



## **JCR ファーマ株式会社**

2023 年 3 月期第 2 四半期決算説明会（プレゼンテーション・質疑応答）

2022 年 10 月 26 日

## イベント概要

---

|          |  |
|----------|--|
| [企業名]    | J C R 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]  | 2023 年 3 月期第 2 四半期決算説明会（プレゼンテーション・質疑応答）                            |
| [決算期]    | 2022 年度 第 2 四半期  |
| [日程]     | 2022 年 10 月 26 日   |
| [ページ数]   | 38   |
| [時間]     | 16:00 – 17:01<br>(合計：61 分、登壇：36 分、質疑応答：25 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]    | 6 名<br>代表取締役会長兼社長 芦田 信（以下、芦田信）<br>専務取締役 営業・管理担当 営業本部長 芦田 透（以下、芦田透） |

---

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



常務取締役 臨床開発・グローバル戦略・事業開発担当

マティアス・シュミット（以下、シュミット）

常務取締役 研究・経営戦略担当 研究本部長

菌田 啓之（以下、菌田）

上席執行役員 管理本部長 兼 総務部長

本多 裕（以下、本多）

管理本部 経理部長

太田 義博（以下、太田）

**[アナリスト名]\***

シティグループ証券

山口 秀丸

大和証券

橋口 和明

三菱 UFJ モルガン・スタンレー証券

熊谷 直美

モルガン・スタンレーMUFG 証券

村岡 真一郎

SBI 証券

川村 龍太

\*質疑応答の中で発言をしたアナリストの中で、SCRIPTS Asia が特定出来たものに限る

---

**サポート**

日本

050-5212-7790

米国

1-800-674-8375

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス

support@scriptsasias.com



## 登壇

---

**司会**：ただいまより、JCRファーマ株式会社 2023 年 3 月期第 2 四半期決算説明会を開催いたします。

説明会を始めます前に、ご視聴の皆様にお断り申し上げます。これから行う説明におきまして、現時点の予想に基づく将来の見通しを述べる場合がございますが、それらはすべてリスク並びに不確実性を伴っています。投資家の皆様には、実際の結果が見通しと大きく異なる場合があることをあらかじめご了承ください。

また、本日の説明及び本日使用する資料は、株主、投資家や報道関係者の皆様へ当社の事業に関する情報の提供を目的としたものです。開発品及び医薬品に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイス等を目的とするものではありません。

なお、本説明会の様子を弊社ホームページに掲載する目的で録画を行っております。あらかじめご了承ください。また本日のミーティング開催にあたり、マスクを着用したまま発言させていただくこともございますが、ご了承ください。

それでは、はじめに本日の登壇者をご紹介します。

画面向かって右手より、代表取締役会長兼社長、芦田信。

専務取締役、営業・管理担当、営業本部長、芦田透。

常務取締役、臨床開発・グローバル戦略・事業開発担当、マティアス・シュミット。

常務取締役、研究・経営戦略担当、研究本部長、藺田啓之。

上席執行役員、管理本部長兼総務部長、本多裕。

最後に、管理本部経理部長、太田義博でございます。

それでは、本日使用する資料についてご説明いたします。本日使用する資料は、弊社ホームページに本日 15 時 30 分に掲載いたしました。手元資料が必要な方は、恐れ入りますが、そちらをご参照ください。本日はプレゼンテーション及び質疑応答を含めた 1 時間を予定しております。それでは、はじめに会長の芦田からご挨拶をさせていただきます。芦田会長、お願いいたします。

---

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



**芦田信**：芦田でございます。平素より当社への格別のご理解とご支援を賜り、ありがとうございます。第2四半期の決算は、前年同期と比較すると、アストラゼネカのワクチン原液製造が終了しているため、減収減益となりました。

また、契約金収入については、元々下期に偏重を予定しているため、上期の決算は概ね会社の予想通りで進捗しています。

まずライセンス契約についてお話をいたします。ライセンス契約の状況について、この図を見ていただきたいんですが、ライソゾーム病についてお話いたします。

ライソゾーム病については、今これだけのものを開発を始めております。ここに出ている赤い字で示している、これ五つですかね、これがウルトラレアと言われる非常に希少疾病の中でも患者さんの少ないもの、それと他のものは割に患者さんの多いものと分けてわれわれは考えております。

しかし、超ウルトラレアの疾患でも、いかにして患者さんにもものを届けるかが非常にわれわれの会社の目的になっておりますので、このウルトラレアのものをどのように臨床開発して、患者さんに届けるかというスキームを今いろいろ考えており、下期には発表できると考えております。

他のものも、ある程度患者さんの多いものについては、今、ムコ多糖症のハンター症候群については、昨年以來、武田薬品工業と共同で開発している、JR-171 という番号のついているハーラー症候群。これも臨床のフェーズ 1/2 については既に投与が終わっているわけですけれども、こういうものを順番にいろいろな会社と契約をしていくと、これ大変な作業になって、いちいちいろんな会社と交渉をして、またデータを提供しないといけないということがあり、まあそれもやっておりますが、しかし、こういうものをまとめて一緒に臨床開発していただくことができる会社とも話を始めております。われわれとしては、できるだけウルトラレアなもの、それからある程度患者さんの多いもの、こういうものをまとめてやっていただける二つのスキームを考えて、今交渉をしております。

それと、われわれ、ロングアクティングの成長ホルモンを開発しておるわけですけれども、来年度にはフェーズ 3 に入ります。これについてもライセンスを欲しいという会社がありますので、これも話し合いをしております。

それにまた、J-Brain Cargo を使って、抗体や低分子のものを頭に入れたいということについて興味を持っている会社とも話を進めております。

また研究部門においては、当然 J-Brain Cargo というものが非常に大きなものなんですけれども、やはり筋肉にターゲットをしたものについても着々と研究が進んでおります。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



われわれの臨床開発、それに研究、基礎研究について、今後とも JCR を注目して見ていていただきたいなと思っております。今後ともよろしくお願いいたします。

**司会：**続きまして、決算概要及び事業内容について、それぞれの担当者からご説明いたします。その後、皆様よりご質問をお受けいたしますので、よろしくお願いいたします。それでは、これより決算概要についてご説明いたします。よろしくお願いいたします。



## 決算ハイライト

### 第2四半期 実績 (2023年3月期)

### 前年同期比減収減益は期初予想通りの推移

(単位：百万円)

|                      | 第2四半期実績 | 前年同期比   | 対通期予想<br>進捗率 |
|----------------------|---------|---------|--------------|
| 売上高                  | 15,581  | △ 45.1% | 34.6%        |
| 営業利益                 | 744     | △ 94.5% | 5.1%         |
| 経常利益                 | 1,569   | △ 88.6% | 10.8%        |
| 親会社株主に帰属<br>する四半期純利益 | 962     | △ 89.6% | 9.3%         |

- 主力製品：グロウジェクト®は薬価改定などの影響を受け減収となったが、イズカーゴ®の売上が大きく寄与し売上合計は前年同期と同水準を保持。
- AZD1222原液の国内受託製造の終了、及び上期における契約金収入の減少により売上高、各利益は前年同期比で減少。
- 積極的な研究開発活動により、研究開発費が増加。

**太田：**はい、決算概要につきまして、経理部の太田よりご報告させていただきます。よろしくお願いいたします。

まず最初のページをご覧ください。こちらタイトルに記載させていただいております通り、前年同期比では減収減益となっておりますが、こちらは期初予想通りの推移をしている状況でございます。

売上高につきましては155億8,100万円、営業利益が7億4,400万円、経常利益につきましては15億6,900万円、純利益につきましては9億6,200万円となっております、いずれも前年同期比では減収減益となっております。

主力製品につきましては、グロウジェクトは薬価改定などの影響を受けておりまして、減収となっておりますけれども、イズカーゴの売上が大きく寄与しており、主力製品の売上高合計につきましては、前年同期と同水準を保持しております。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com

一方、アストラゼネカのコロナウイルスワクチンですね、AZD1222 原液の国内受託製造が終了しております。また、上期における契約金収入は前年同期と比べまして減少しているといったことによりまして、売上高、及び各段階利益につきましては、前年同期比で減少しているといった状況でございます。

一方、研究開発費につきましては、積極的に活動を行っている状況でございます、費用は増えているといった状況でございます。



## 連結決算概要

(単位：百万円)

| 連結                        | 2022年3月期<br>4-9月 | 2023年3月期4-9月 |         | 2023年3月期通期 |              |
|---------------------------|------------------|--------------|---------|------------|--------------|
|                           |                  | A            | 前年同期比   | 予想<br>B    | 年間進捗率<br>A/B |
| 売上高                       | 28,383           | 15,581       | △ 45.1% | 45,000     | 34.6%        |
| 売上原価                      | 4,485            | 4,836        | +7.8%   | 9,000      | 53.7%        |
| 売上総利益                     | 23,898           | 10,744       | △ 55.0% | 36,000     | 29.8%        |
| 販売・一般管理費                  | 6,737            | 5,782        | △ 14.2% | 12,500     | 46.2%        |
| 研究開発費                     | 3,520            | 4,216        | +19.8%  | 9,000      | 46.8%        |
| 営業利益                      | 13,640           | 744          | △ 94.5% | 14,500     | 5.1%         |
| 経常利益                      | 13,731           | 1,569        | △ 88.6% | 14,500     | 10.8%        |
| 親会社株主に帰属する<br>四半期 / 当期純利益 | 9,234            | 962          | △ 89.6% | 10,300     | 9.3%         |

(ご参考)

|                         |       |       |        |       |       |
|-------------------------|-------|-------|--------|-------|-------|
| 共同開発先による負担控除前の<br>研究開発費 | 3,570 | 4,415 | +23.6% | 9,500 | 46.5% |
|-------------------------|-------|-------|--------|-------|-------|

### ◆営業利益 744百万円 対前年同期△ 12,895百万円



#### 主な増減要因 (前年同期比)

- ・ AZD1222原液の国内受託製造終了、及び上期における契約金の減少による売上高の減少 △ 12,802百万円
- ・ 積極的な研究開発活動による研究開発費の増加 △ 696百万円
- ・ 2022年3月期特有の販管費の解消 +954百万円

次のページをご覧ください。真ん中の緑の部分ですね、こちらが当期の実績を示しております。

こちらにつきましては、右側の滝グラフに営業利益の変動要因を記載しております。先ほど申し上げましたワクチンの売上、及び契約金収入の減少により、売上高が減少した影響が 128 億 200 万円。また、研究開発費が 6 億 9,600 万円増加しております。こちらが営業利益の減少要因となっております。

一方で、販管費につきましては、2022 年 3 月期に特有なものが解消されておりますので、逆に 9 億 5,400 万円の利益の増加要因となっております。

また表の右側に通期の予想を記載させていただいております。先ほども申し上げましたけれども、弊社の予想通りで上期は進捗しております。下期に関しましても特段当初の予想と大きな変動要因はございませんので、予想数値につきましては、期初に発表させていただいた数字を据え置きとさせていただきます。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



売上高合計につきましては450億円、営業利益につきましては145億円、純利益につきましては103億円を予想しております。

| 品目                    | 2022年3月期4-9月 |        | 2023年3月期4-9月 A |        |         | 2023年3月期通期 |           |
|-----------------------|--------------|--------|----------------|--------|---------|------------|-----------|
|                       |              | 構成比    |                | 構成比    | 前年同期比   | 予想 B       | 年経進捗率 A/B |
| グロウジェクト®              | 6,689        | 23.6%  | 6,083          | 39.1%  | △ 9.1%  | 13,100     | 46.4%     |
| イズカーゴ®                | 985          | 3.5%   | 2,118          | 13.6%  | +114.8% | 5,210      | 40.7%     |
| テムセル®HS注              | 1,717        | 6.1%   | 1,701          | 10.9%  | △ 0.9%  | 3,530      | 48.2%     |
| 腎性貧血治療薬               | 3,011        | 10.6%  | 2,157          | 13.8%  | △ 28.4% | 4,930      | 43.8%     |
| エボエチナルファBS注「JCR」      | 1,512        | 5.3%   | 1,392          | 8.9%   | △ 8.0%  | 2,630      | 52.9%     |
| ダルボエチナルファBS注「JCR」     | 1,498        | 5.3%   | 765            | 4.9%   | △ 48.9% | 2,300      | 33.3%     |
| アガルシダーゼベータBS点滴静注「JCR」 | 323          | 1.1%   | 521            | 3.3%   | +61.0%  | 760        | 68.6%     |
| 医薬品等合計                | 12,728       | 44.9%  | 12,583         | 80.7%  | △ 1.1%  | 27,530     | 45.7%     |
| 契約金収入                 | 7,557        | 26.6%  | 1,010          | 6.5%   | △ 86.6% | 15,400     | 6.6%      |
| その他                   | 51           | 0.2%   | 56             | 0.4%   | +9.9%   | 140        | 40.0%     |
| AZD1222原液             | 8,046        | 28.3%  | 1,931          | 12.4%  | △ 76.0% | 1,930      | 100.0%    |
| 売上高合計                 | 28,383       | 100.0% | 15,581         | 100.0% | △ 45.1% | 45,000     | 34.6%     |

◆売上高 15,581百万円  
対前年同期△ 12,802百万円

|              |         |
|--------------|---------|
| 2022年3月期4-9月 | 28,383  |
| グロウジェクト      | △ 605   |
| イズカーゴ        | +1,132  |
| テムセル         | △ 15    |
| エボエチナルファBS   | △ 120   |
| ダルボエチナルファBS  | △ 733   |
| アガルシダーゼベータBS | +197    |
| 契約金          | △ 6,547 |
| その他          | +5      |
| AZD1222原液    | △ 6,114 |
| 2023年3月期4-9月 | 15,581  |

主な増減要因（前年同期比）

- ・ イズカーゴ®の市場浸透 +1,132百万円
- ・ AZD1222原液の国内受託製造の終了 △ 6,114百万円
- ・ 上期における契約金収入の減少 △ 6,547百万円

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved. Financial 3

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。

売上高合計は、前年同期比128億200万円減の155億8,100万円となっております。

こちらの増減要因につきましては、表の右側に記載させていただいております。まず増加要因といたしまして、イズカーゴが市場に浸透してきている状況でございます。前年同期比で11億3,200万円の増収となっております。

一方で、減少要因といたしましては、コロナウイルスワクチン原液が61億1,400万円。また、契約金収入の減少が65億4,700万円といったところが減少の大きな要因となっております。

また、通期の売上予想につきましては、表の一番右に予想値を記載させていただいております。上期につきましては、各製品、ほぼ当初の想定通り推移しております。従いまして、下期の予想につきましても、いずれも期初予想を据え置きとさせていただいております。トータルで450億円の売上高を見込んでおります。

## サポート

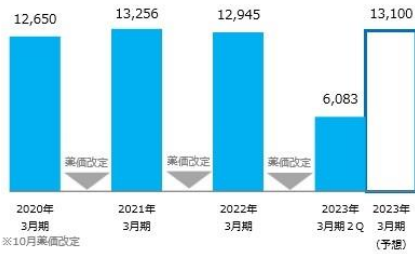
日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



## 各製品別売上高推移

(単位：百万円)

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®



今年度のトピックス  
 ・2022年8月：めろん日記®のリニューアル公開

遺伝子組換えヒトエリスロポエチン製剤  
エポエチンアルファBS注「JCR」

持続型赤血球造血刺激因子製剤  
ダルベポエチン アルファBS注「JCR」



ヒト体幹細胞加工製品  
ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞  
テムセル®HS注



遺伝子組換えアブリー病治療剤  
アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」



今年度のトピックス  
 ・2022年4月：住友ファーマ株式会社に販売移管

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Financial 4

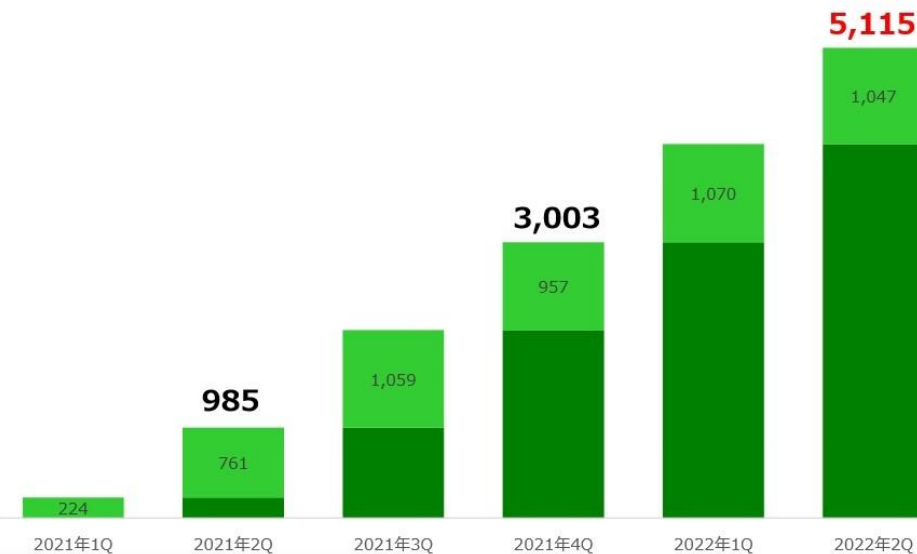
続きまして、各製品別の売上高の推移につきましては、こちらのグラフで記載させていただいております。

白いところが年間の予想になっておりますが、グロウジェクト、テムセル、アガルシダーゼ、いずれも前年同期比で増収を予想しております。



## イズカーゴ® 四半期別売上高累積

(単位：百万円)



- ・2020年11月 マーケティング部内にライソゾーム病専任部隊を設置し、イズカーゴ®に関する情報提供活動を専門的にサポート
- ・2021年5月 「ムコ多糖症情報サイト」を開設
- ・2021年5月19日 新発売

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Financial 5

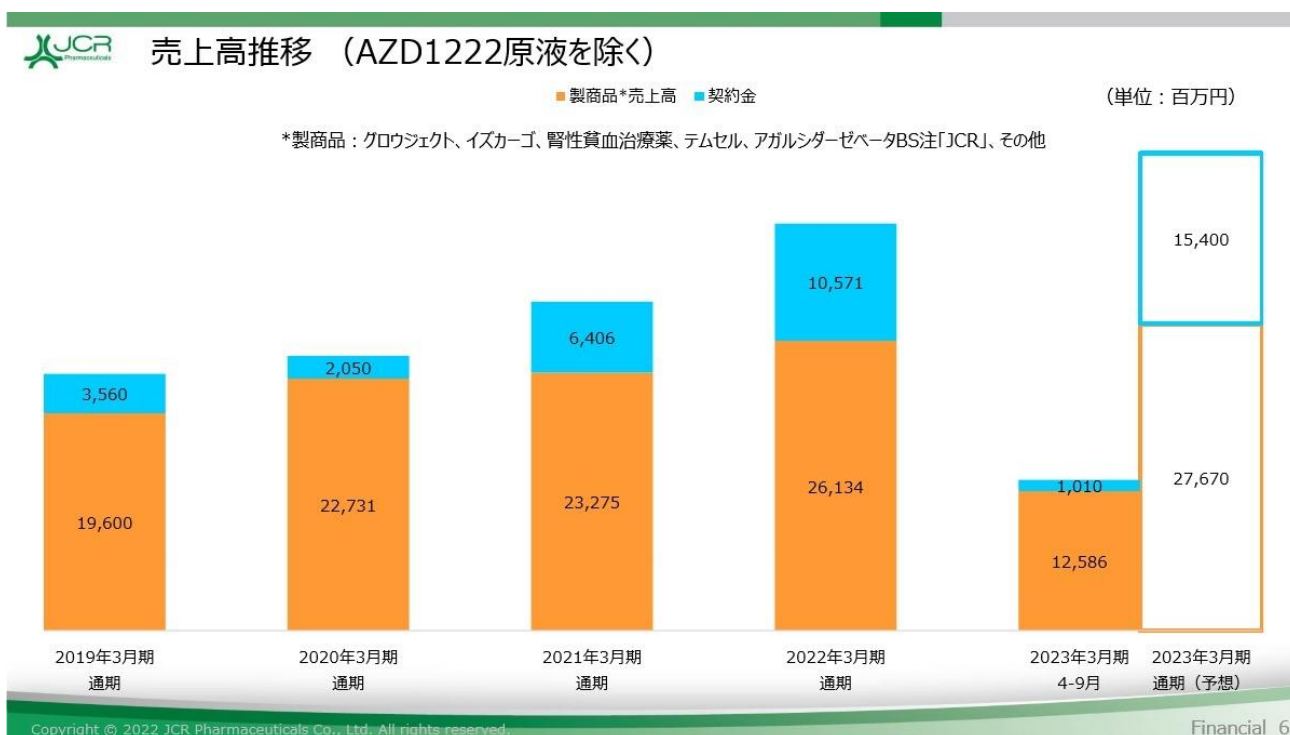
### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



また、イズカーゴの四半期別売上高の累積についてはこちらのグラフで示しております。

こちらにつきましても順調に売上高を伸ばさせている状況でございます。



こちらにつきましては、売上高トータルのグラフとなっております。

2023年3月期予想につきましては一番右ですね、契約金が154億円、その他が276億7,000万円を予想しているといったものでございます。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com

|      | 2022年<br>3月末 | 2022年<br>9月末 | 増減<br>・主な増減項目  |       | 2022年<br>3月末 | 2022年<br>9月末 | 増減<br>・主な増減項目                                   |
|------|--------------|--------------|--|-------|--------------|--------------|---|
| 流動資産 | 62,188       | 54,317       | 計 △ 7,870<br>・ 現預金 △ 2,625<br>・ 売掛金 △ 6,996                | 流動負債  | 42,054       | 32,991       | 計 △ 9,063<br>・ 未払法人税 △ 5,821<br>・ 短期借入金 △ 2,000 |
|      |              |              |  | 固定負債  | 3,990        | 5,518        | 計 +1,527<br>・ 長期借入金 +2,000                      |
| 固定資産 | 34,946       | 35,070       | 計 +124<br>・ 有形固定資産 +145<br>・ 無形固定資産 +551<br>・ 繰延税金資産 △ 502 | 負債合計  | 46,045       | 38,509       | △ 7,535   |
|      |              |              |  | 純資産合計 | 51,089       | 50,878       | 計 △ 210<br>・ 配当金 △ 1,489<br>・ 利益計上 +962         |
| 合計   | 97,134       | 89,387       | △ 7,746  | 合計    | 97,134       | 89,387       | △ 7,746   |

|       |       |       |
|-------|-------|-------|
| 自己資本率 | 51.8% | 55.8% |
|-------|-------|-------|

2022年10月27日に負債合計の増減を訂正。訂正箇所は下線を付して表示。  
2022年11月11日に固定資産、流動負債、固定負債について訂正・追記。訂正・追記箇所は下線を付して表示。

続きまして、財政状態につきましてご説明申し上げます。

資産合計につきましては893億8,700万円と、前期末比77億4,600万円の減となっております。減少要因といたしましては、流動資産が78億7,000万円減少しているといったところが大きな要因となっております。

こちらの流動資産の増減要因といたしましては、売掛金が期末にあったものが解消されたところでございまして、69億9,600万円減ったところでございます。

一方で、負債につきましては385億900万円と、減少しているといった状況でございます。

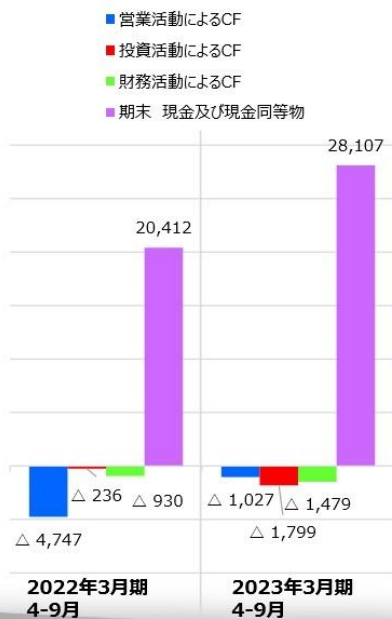
**サポート**

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



## キャッシュ・フロー（連結）

(単位：百万円)



|                  | 2022年3月期4-9月 A | 2023年3月期4-9月 B | 増減 B-A         |
|------------------|----------------|----------------|----------------|
| 税金等調整前純利益        | 12,729         | 1,560          | △ 11,168       |
| 減価償却費            | 922            | 953            | 31             |
| 売上債権             | △ 13,934       | 6,996          | 20,931         |
| 棚卸資産             | △ 1,491        | △ 1,175        | 316            |
| 仕入債務             | △ 1,466        | 228            | 1,695          |
| 法人税支払            | △ 2,435        | △ 5,516        | △ 3,080        |
| その他              | 929            | △ 4,075        | △ 5,005        |
| <b>営業活動によるCF</b> | <b>△ 4,747</b> | <b>△ 1,027</b> | <b>3,720</b>   |
| 設備投資             | △ 168          | △ 1,773        | △ 1,605        |
| その他              | △ 68           | △ 6            | 62             |
| <b>投資活動によるCF</b> | <b>△ 236</b>   | <b>△ 1,779</b> | <b>△ 1,543</b> |
| 借入金              | 0              | 0              | 0              |
| 配当金・自己株式         | △ 920          | △ 1,480        | △ 559          |
| その他              | △ 9            | 1              | 10             |
| <b>財務活動によるCF</b> | <b>△ 930</b>   | <b>△ 1,479</b> | <b>△ 548</b>   |
| 現金及び現金同等物の増減額    | △ 5,848        | △ 2,625        | 3,222          |
| 期末現金及び現金同等物      | 20,412         | 28,107         | 7,695          |

| (参考)         | 2022年3月期 |       | 2023年3月期 |        |
|--------------|----------|-------|----------|--------|
|              | 4-9月     | 通期    | 4-9月     | 通期(予想) |
| 減価償却費        | 922      | 1,945 | 953      | 1,870  |
| 設備投資(助成金控除後) | 583      | 4,472 | 1,773    | 4,200  |

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Financial 8

続きまして、キャッシュフローの状況につきましてご説明申し上げます。

営業活動によるキャッシュフローが10億2,700万円支出となっております。こちらの主な要因といたしましては、法人税支払が55億1,600万円あったところが大きな支出となっております。

投資活動によるキャッシュフローにつきましては、設備投資によりまして17億7,900万円の支出、また財務活動によるキャッシュフローにつきましては、配当金の支払がございましたので、14億7,900万円の支出となっております。

これら合計によりまして、現金及び現金同等物につきましては、期初比で26億2,500万円の減少となっております。

また下段、欄外に減価償却費につきまして記載させていただいておりますが、通期予想18億7,000万円の減価償却費を予想しております。

以上で決算の概要につきましてご説明申し上げます。ありがとうございました。

**司会：**続きまして、事業内容についてご説明いたします。よろしくお願いいたします。

**芦田透：**それでは2023年3月期の第2四半期の決算説明におきまして、事業報告を始めさせていただきます。営業管理担当の芦田透と申します。よろしくお願いいたします。

私からは、まず主要製品の国内の販売状況、並びにサステナビリティ活動についてご報告を申し上げます。

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



2022年

- ◆5月 – WEB市民公開講座「知ってほしい！伝えたい！希少疾病ムコ多糖症」を開催
- ◆7月 – サステナビリティ推進に関わる3委員会の設置
  - 台湾のCDMOであるMycenax Biotech Inc.の第三者割当増資の引受を決定 
  - **JR-401X** グロウジエクト®のSHOX異常症における低身長への効能追加にかかる一部変更承認申請
- ◆8月 – **JR-141** ブラジル連邦共和国において製造販売承認申請非承認の告示 
  - 成長ホルモン治療における服薬管理アプリケーションソフトウェア「めろん日記®」のリニューアル公開
- ◆9月 – 国立大学法人京都大学への寄付を目的とした第三者割当てによる自己株式の処分
  - オランダ王国に、欧州における開発活動の拠点となる子会社 JCR Europe B.V.を設立 
  - 経済産業省「ワクチン生産体制強化のためのバイオ医薬品製造拠点等整備事業」に採択
- ◆10月 – シスメックス株式会社と再生・細胞医療領域の研究開発などを行う合弁会社 AlliedCel株式会社を設立 
  - 2 期連続で子育てサポート企業として「くるみん」認定を取得 
  - 新製剤工場建設のお知らせ

こちらが 2022 年 5 月から本日までの弊社のトピックスの一覧となっております。

既にプレスリリースを行っておりますので、この場での詳細の説明は割愛させていただきたいと思っております。よろしくご確認のほどお願いします。



### グロウジエクト®

- 販売数量は堅調に推移するものの、薬価改定（約-8%）の影響を受け2Qまでの売上高は減少。
- 7月：SHOX異常症における低身長への効能追加にかかる一部変更承認申請
- 8月：成長ホルモン治療における服薬管理アプリ「めろん日記®」のリニューアル公開。継続して、包括的なデバイス戦略に基づく施策を実施中。



### イズカーゴ®点滴静注用10mg

- 2Qまでに新たに10名がイズカーゴ®での治療を開始。
- 今年度の治療開始症例は6歳以下の低年齢が多い。
- 軽症型への投与方針を専門医と検討するなど、イズカーゴ®の選択につながる着実な情報提供・収集活動を実施中。



### テムセル®HS注

- 投与症例の多くが小児であったため、一人当たりの使用バッグ数が例年より相対的に減少。
- 新型コロナウイルス感染拡大の影響により骨髄バンクの新規ドナー登録の減少が報告されている。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com

それでは、これより主力製品の国内の販売を取り巻く状況につきまして、アップデートをさせていただきます。

まず、成長ホルモン領域のグロウジェクトです。第2クォーターの売上高は昨年比で減少となりましたが、販売数量は堅調に推移をしております。

こちら減収要因ですが、主に約8%となる薬価改定の影響であると認識しております。今後も薬価改定の影響や少子化による市場縮小の可能性も考えられる中で、当社は今年7月にグロウジェクトの適応拡大申請を行いました。

また8月には、成長ホルモン治療における国内唯一の電動型注入器でありますグロウジェクトLの服薬管理アプリであります、めろん日記のリニューアル公開をいたしました。引き続き、包括的なデバイス戦略に基づく施策を実施し、患者さんを増やしていきたいと思っております。

次にJ-Brain Cargoを活用しました初の医薬品、イズカーゴです。今期第2クォーターまでに新たに10名の患者さんがイズカーゴでの治療を開始いたしました。

これまでの治療開始症例につきましては、比較的6歳以下の低年齢の患者さんが多く、イズカーゴに期待する効果・効能がしっかりと専門医に伝わった結果と考えております。引き続き、軽症型の患者さんへの投与方針を専門医の先生方と検討するなど、イズカーゴの選択に繋がります着実な情報収集活動を行っていききたいと思っております。

そうしまして、より多くの日本のムコ多糖症II型患者様にイズカーゴを1日も早く届ける活動を続けてまいりたいと考えております。

最後に、再生医療等製品テムセルとなります。2016年2月の発売以来、順調に使用症例は伸びております。テムセルの製品価値評価は、KOLの先生方にもう定着していると感じております。

そのような中、当初のピーク予想を上回る伸びを続けているテムセルであります。この半期の投与症例の多くが小児でありました。本製品は患者さんの体重に準じて投与量が決まるため、相対的に1症例あたりのバッグ数、使用バッグ数が減少しております。

また新型コロナウイルス感染症拡大の影響によりまして、骨髄バンクの新規ドナー登録の減少が報告されております。製品への影響につきましては、現在継続的に社内で調査中でございます。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com





## サステナビリティへの取り組み

### ➤ 2022年7月：サステナビリティ推進に関わる3委員会を設置

- ・サステナビリティ 諮問委員会
- ・サステナビリティ委員会（担当：専務取締役 芦田透）
- ・環境委員会（担当：取締役 檜山義雄）

現在、サステナビリティ委員会を中心に当社のマテリアリティを特定中。

目指すべき姿

RD・E・S・Gを基盤とする事業活動を通じたサステナビリティの実現

#### 上半期の主な取り組み

|   |  |  |   |
|---|--|--|---|
|  <p><b>Rare Disease</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 社内・社外における認知度向上に向けた取り組みとして、市民公開講座等を実施</li> </ul> |  <p><b>Environment</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ TCFD提言に沿った情報開示を完了</li> <li>・ 建設中新工場における環境保全に向けた取り組みを推進</li> </ul> |  <p><b>Society</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ グローバル人材育成研修制度「JCRアカデミー」の開始</li> <li>・ くるみんを2期連続で取得</li> </ul> |  <p><b>Corporate Governance</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ ガバナンス体制の構築として社外役員2名の追加</li> </ul> |
|---|--|--|---|

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 4

次に、当社のサステナビリティへの取り組みについてご紹介をいたします。

当社はこの7月にサステナビリティ推進に関わる三つの委員会を設置いたしました。これらの委員会を中心となり、JCR だからこそできるサステナビリティを具現化し、その取り組みを推進してまいりたいと考えております。現在私が担当を務めますサステナビリティ委員会を中心となり、当社のマテリアリティを特定中でございます。

上半期においても Rare Disease、ESG を基調とする事業活動を通じた取り組みを実施しております。今後さらにその取り組みを加速してまいりたいと考えております。

私からの報告は以上となります。

#### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



| 開発番号      | 適応症                                | 前臨床              | 臨床試験    | 申請 | 承認 | 備考  |
|-----------|------------------------------------|------------------|---------|----|----|---|
| JR-141    | ムコ多糖症II型<br>(ハンター症候群)              | 承認               | 臨床第3相試験 |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>J-Brain Cargo® 適用</li> <li>2025年度-2027年度、米国・欧州・ブラジルでの承認予定</li> </ul> |
| JR-171    | ムコ多糖症I型<br>(ハーラー症候群 等)             | 臨床第1/2相試験        |         |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>J-Brain Cargo® 適用</li> <li>2023年度 Ph3試験</li> </ul>                   |
| JR-441    | ムコ多糖症IIIA型<br>(サンフィリップ症候群A型)       | 前臨床              |         |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>J-Brain Cargo® 適用</li> <li>2023年度 Ph1/2試験</li> </ul>                 |
| JR-446    | ムコ多糖症IIIB型<br>(サンフィリップ症候群B型)       | 前臨床              |         |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>J-Brain Cargo® 適用</li> <li>2023年度 Ph1/2試験</li> </ul>                 |
| JR-479    | GM2ガングリオシドーシス<br>(サンドホフ病、テイ・サックス病) | 前臨床              |         |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>J-Brain Cargo® 適用</li> <li>~2025年度 Ph1試験</li> </ul>                  |
| JR-162    | ボンペ病                               | 前臨床              |         |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>J-Brain Cargo® 適用</li> </ul>   |
| JR-443    | ムコ多糖症VII型<br>(スライ症候群)              | 前臨床              |         |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>J-Brain Cargo® 適用</li> </ul>   |
| ★ JR-401X | SHOX異常症における低身長                     | 製造販売承認申請         |         |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>グロウシェット® 適応拡大</li> </ul>   |
| ★ JR-142  | 小児成長ホルモン分泌不全性低身長症                  | 臨床第2相試験 (症例登録完了) |         |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>持続型成長ホルモン製剤</li> <li>2023年度 Ph3試験</li> </ul>                         |
| JR-031HIE | 新生児低酸素性虚血性脳症                       | 臨床第1/2相試験        |         |    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>テムセル®HS注 適応拡大</li> </ul>   |

**シュミット\*** : こんにちは、シュミットと申します。よろしくお願いたします。

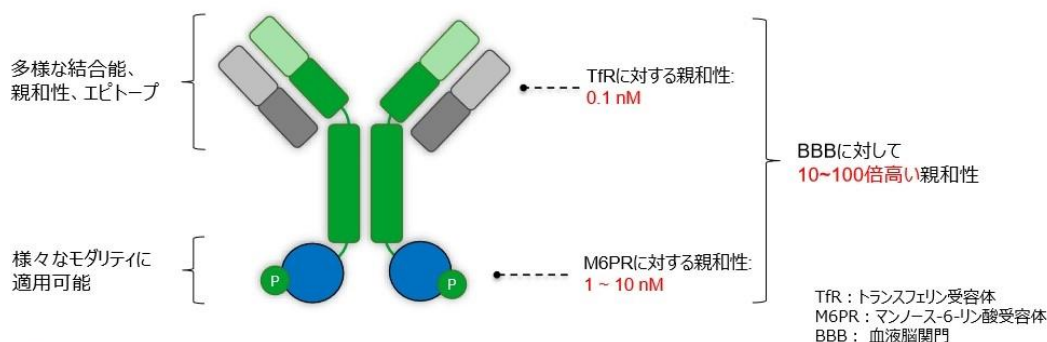
こちらのスライドを見ていただきたいと思います。JCRの開発ポートフォリオが示されています。臨床試験中のものもありますし、近々試験に入るものも含まれております。

さて、特に注目したいのは、SHOX 異常症における低身長の治療のための JR-401X の製造販売承認申請、また、持続型成長ホルモンである JR-142 は既に患者さんの組み入れが終わっております。

また、次なるプロジェクトとして、J-Brain Cargo テクノロジーを使った MPS IIIA 型の治療薬である JR-441 の臨床試験入りが予定されています

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



| 差別化ポイント                | なぜ重要か？                        |
|------------------------|-------------------------------|
| BBBをターゲットにしやすい         | ・ 指向性 BBB > 末梢組織              |
| 高親和性                   | ・ 低用量であるため、点滴時間が短く、注入時反応を管理可能 |
| 多様な結合能、親和性、エピトープ、モダリティ | ・ 様々な疾患・モダリティに適用可能            |
| 安全性                    | ・ 確立された安全性プロファイル              |

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 7

私たちはこの J-Brain Cargo 技術の分子が患者さん、医師にとってどのような臨床的な違いをもたらしたのかということをよく聞かれます。

三つポイントがあると思います。まず最初に、血液の受容体への高い親和性があるということであり、低用量で効率の良い治療効果が得られます。そして酵素というのは免疫原性があります。投与時反応を引き起こすため、低用量であれば、投与時間も短くできるわけです。投与時反応が少なくなると私たちは考えております。

また三つ目に、JCR はこの BBB の技術におきまして、最も優れた安全性のプロファイルを持っているということでもあります。複数の臨床試験を成功させ、また私たちはイズカーゴの販売経験が1年以上あることから、大変有効なプロファイル、安全性のプロファイルを示したということでもあります。

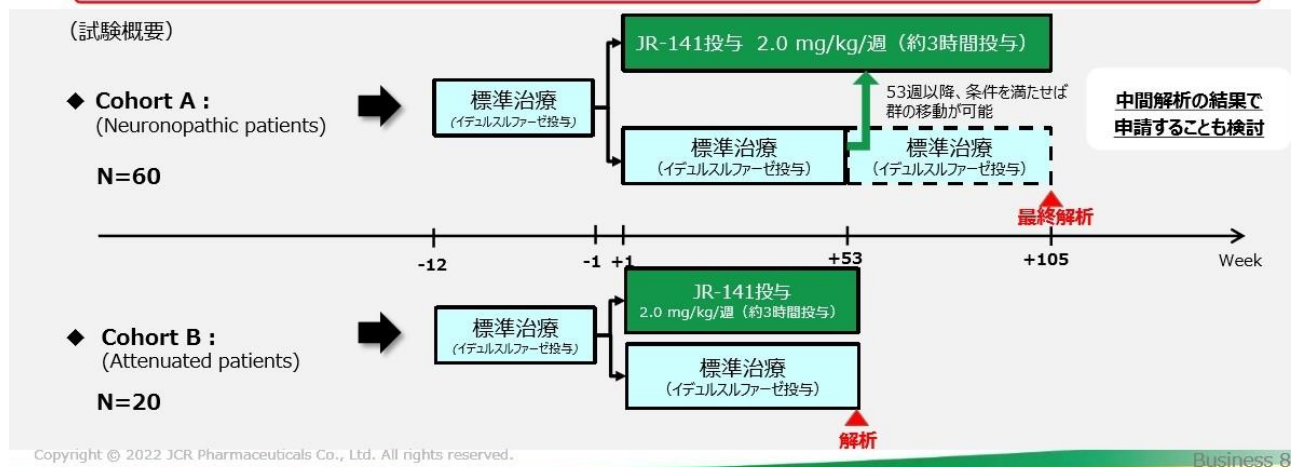
## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

## JR-141

イズカーゴ® (日本における製品名)  
pabinafusp alfa (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)

◆ 2022年10月現在：米国・ブラジル・欧州で治験サイトを順調に拡大しつつ、患者組み入れを実施中。  
また、新たな地域での治験開始準備中。



さて、JR-141 (pabinafusp alfa) のムコ多糖症II型治療薬としてのグローバルのピボタル試験は計画通りに進んでいます。患者さんの組み入れをさらに確実、そして加速するためには、南アメリカ、ヨーロッパ、そしてアメリカにおいて国、施設の数を増やしたいと考えています。

Cohort A は 60 例、そして Cohort B が 20 例という目標症例数を持っています。特に武田薬品工業様とパートナーシップを組み、そしてグローバルスタディで引き続き支援をしていただいていることを嬉しく思っています。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

**JR-141**

イズカーゴ® (日本における製品名)  
pabinafusp alfa (血液脳関門通過型 遺伝子組換えイソロン酸-2-スルファターゼ)

**試験目的 : JR-141-GS31**

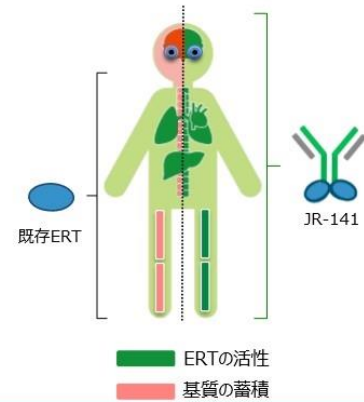
**1. JR-141投与が既存の酵素補充療法と比較し、中枢神経系の徴候および症状に対して有効であること**

JR-141は脳内の基質減少によって、ムコ多糖症II型患者の神経学的徴候および症状に対して、優れた活性を有すると予想される。

**2. JR-141投与が既存の酵素補充療法と比較し、同等の身体的徴候および症状の抑制を示すこと。**

JR-141は、既存の酵素補充療法と同等の身体症状およびバイオマーカーを抑制することが期待される。

(さらに、JR-141は二重の取り込み機構 (TfR、M6PR) により、さらに症状を抑制する可能性をもつ)

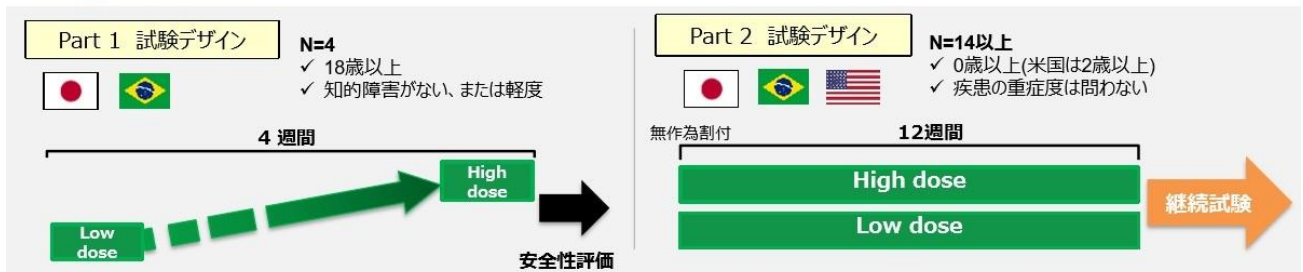


さて、この試験の目的ですけれども、プラットフォームテクノロジーを実証することです。MPS II型における中枢神経症状に対し標準治療より有効であると示すこと、様々な身体的症状などにおいて、標準治療との同等性を示しているのが JR-141 であります。

**JR-171**

lepunafusp alfa (血液脳関門通過型 遺伝子組換えα-L-イゾロニダーゼ)

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<br>中枢神経症状および全身症状に対する探索的有效性   |            |
| 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 : <a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04227600">NCT04227600</a> |            |

さて、2番目のアセット JR-171、J-Brain Cargo テクノロジーをベースにしたものですが、これはフェーズ 1/2 の試験が今現在続行中です。

**サポート**

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com

この試験は組み入れが既に終わっています。そして良好な安全プロファイル、そしてまた有効性についても素晴らしい兆候が見られているということで、すべての患者さんがこの Part2 におきましては、二つの用量で調整がされております。



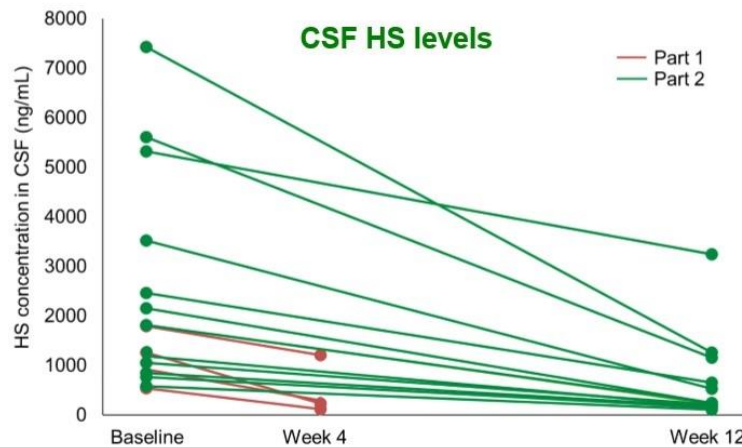
## JR-171 結果速報

JR-171

lepunafusp alfa (血液脳関門通過型 遺伝子組換え $\alpha$ -L-イズロニダーゼ)



グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101)



全ての被験者でCSF中のHSが減少した。

CSF : 脳脊髄液  
HS : ヘパラン硫酸

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 11

またバイオマーカーとして、ヘパラン硫酸の減少が脳脊髄液で見られているということでもあります。このバイオマーカーを使うことによりまして、CSFにおける基質の減少がわかります。より早い反応がこれまで見られておりますので、これも良好な結果と言えましょう。

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com

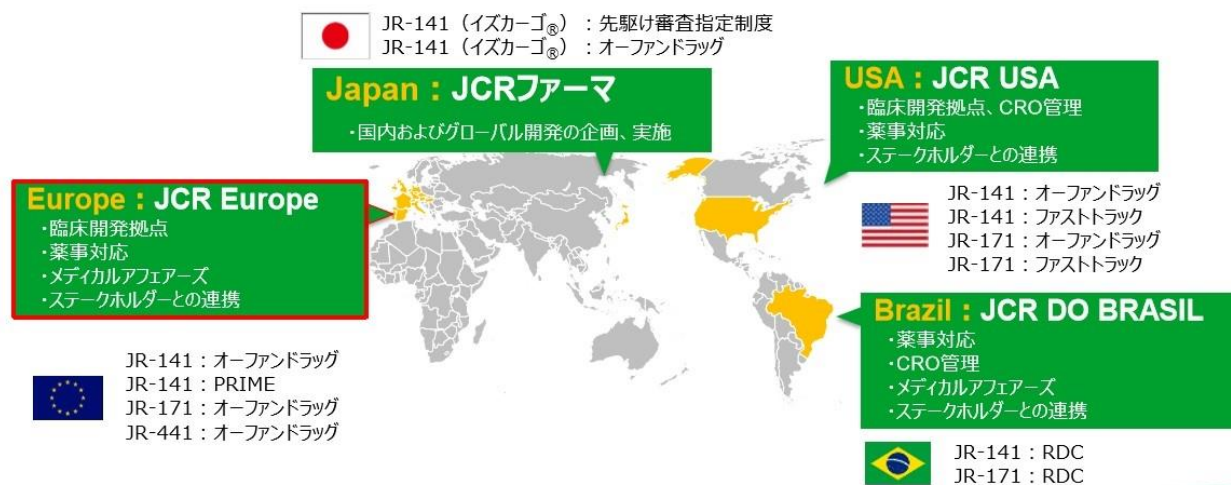




## グローバル開発拠点の拡大

### 2022年9月：オランダ王国に、欧州の臨床開発拠点JCR Europe B.V.を設立

欧州におけるグローバル臨床開発能力、ノウハウ、物理的プレゼンスを構築・強化



Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 12

さて、臨床治験の能力をグローバルに拡大するためには、私たちはアメリカ、そしてブラジル、さらにはヨーロッパにおきまして、新しい子会社を設立することによってその能力を伸ばしております。

このヨーロッパの新しい子会社ですけれども、オランダのライデンに位置をし、欧州医薬品庁に大変近いところにあります。バイオテックパークの五つのうちの一つに挙げられています。ですので、必要な知識を私たちはこの治験を開催する地域において得ていきたいと思っています。

### サポート

|         |               |         |                        |
|---------|---------------|---------|------------------------|
| 日本      | 050-5212-7790 | 米国      | 1-800-674-8375         |
| フリーダイヤル | 0120-966-744  | メールアドレス | support@scriptasia.com |





## 製造能力

### ▶▶ グローバル供給にむけ製造能力を拡大中



#### 日本:



自社開発の製法プロセスの確立と、充実した自社バイオ製造能力により、治験薬および商業用製品の安定供給とコスト効率の良い製造が可能。

| 工場             | シングルユースもしくはステンレス培養器                        |
|----------------|--|
| 室谷工場           | 2x 400L; 2x 80L                            |
|                | 2x 2,000L; 2x 200L                         |
| 神戸原薬工場         | 2x 2,000L; 2x 200L                         |
| 神戸工場           | 製剤（全製品）                                    |
| 西神工場           | 再生医療等製品                                    |
| 神戸サイエンスパークセンター | 4x 2,000L, 4x 200L（予定）                     |
| <b>合計</b>      | <b>8x 2,000L; 2x 400L; 8x 200L, 2x 80L</b> |

#### 台湾:



当社品目に親和性があり、資本参加により当社生産キャパシティの柔軟性が拡張

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 13

神戸サイエンスパーク工場が、一部政府助成金を受け、建設されたことを受け、JCRはバイオ製造能力を大きく増強しました。加えて、柔軟性を持って、MYCENAX社の製造能力を利用することもできます。

MYCENAX社は、弊社の品目を熟知しており、技術移管プロセスが円滑に進むことが期待できます。ここで多くの、複数のプログラムを並行的に臨床試験に進めていくことができると考えております。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com





## 製造設備の拡大について

### 神戸サイエンスパークセンター（建設中）

- 厚生労働省「新型コロナウイルスワクチン等生産体制整備臨時特例交付金にかかる助成金」を利用
- 11月上旬竣工予定
- 稼働開始は2023年度春以降



神戸サイエンスパークセンター 西面

### 新製剤工場（2022/10/26決議）

- 神戸サイエンスパークセンターの隣接地（土地取得は2022年3月）
- 経済産業省「ワクチン等生産体制整備事業採択における助成金」を利用（助成額は今後決定）



神戸サイエンスパークセンター 南面

▶▶ 両工場ともに、ワクチン等の製造要請が無い場合は自社バイオ医薬品の製造を行う

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 14

重要なこととして、神戸サイエンスパークセンターの隣に重点製剤能力を拡大することです。

本工場も一部政府助成金を受け、日本においてグローバルパンデミックの際にワクチン製造のインフラが使えるよう、整備を確実にしてまいります。



## 開発パイプライン（ライソゾーム病） 今後の想定タイムライン

\*すべて現時点での予定

※年度：4月～翌年3月

|  | 2022年度*              | 2023年度      | 2024年度      | 2025年度  |
|--|----------------------|-------------|-------------|---|
| <b>JR-141</b><br>pabinafusp alfa<br>(Δコ多糖症II型) | グローバル：臨床第3相試験（実施中）   |             |             | <ul style="list-style-type: none"> <li>先駆け審査指定制度（日本）</li> <li>オーファンドラッグ（日本）</li> <li>オーファンドラッグ（米国）</li> <li>ファストトラック（米国）</li> <li>オーファンドラッグ（欧州）</li> <li>PRIME（欧州）</li> </ul> |
| <b>JR-171</b><br>lepunafusp alfa<br>(Δコ多糖症I型)  | グローバル：臨床第1/2相試験（解析中） | 臨床第3相試験開始   |             | <ul style="list-style-type: none"> <li>オーファンドラッグ（米国）</li> <li>ファストトラック（米国）</li> <li>オーファンドラッグ（欧州）</li> </ul>  |
| <b>JR-441</b><br>(Δコ多糖症IIIA型)                  |                      | 臨床第1/2相試験開始 |             | <ul style="list-style-type: none"> <li>オーファンドラッグ（欧州）</li> </ul>   |
| <b>JR-162</b><br>(ボンバ病)                        | 非臨床試験（実施中）           |             |             |   |
| <b>JR-443</b><br>(Δコ多糖症VII型)                   | 非臨床試験（実施中）           |             |             |   |
| <b>JR-446</b><br>(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 |   |
| <b>JR-479</b><br>(GM2ガングリオシド-シス)               | 非臨床試験（実施中）           |             |             | 臨床第1/2相試験開始   |

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 15

### サポート

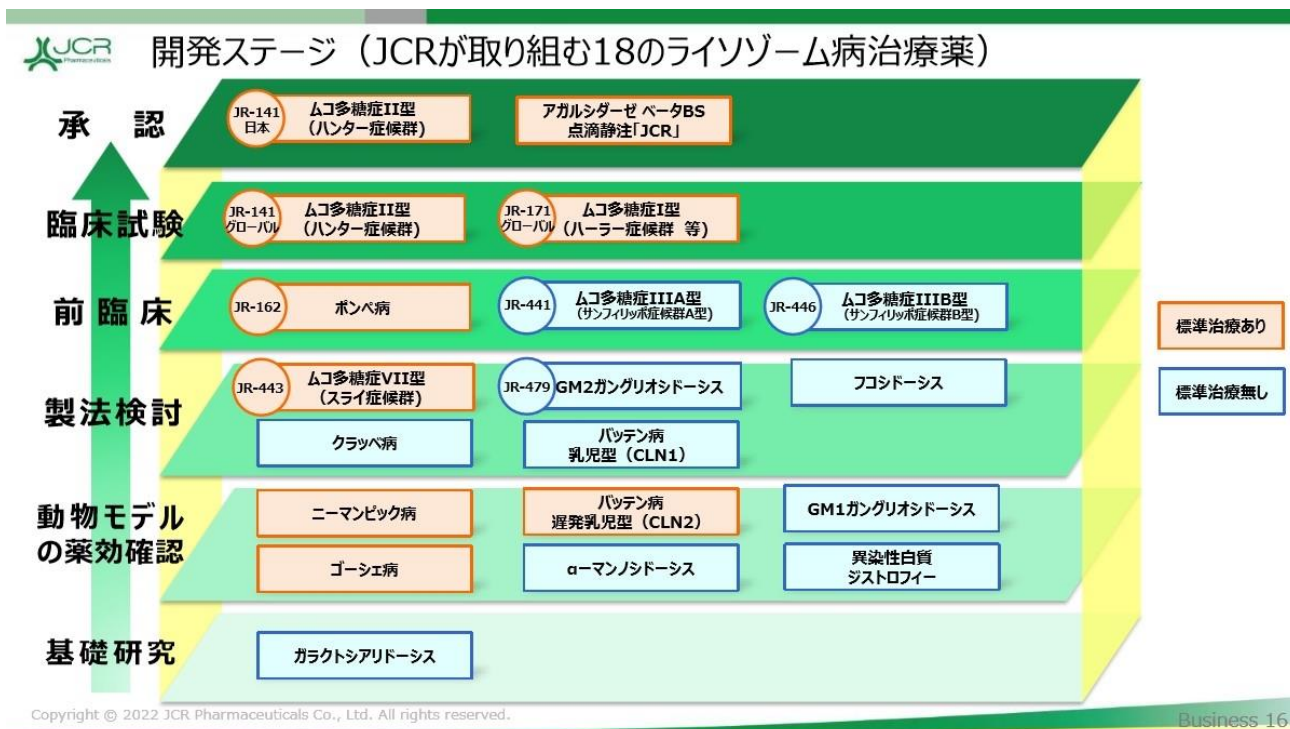
日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



ここでは、ライソゾーム病ポートフォリオにおける短期的な価値の転換点を詳細にまとめております。

大変嬉しく思っていることに、MPS IIIA 型対象の JR-441 を来年度半ばに臨床試験に入る可能性があることが挙げられます。

また、続いて際立った差別化が期待される MPS IIIB 型治療薬である JR-446、その後、JR-479、GM2 ガングリオシドーシス治療薬が続きます。



会長が既に指摘されましたように、JCR では全体で 18 のプログラムが様々なステージにあります。

確立された標準治療のない、また既存治療のある適応領域両方がありますが、どちらもアンメット・メディカル・ニーズである中枢神経系症状に対応していない領域となります。J-Brain Cargo 技術のみがそれを可能にします。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



## JR-142 開発状況

### 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

◆ 症例登録を完了  
(第1例目への投与開始 : 2021年5月)



|      |  |
|------|--|
| 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"> <li>PK/PDプロファイルの確認</li> <li>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: グロウジェクト投与群)</li> <li>安全性の比較検討 (対照: グロウジェクト投与群)</li> </ul> |
| 症例数  | 24名 (各群8名)   |
| 治験薬  | JR-142 / グロウジェクト® ※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)  |

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 17



## 開発パイプライン (成長ホルモン領域) 今後の想定タイムライン

※年度 : 4月~翌年3月

★ : 2022年5月から開発ステージの進捗があったプロジェクト

### 今後の想定タイムライン (成長ホルモン領域)

\*すべて現時点での予定



\*持続型成長ホルモン製剤

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 18

ここからは JCR の成長ホルモン事業に目を向けます。

成長ホルモン、持続型製剤 JR-142 の第2相試験の患者組み入れを完了しました。成長ホルモン事業のタイムラインを考慮しますと、JR-142 の第3相試験は2023年度に開始の見込みです。

また、JR-401X の MAA 申請結果が来年夏に出ることを見込んでおります。

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



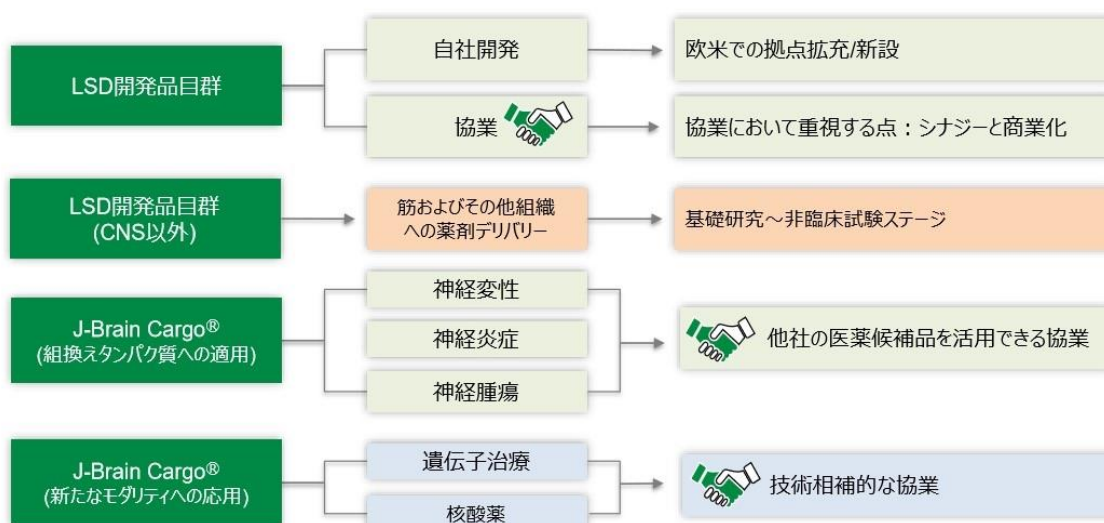
ここから菌田さんに発表をお願いいたします。



## J-Brain Cargo®技術による成長機会の創出

他社との協業により、当社の成長と新たな機会が生まれる

LSD : ライソゾーム病  
CNS : 中枢神経系



Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 19

**菌田**：ここからは菌田が説明したいと思います。よろしく申し上げます。

今、説明ありましたが、われわれ、ライソゾーム病のところでは18のパイプラインを進めています。ファブリー病以外は、J-Brain Cargoという技術を使っていて、われわれ、ユニークな薬剤だと思っています。

ただわれわれのサイズで、この18品目すべてをグローバルで開発していくのはとても荷が重いので、われわれとしては、自分たちでできるものは自社開発をする、それ以外はパートナーシップを組む、これが最適解だと考えています。

実際そのようにいろいろな会社さんと組もうということで、いろいろお話を進めていますし、既に武田さんとはJR-141で協業しているということです。

またライソゾーム病以外においても、われわれのプラットフォーム技術でありますJ-Brain Cargoは使えます。そこでいかにわれわれの技術を使っていただくか、拡大していくのか、ここがとても重要なポイントで、われわれ自身がものを作ることはできますけれども、それを臨床にもって行って、実際に人でのPoCを取りに行く、ここは非常にタフな領域になってくるかと思っています。

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



ですので、ここにおいても実際に薬剤を持っていて、だけれども、頭に持っていく術がない、そういったパートナーさんと一緒に組むことで、われわれの技術が最適化できるだろうと考えております。

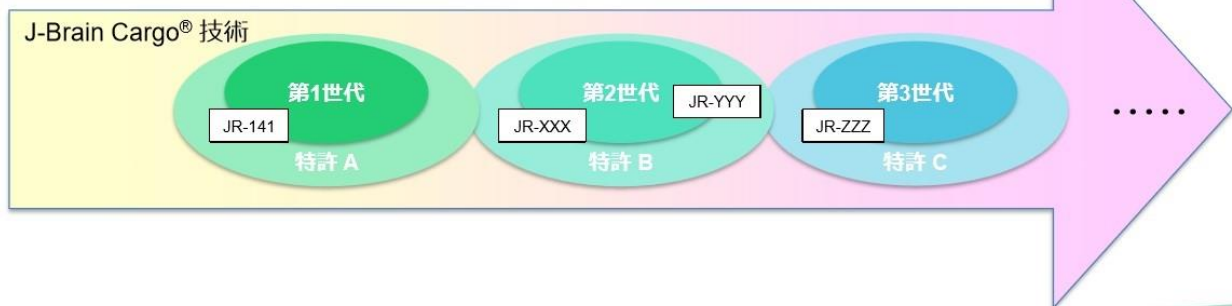
その一つの良い例が、こちら武田さんですけれども、既にジーンセラピーの領域で一緒に、頭に効くようなものを、これを一緒に今コラボレーションしている、こういったケースを他にも作っていきたくて考えております。



## BBB通過技術領域のリーディングカンパニーとして

▶▶ 常に新規抗体創出へのチャレンジを続けること、それらを最適かつ強力な特許戦略によって保護することで、JCRはBBB通過技術領域のリーディングカンパニーとしてのポジションを確立する。

- J-Brain Cargo®技術を用いた新規抗体が継続的に得られており、それらはすべて適切な特許又は特許出願によって適切に保護されている。
- J-Brain Cargo®シリーズ製品は、常に最新の抗体が適用されているため、最新の特許により長期的な独占市場が得られる。
- 各製品とプラットフォームは、ArmaGen, Inc.が保有する特許又は特許出願により、さらに強固に保護される。



Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 20

それらを可能にするために、パテントですね、特許ですとか、ノウハウですとか、そういったものがとても重要になってくると考えています。

J-Brain Cargo というのは、言葉では一言なんですけれども、非常にたくさんのバインダー、バインダーというのは抗体になりますけれども、そういったものから構成をされています。そして、この抗体を、一番最初にとったものをずっと使っているわけではなくて、どんどん新しいものを取ってきています。

それはなぜかという、一つの抗体がすべての、薬剤すべてのモダリティに使えるわけではなくて、それぞれに対してベストなものがあります。そのベストなものを探すという、ここがまさしくノウハウになりますし、われわれの経験ですとか、これまで培ってきたものがベースになります。それがわれわれのアドバンテージだと思っています。

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



ここに図示しておりますように、それが第1世代、第2世代、第3世代というように、いろいろなタイプのものがもう既に確立をされていて、これは3月のR&D説明会の時にも少し紹介しましたけれども、どんなモダリティであれば、どういったものがあるのか。あとはモダリティもそうですし、それぞれの薬剤、個々において、J-Brain Cargo とフュージョンしたり、コミュニケーションをした時に、最終のアプローチとして最適なものに持って行く、チューンアップしていくと、ここはとても重要なポイントになります。

そのベースにあるのは、J-Brain Cargo そのものがタンパクですので、このタンパクをいかにいじれるのか、最適化できるのか、そこがとても重要で、われわれはそのベースとなる技術がもう既にありとを考えています。

## 合併会社 AlliedCel株式会社の設立

➤ 2022年10月3日：シスメックス株式会社と造血幹細胞をはじめとする幹細胞やその他の細胞を用いた再生医療等製品の研究開発等を行う合併会社AlliedCel社を設立





品質管理検査の技術やIoTを含むロボット技術を  
活用したワークフローの効率化に関する知見



再生医療等製品の開発・製造・販売の実績やノウハウ

|           |  |
|-----------|--|
| 所在地       | 兵庫県神戸市中央区港島南町1丁目5番5号   |
| 資本金       | 1億円  |
| 資本準備金     | 1億円  |
| 出資比率      | シスメックス 50%、JCR 50%   |
| 役員（代表取締役） | 代表取締役社長 藺田 啓之（JCRファーマ株式会社 常務取締役 研究・経営戦略担当 研究本部長）<br>代表取締役副社長 辻本 研二（シスメックス株式会社 技術戦略本部長） |
| 事業内容      | 再生医療等製品の研究開発、製造および販売   |

Copyright © 2022 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 21

ここから少し話が変わりまして、今月の3日に発表しました合併会社に関して少しお話をしたいと思います。

これはシスメックス株式会社さんと JCR で作りました合併会社、AlliedCel 株式会社になります。シスメックスさんも JCR も研究開発を主に神戸市でしておりまして、実は非常に近くに研究所があります。

その過程では、いろいろとこれまでもお話をさせていただきまして、シスメックスさんの強みと JCR の持っている強みと、それを合わせることで、さらなるアンメットなところに薬を作れるんじゃないかということで、合意に至りまして、今回のような合併会社の発足に至りました。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



この会社が主に開発をするのは再生医療等製品、そこをベースにやっっていこうと思っておりますし、今なかなか普通の薬剤では治らない疾患、これはまさしく再生医療等製品に期待されているところだと思いますけれども、そういったところに両社の強みを活かして、一つでも早く上市できる研究開発をしていきたいと思っております。以上になります。

**司会：**ご清聴ありがとうございました。

---

#### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



## 質疑応答

---

**司会 [M]**：それでは、これより質疑応答に移ります。

なお、ご質問は1問1答形式にて、お1人様1回につき2問までとさせていただきますが、何回挙手をいただいても結構ですので、よろしくお願いいたします。

それでははじめのご質問です。シティグループ証券、山口様、よろしくお願いいたします。

**山口 [Q]**：シティの山口です。ありがとうございます。一つ目の質問、冒頭の会長のお話の中でございました、提携のスキームについて伺います。

ウルトラレアは一つ、その他を一つ、場合によっては別々、場合によっては一緒と聞こえたんですけども、今後の予定は、そのようにウルトラレアとその他を塊として提携をしていくと捉えたんですけども、それでよろしいのでしょうか。

**芦田信 [A]**：芦田です。今、お話があったように、ウルトラレアというのは、本当にまったく違うスキームでやらないとなかなかうまくいかない。それと、その他のものも、一つずつ、11ぐらい今でも（開発候補品が）あるわけですね。これを契約の交渉していくのは、なかなか時間もかかり、難しいので、できればその他のものを一緒にまとめてやっていただければ一番いいなと思って、そのような交渉も始めております。

ウルトラレアについては、先ほど MYCENAX に投資したということをシュミットが話しましたが、これについても、やはりそういう MYCENAX なんかも使って、ものをわれわれが作っていくということで機能していくんじゃないかなと思っております。

**山口 [Q]**：ありがとうございます。簡単に追加でお願いしたいんですけども、このウルトラレアのところは、監督官庁、特にアメリカの FDA や EMA との協力も大事かと思いますが、その開発を加速化できるようなスキームは、御社いろいろ使われていると思いますけれども、それを使うことによって早期の開発は可能とお考えでしょうか。

**シュミット\* [A]**：シュミットです。ご質問ありがとうございました。今の質問、ウルトラレアなディジェズの承認に関して現地当局との協力が必要なのかどうかという理解でよろしいでしょうか。

---

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com

確かにそのようなことになります。やはり当局との協力が必須です。おそらく最初のサイエンティフィックなアドバイスをもって、啓蒙が必要だと思います。

例えばバイオマーカー、エンドポイントに対して、こういったものが承認に対して必要なのが重要でしょう。その啓蒙が必要です。またその他の協力として、当局者との協力にあって、やはり治験デザインの構築についても協力が必要だと思います。一つ過去の例なんですけれども、MPS VII 型での協力があったと思います。

ご質問の答えになりましたか。

**山口 [Q]**：はい、ありがとうございます。次に、イズカーゴの国内の進捗、10名の患者さんが新たに入られたと、確か年間20名というご予想があったかと思いますが、オントラックで入っておられると思いますが、患者単価の問題もあり、Q1とQ2を比べると、売上は横ばいというか、ちょっと減っている状況ですが、これ通期につきましては、このペースでも十分到達可能かどうか、この辺について最後、コメントをお願いします。

**芦田透 [A]**：私からご回答させていただきます。今ご指摘いただいた通りで、通期につきましては、われわれの想定で、今上期も患者さんへの投与につきましては進捗しておりますので、通期についても20例、当然そのペースで患者さんへの浸透が図れるものと考えております。

**山口 [M]**：ありがとうございました。

**司会 [M]**：山口様、ありがとうございました。それでは、続いてのご質問です。大和証券、橋口様、よろしく願いいたします。

**橋口 [Q]**：橋口です。よろしく願いいたします。イズカーゴについて二つあります。一つ目が、四半期別の売上のトレンドについてです。お示しいただいているのは御社からの出荷だと思いますので、実消化のトレンドがどうなっているのかをご紹介いただけませんかでしょうか。

20名新たに始めた患者さんがいらっしゃるということですが、治療をやめる患者さんの数はどのような状況かということですか、実消化の状況としては右肩上がりになっているのかというところをご紹介いただければと思います。

**芦田透 [A]**：私からご回答させていただきます。実消化に20名、この第2Qにつきましては10名で、年間今期で20名の予定をしておるということでもあります。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



実消化につきましては、正確なデータ、申し訳ありません、今手元にございませませんが、各月われわれ現場で把握している部分につきましては、ほぼ消化につきましても、進捗順調に進んでいると認識しております。

それでご回答になってますでしょうか。

**橋口 [Q]**：ありがとうございます。いったん治療を始めた方で、治療をやめてしまった患者さんの数はいかがですか。

**芦田透 [A]**：数につきましては、今こちらでご回答は差し控えさせていただきますが、通常の医薬品のドロップアウトの範囲内となります。

**橋口 [Q]**：はい、ありがとうございます。2点目が、今後のイズカーゴの方針の中で、軽症患者さん、軽症方への投与方針について検討していくお話があったかと思います。

この軽症患者さんで特に重要なのは、私の理解では、投与に要する時間の長さだと思えます。週1回の点滴で、エラプレースもイズカーゴも状態に応じて投与速度を調節することになっていると思えます。

今のところ、ある程度治療に慣れてきたお医者さんや患者さんにおいて、イズカーゴはどれぐらいの時間をかけて投与されているのでしょうか。投与量はエラプレースの4倍ですので、単純計算、イズカーゴも4倍長い時間がかかっているのか。

エラプレースが1回当たり何時間ぐらいかけて投与していて、それに対してイズカーゴは、1回何時間ぐらいかけて投与されているのかという、その実臨床における実際の状況を把握されてましたらご紹介いただけませんかでしょうか。

**芦田透 [A]**：はい、他社製品についてはちょっとコメントできませんが、イズカーゴについては、約3時間ほどの投与時間になります。

**橋口 [Q]**：その長さが、軽症患者さんへの浸透において、どのようなインパクトが出るとお考えですか。

**芦田透 [A]**：実際、現在までの実臨床の間では、そのような形、そのような部分についてのご指摘があるのはございますが、粘り強く主治医のKOLの先生方と臨床現場において、われわれのプロモーション活動を行っております。

**橋口 [M]**：はい、ありがとうございました。以上です。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



**司会 [M]**：橋口様、ありがとうございました。それでは、続いてのご質問です。三菱 UFJ モルガン・スタンレー証券、熊谷様、よろしくお願いいたします。

**熊谷 [Q]**：三菱 UFJ モルガン・スタンレーの熊谷です。ありがとうございます。一つ目が、JR-141 のグローバルフェーズ 3 なんですけれども、組み入れ状況ですね、Denali の試験との競合も踏まえて、少しアップデートいただけますでしょうか。

**シュミット\* [A]**：シュミットです。質問ありがとうございました。唯一パブリックの情報といたしましては、Denali Therapeutics のステートメント、これは MPS バルセロナのファミリーコンフェレンスで示されました。これは 10 月です。

そちらのコンフェレンスでアナウンスされましたのは、最初の患者さんへのファーストドーズ、グローバルのフェーズ 3、DNL310、これは 9 月の中旬にアメリカで実施されたということです。

ですので、それを実際に JR-141 のグローバルスタディの進捗と比べますと、私たちは、それよりもずっと先んじていると、いい良好な結果が出るということでした。

**熊谷 [Q]**：二つ目です。契約関係、社長様より冒頭で詳しくコメントがあったんですけれども、通期計画のご達成に向けて、やはりここの契約金収入の依存度が高いので、154 億円の計画に対してのこの達成確度というところで、少しカラーをいただけたらと思います。質問は以上です。

**芦田信 [A]**：はい、契約は、ライセンス契約については、ずっと話を今続けているところです。

まず、レアディジーズのウルトラレアのほうのアセットについては、近々契約できるんじゃないかなと思っております。その他のライソゾーム病については、今、一つずつであれば割に早くできないことはないんですが、これをまとめてやってもらう契約を、話をしております、これがうまくまとまるほうが、われわれの将来にとって非常に楽ではないかなと思っております。

それと JR-142 についても話を始めております、これは来期にフェーズ 3 に入るので、割に早く、今期中にまとまるのではないかなと考えております。

**熊谷 [M]**：よくわかりました。ありがとうございました。

**司会 [M]**：熊谷様、ありがとうございました。それでは、続きましてのご質問です。モルガン・スタンレー MUFG 証券、村岡様、よろしくお願いいたします。

**村岡 [Q]**：村岡です。ありがとうございます。一つ目なんですが、今のウルトラレアの契約がまとまるという話、近々、ちょっと近々という言葉の解釈みたいな話は過去も何回もやってきて、覚え

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



てはいるのですが。近々というのは、第4Q待たずに、年内ぐらいにはウルトラレアのほうはまとめられそうだというニュアンスだと解釈してよろしいのでしょうか。

**芦田信 [A]**：はい、年内にはまとまる、年内には確実にまとまると、とっておいていただいて結構でございます。

**村岡 [Q]**：その場合、154億の半分以上行けそうですか。

**芦田信 [A]**：内容については申し上げられませんが、年内には確実にまとまるということです。

**村岡 [Q]**：わかりました。ありがとうございます。もう一つなんですが、イズカーゴの国内売上の考え方がどうにもわからなくて。予定通りであると、予定通り10人が新規に入りました。年間52億の計画に対して21億ですと。残り30億を残り6カ月で作るには、15億、15億ペースで考えていいのか。

何か頭の中で計算が合わないので、どう考えればいいのか、もう少しだけご解説いただけないでしょうか。

**芦田透 [A]**：はい、ご質問ありがとうございます。すべて正確に今お話しすることはちょっと不可能なんですけれども、基本的には、われわれいろいろな年齢層、既存で治療されている患者さん、それから新たに診断された患者さん含めて、イズカーゴ1日でも早く使っていただこうとプロモーション活動しているわけです。

その中で、まず今年度20名の新規でご使用いただく中で、それに応じて、その患者さんの年齢であったり、体重に応じて投与量が変わります。売上高という意味では、昨年来の、昨年発売して、前期に投与いただいた患者さん、継続いただいている患者さんも当然いらっしゃるって、ベースにございまして、新規の患者さんで、それぞれ年齢も、小児の患者さんが多いですけれども、一番上は50歳の患者さんもいらっしゃいますし、幅広い体重差、投与量の差がございまして。

そちらについて想定をして、これから20名の患者さんに今期使っていただくことで、その売上という意味では、想定では達成すると考えております。お答えになってますでしょうか。

**村岡 [Q]**：20人達成できれば、すみませんね、ちょっと詰めるような質問で恐縮なんですけど、52億は達成ができると、その理解でよろしいでしょうか。

**芦田透 [A]**：そうです、今期20名の新たなイズカーゴの処方患者さんを、今期1年間で20名を処方いただければ、今言いました売上高の目標に到達できるという試算をしております。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



**村岡 [Q]**：わかりました。思ったよりも年齢が低かった、思ったよりも体重が少なかった。なので人数はいくけど、売上は少し未達になりそうですとは解釈しなくてよろしいという。

**芦田透 [A]**：理論上はそういったことは、われわれのほうでコントロールできない部分では、あり得ると思いますけれども、そこはもう1人でも多くの、体重、年齢にかかわらず、イズカーゴの処方患者さんを1人でも多く作っていくことを一つの目的にして活動をしている状況であります。

**村岡 [M]**：わかりました。大変参考になりました。ありがとうございます。

**芦田透 [M]**：ありがとうございます。

**司会 [M]**：村岡様、ありがとうございます。それでは続きまして、SBI証券、川村様、お願いいたします。

**川村 [Q]**：ご説明ありがとうございます。SBI証券の川村です。まずJR-171について教えてください。結果の速報、前回よりも3例か4例多くなって、ご説明ありがとうございます。

このフルの言語障害とかも、言語がどれだけ発達したかどうか副次評価項目で取っていると思うんですよ。フルのデータは、大体いつ頃、われわれに見せていただけるかということと。

もうこれ、御社の場合、J-Brain Cargo を使って、こういうライソゾーム病で、中のCSF中のヘパラン硫酸とか減った場合は、もうニアリーイコール臨床的な症状もある程度改善されると、われわれ思っているんでしょうか。この辺りをご説明いただけないでしょうか。よろしく願います。

**シュミット\* [A]**：患者さんですが、Part2のクリニカルスタディに参加されておりまして、これはオープンラベルのスタディです。ですからデータベースをいつでも見ることができます。ですので、かなりの臨床的なデータが利用可能であると、そしてneurocognitiveなデータは来年の夏に出ます。

しかしながら、今現在のデータベースを見ますと、おそらく既に認識をすることができます。非常に顕著にパターンが示されているんです。すなわち、フェーズ3のデザインに活用できるデータです。そして臨床的なエンドポイントが特定できるという意味です。

そしてさらに強調したいのが、実際のビジョン、そしてJR-171のポテンシャルですけれども、MPS I型からの骨髄移植後の患者さんに対して、65%のMPS I型の患者さんですが、この方たちはcognitiveに大変もがいてらっしゃるということです。ですので、BBBに直接届くJR-171によりまして、非常に大きな改善が期待できるということです。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



ということで、まったく違ったがこの MPS I 型の市場にもたらされるということになります。これでお答えになりましたでしょうか。

**川村 [Q]**：はい、ありがとうございます。あと最後に、多分菌田さんへのご質問になるかと思うんですけども、直近、ライソゾーム病、これファブリーなんですけども、遺伝子治療で、1 年間のフォローアップで、そこそこ良いデータが出てきていると思います。

基本的には遺伝子治療と共存していくと、従前から御社ご説明されていたと思うんですけども、現状、遺伝子治療とのすみ分けに関して、従前と違いがないかどうかを最後ご説明ください。よろしく願いいたします。

**菌田 [A]**：はい、菌田です。遺伝子治療、多分言われているのは、アグロバイオか、Sangamo か、どちらかのデータじゃないかなと思いますけれども、期待をいのように裏切って、いい結果が出ているなど、患者さんにとってはとてもポジティブな結果が出ているなど私も見ております。

あの結果自体は、血中の酵素の濃度と言いますか、レベルがある一定以上に保たれていて、ただよく見ていただくと、やっぱり全員が全員そうではないというのは、あのデータを見ていただくとわかるかなと思います。

ですので、あれがどれぐらい続くのかがおそらく今後とても重要なポイント、あとは安全性のところですね、そこも一つ大きなポイントに今後なってくるんじゃないかと。

なので、現時点でまだ結論付けるのは時期尚早かなと。もう少しデータを長期的に、そして人数も増やして見ていく必要があるんじゃないかなと思います。

あと先ほどシュミットさんにいただいた二つ目の質問、私が答えちゃいますけれども、CSF の HS が減ったことで、クリニカルなアウトカムにもダイレクトに結び付きがあっいいんじゃないかというご質問だったかと思いますが、われわれ、そう信じたいです。

ですし、同じ J-Brain Cargo という技術を使っているんで、そうなるだろうと思っています。ただそうは言っても、各々の疾患で、やはりそれなりに違いがあります。CSF に溜まっている基質の量、種類、それは脳の中に溜まっているものもおそらく違うでしょう。われわれは、マウスのことはわかりますけれども、人の場合、やっぱり脳の中まではわからない。

なので、これ本当に憶測にはなりますけれども、少なくとも、ムコ多糖症においては、かなりそういった確度は高いのではないかと、そういったことは言えるかと思いますが。

**川村 [M]**：はい、ご説明ありがとうございます。以上です。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



司会 [M]：川村様、ありがとうございました。大変恐れ入ります、まだ挙手いただいておりますが、終了予定時刻が近づいておりますので、個別のミーティング等々でご質問をいただければと思います。申し訳ございません。

今後のお問い合わせにつきましては、広報 IR 室の北村までお願いいたします。なお、本日撮影いたしました説明会の動画は、後日弊社ホームページにて配信予定でございます。

以上をもちまして、JCR ファーマ株式会社 2023 年 3 月期第 2 四半期決算説明会を終了いたします。皆様、本日はご視聴いただきまして、誠に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
2. 会話は[Q]は質問、[A]は回答、[M]はそのどちらでもない場合を示す
3. 本トランスクリプトは企業の同時通訳音源を書き起こした内容を含む
4. \* は企業の同時通訳の書き起こしを示す

---

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



## 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。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

