始したいということだが、どこまで自社で行ってどこから提携を行うというラインはあるか。
- A12 : 明確なラインはない。交渉相手と協議の中で決定していく。
- Q13 : 次の導出は単体となるのか、包括となるのかも協議の中で決定されるのか。
- A13 : その通り。武田薬品とは JR-141 だけということで交渉を行い締結に至った。今後の交渉でどうなるかはわからないが、現段階ではひとつずつと考えている。
- Q14 : 武田薬品がベストパートナーというイメージはあるが、JR-141 に限らず今後のグローバル展開を進めるうえで、経済面以外のリターンとして何を期待しているか。
- A14 : 患者団体との関係、保険償還など様々な面で当社にない経験、知識を武田薬品が有している。その逆もしかりだが、臨床から販売に至るところを武田薬品と組むことで迅速に進められるし、当社もいろいろな知見を得ることができると期待している。
- Q15 : 次以降のライセンスについて、自社単独でできる比重も増えていくということを期待してよいか。
- A15 : ケースバイケース。ムコ多糖症 II 型以外のライソゾーム病であれば、患者会など異なるネットワークが必要になるし、測定すべきバイオマーカーも異なってくる。今回の提携によって今後につながるものは多く得られることを期待している。
- Q16 : ブラジルの事業展開については今回の提携でどうなるか。
- A16 : 今回の提携にブラジルも権利範囲に含まれている。今後どのような事業展開を行っていくかは具体的に両社で協議を行う。
- Q17 : 日本での販売実績や PhIII 試験のデータが出てきたときに、患者さんや医師からみたときに既存薬より JR-141 のほうが明らかに優れているという評価が確立すれば、武田薬品は積極的に JR-141 を拡販するだろうと想像する。一方で、一長一短というような評判であれば、武田薬品からすると既存薬は自社品であるのに対し、JR-141 はそうではない。収益性がかなり変わる可能性がある。そのときに、既存薬の継続的な費用と JR-141 への切り替え、武田薬品がどちらに力を入れるかを考えると、JCR にとって不利にならないような仕組みは契約に含まれているか。
- A17 : 契約内容については回答できないが、既存薬と比較して JR-141 の持つメリットがどのように構築されるかという質問と捉えた。今後実施する PhIII 試験では対照群を設定している。また市販後を含め製造販売後臨床試験を現在 2 本行っており、長期のデータも得られる。これらの中でメリットを出していきたい。
- Q18 : オプション権行使のタイミングについて教えてほしい。PhIII 試験の解析のタイミングはいくつかあるが、オプション権を行使ができる・しなければならないタイミングはどこに設定

されているのか。

A18 : 契約内容の詳細にかかわるので非開示。

Q19 : 独占禁止法について。現状の契約については抵触しないということだが、米国についての販売にのみ独占禁止法との関係を考慮する必要があると理解しているがどうか。

A19 : 米国に限らず各国において同様の法規があると理解している。具体的な事業展開に関わることであり当社が回答する立場にない。

Q20-1 : 今回、売上高、利益ともに上方修正しているが、期初想定よりも良い条件だったということか。

A20-1 : 期初見込み 72 億円の契約金収入には一部含めていたが、詳細は申し上げられない。契約金の内訳は開示しておらず詳細は非開示だが、結果として上方修正となった。

Q20-2 : 想定していた提携の範囲が期初よりも広がっていたか。

A20-2 : 契約内容の詳細にかかわるので非開示。

Q21 : オプション権についてグローバル PhIII 試験完了後で行使のタイミングは非開示とのことだが、行使されずに武田薬品側に保持されるということがない契約となっているか。

A21 : 契約詳細となるため非開示。

Q22 : 契約金について期初予想の 72 億円を上回ったということだが、現時点で上回ったのではなく、通期を通して上回るという理解でよいか。

A22 : その理解でよい。

Q23 : 武田薬品は既存薬を販売しているが、自社製品で利益率が高いと想定される。今後 JCR と組んでイズカーゴを開発、販売するということになるが、武田薬品がイズカーゴの上市に注力していないと JCR が判断するとき、権利を取り戻すような条項はあるか。

A23 : 契約内容の詳細は開示できないが、ただ当社としてそのような懸念がある場合契約はしない。

Q24 : 様々な先生と話していると、イズカーゴに切り替えるという話をよく聞く。JCR でもそのような予想をしているか。

A24 : グローバル PhIII 試験の準備を進めているが、先生方、患者さん・ご家族の期待は非常に高いと理解している。

Q25 : PhIII の投与開始はいつ頃か。

A25 : 現在、欧米での規制手続きを進めており、2022 年早期を想定している。1 日でも早く開始できるように取り組んでいる。

Q26 : 来期、ワクチン収益がなければ減収減益が想定されるとのことだが、すでに現時点で来期のワクチン事業がゼロになると考えているか。

A26 : ワクチン製造は国の事業でありアストラゼネカが協議しているところであり、当社は現段階で明確な情報を持っていない。

Q27-1 : 契約金について今期計上するもので契約一時金は全てか。それとも一部ということか。

A27-1 : 契約金の内訳については非開示。今後は開発と事業の進捗に応じたマイルストーンや、製品化後のロイヤリティを受け取る。

Q27-2 : 契約一時金がどのように PL に計上されるかを知りたい。分割して受領するというようなことがあるか。

A27-2 : どのような形で PL に反映されるかは、現時点で開示できるものはない。当社の考え方として、なるべく利益を平準化できるような考え方をとることは変わっていない。

Q27-3 : ロイヤリティ率も非開示か。

A27-3 : 非開示。

Q28 : 米国のオプション権が行使された際には、米国外の契約内容と同等のディールになるのか。

A28 : オプション権行使後は、通常のライセンス契約に移行し武田薬品側で事業化をしていくが、その内容は現段階では非開示。

Q29-1 : 経済条件について非開示なのは承知しているが、ロイヤリティ率という観点では、JCR の社内想定と比べてどうか。

A29-1 : 具体的には申し上げられないが、今回の契約に合意したということは当社にとって満足であるということと理解してほしい。

Q29-2 : 今期通期予想を上方修正しており、契約一時金、ロイヤリティ率ともに当初の想定よりも良かったということでしょうか。

A29-2 : 満足している。

Q30 : 契約一時金の計上について、第 2 四半期の決算が出た時に契約金収入が思ったより小さかった場合は、契約金収入が少ないと考えるのは誤りで、平準化されていると推察したほうが良いのか。

A30 : 上方修正はあくまで通期の修正ということで、第 2 四半期の結果については決算発表を待ってほしい。

Q31-1 : JR-141 のグローバル PhIII 試験について 2022 年早期に投与開始との見通しだが、昨年時点では今年 3 月くらいとのことだった。結果的に 1 年近く遅れているが、どう理解すればよいか。試験開始が遅れることで研究開発費が想定よりも減るということはないか。

A31-1 : 1 年遅れという認識ではない。すでに米国他で試験準備が進んでおり、あくまで患者さんへの投与に関してのスケジュールである。投与開始タイミングのずれの原因として試験デザインの変更が挙げられる。変更に対応しつつ開始準備を進めている。また、各国規制当局からの要請に対応しているという点も挙げられる。研究開発費の今期の見通しについて、現段

階では修正する理由はない。通期の進捗において必要に応じて情報を開示する。

Q31-2 : 対照群に投与される既存薬は武田薬品から供給されるのか、自社で調達するのか。研究開発費へのインパクトが変わると考えている。

A31-2 : 契約内容にかかわるため非開示。

以上

【注意事項】

本資料に記載の内容は、フェアディスクロージャの観点から、J C Rファーマ株式会社 2021 年 10 月臨時カンファレンスコールの質疑をもとに、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。