



JCR ファーマ株式会社

2023 年 3 月期決算説明会（プレゼンテーション・質疑応答）

2023 年 5 月 12 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]	2023 年 3 月期決算説明会（プレゼンテーション・質疑応答）
[決算期]	2023 年度 第 4 四半期
[日程]	2023 年 5 月 12 日
[ページ数]	68
[時間]	13:00 – 14:57 (合計：117 分、登壇：70 分、質疑応答：47 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]	7 名 代表取締役会長兼社長 芦田 信（以下、芦田信） 専務取締役 営業担当 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 研究担当 研究本部長	藺田 啓之 (以下、藺田)
上席執行役員 経営戦略担当 経営戦略本部長	伊藤 洋 (以下、伊藤)
上席執行役員 管理担当 管理本部長 兼 総務部長	本多 裕 (以下、本多)
経営戦略本部 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
	モルガン・スタンレーMUFG証券	村岡 真一郎
	三菱UFJモルガン・スタンレー証券	熊谷 直美
	SBI証券	川村 龍太
	野村証券	松原 弘幸
	みずほ証券	都築 伸弥

*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：お待たせいたしました。ただ今より JCR ファーマ株式会社、2023 年 3 月期決算説明会、および新中期経営計画説明会を開催いたします。

まずウェブでご参加の皆様へ、本日の言語設定についてご説明いたします。皆様の Zoom ウィンドウの下方にご覧いただけます通訳アイコンで、オフもしくは日本語、もしくは英語のチャンネルをお選びください。

説明会を始めます前に、ご参加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ありますが、それらは全てリスクなら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、およ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、およ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。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ありますが、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。皆様方から向かって右手より、代表取締役会長兼社長、芦田信。専務取締役営業本部長、芦田透。常務取締役臨床開発担当、マティアス・シュミット。

シュミット*：よろしく申し上げます。

司会：なお、マティアス・シュミットは米国からのリモート参加となります。

続きまして、常務取締役研究本部長、藺田啓之。後段左手より、上席執行役員経営戦略本部長、伊藤洋。上席執行役員管理本部長、本多裕。最後に経営戦略本部経理部長、太田義博でございます。

続きまして、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 5 月 11 日 16 時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

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



ください。また、会場ではお手元に資料をお配りしております。資料がない方がいらっしゃいましたら、挙手いただきますようお願いいたします。

次に、本日の説明会の流れについてご案内いたします。本日はプレゼンテーション、および質疑応答を含めた2時間を予定しております。ご質問はプレゼンテーションが全て終了した後、まとめてお受けいたします。質疑応答のお時間は、約1時間を想定しております。

それでは早速、会長の芦田よりご挨拶させていただきます。芦田会長、お願いいたします。

芦田信：よろしくをお願いいたします。JCR ファーマの芦田でございます。皆様におかれましては、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。

本日の決算説明会は、2023年3月期の決算概要、研究開発のご報告と、新たに策定いたしました新中期経営計画 Reach Beyond, Together について、各担当者からご説明をいたします。

現在までの中期計画では、安定的な成長と多くの成果を生み出しました。特に J-Brain Cargo の実用化に世界で初めて成功したことは、大きな成果だと思っています。これは当社が研究開発とモノづくりに強みがあってこそその結果であると考えています。

われわれはバイオ医薬品の研究から製造まで一貫して対応できる、日本では数少ない会社の一つではないかと思っています。われわれ自身、JCR 自身でこの J-Brain Cargo というモダリティを使って、ライソゾームを中心にした希少疾病の研究開発をさらに推し進めるほか、革新的なタンパク質製造や遺伝子治療などの開発を通じて、1人でも多くの患者さんやご家族の皆様、JCR でしかできない特徴を持った医薬品をお届けするのが、われわれ JCR の使命であると思っています。

われわれは新たな5カ年中期経営計画において、安定した経営基盤を確保し、企業価値の最大化をさせるためのいろいろな取り組みを強化してまいります。

前期決算では、アストラゼネカワクチンの原液の製造が終了し、契約金収入の減少と相まって減収減益となりましたが、ライソゾーム病治療薬のグローバル提携や、われわれのモダリティのライセンスの拡大など、複数の契約交渉に臨みました。

その結果、10月にはメディパルホールディングス社とのウルトラレアのグローバル化、事業化に関する契約を締結し、3月にはアストラゼネカの希少疾病部門であるアレクシオンと、神経変性疾患に対するグローバル共同研究の契約を締結いたしました。さらに昨日リリースいたしました、アンジェリーニ社とわれわれは、われわれの J-Brain Cargo を使ったてんかん薬の開発について契約を締結いたしました。

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



今期も当社の中心である研究開発には、投資を積極的に行っていきたいと思っています。サンフィリップ症候群 A 型治療薬である JR-441 の臨床入りは目前に控えており、サンフィリップ症候群 B 型の治療薬である JR-446 の来年の臨床入りに向けた準備も、着々と進んでいます。またアレクシオン、アンジェリーニ社と同じように、われわれの基盤技術を使ったものを、他社に積極的に導出を続けてまいります。

当社は第 2 の創業期と捉えており、次世代のグローバルリーダーを育成するために、JCR アカデミーといった研修制度を開始しています。人財の育成にも、これまで以上に積極的に取り組んでいきたいと思っています。

われわれはさらに新たな価値を見出すために、常に挑戦を続けております。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。ありがとうございました。

司会：それではこれより、太田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。

JCR 決算ハイライト

通期実績 (2023年3月期)		契約金収入およびAZD1222原液製造の減収により 減収減益	
売上高	: 34,343百万円 (前期比 Δ 32.8%)		
営業利益	: 4,975百万円 (前期比 Δ 75.0%)		
経常利益	: 5,418百万円 (前期比 Δ 73.6%)		
親会社株主に帰属する 当期純利益	: 3,772百万円 (前期比 Δ 74.0%)		
		<ul style="list-style-type: none"> ■ 主力製品：イズカーゴ[®]は前期比で増加したものの、グロウジェクト[®]ならびに腎性貧血治療薬は薬価改定の影響を受け前期比から減収となった。 ■ 販売・一般管理費は社員数の増加により人件費は増加しているものの、各コスト削減の積み上げの結果、前期比で減少。一方、研究開発費は順調に進捗していることにより前期比で増加となった。 	

太田：私、経営戦略本部経理部の太田と申します。よろしくお願いいたします。本年度の決算の概要につきまして、ご説明申し上げます。

先ほど、芦田のほうからもございましたが、今年度につきましては契約金収入、およびアストラゼネカワクチンの原液製造のほうが予定どおり終了したことによりまして、減収というかたちになっております。これによりまして、減収減益となっております。

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

売上高につきましては343億4,300万円と、前期比で32.8%の減収となっております。また営業利益につきましては前期比75%減の49億7,500万円、経常利益につきましては前期比73.6%減の54億1,800万円。また当期純利益につきましても、前期比74%減の37億7,200万円となっております。

なお、これらにつきましては3月に通期予想の修正をさせていただきましたけれども、そちらとほぼ同じ水準で着地した状況でございます。

主力製品につきましては、イズカーゴにつきましては前期比で増加しておりますけれども、グロウジェクト、ならびに腎性貧血治療薬は薬価改定の影響を受けておりまして、前期から減収となっております。

販売・一般管理費につきましては人件費は増加しておりますが、各コストにつきましては削減を図り、それらの積上げの結果、トータルといたしましては前期比で減少といった状況になっております。

一方、研究開発費につきましては積極的に投資するところによりまして、また順調に進捗していることもございますので、前期比で増加となっております。

次のページに、今申し上げました数字につきまして詳細を記載させていただいております。

JCR		連結決算概要			(単位：百万円)	
連結	2022年3月期 A	2023年3月期 B		参考 予想 (修正後)		
			前期比 (B-A)/A			
売上高	51,082	34,343	△32.8%	34,200	◆営業利益 4,975百万円 対前期△14,958百万円	
売上原価	10,461	8,886	△15.1%	-	2022年3月期 19,933	
売上総利益	40,620	25,456	△37.3%	-	売上高 △16,738	
販売・一般管理費	13,511	11,678	△13.6%	11,500	売上原価 +1,574	
研究開発費	7,175	8,802	+22.7%	8,900	販売・一般管理費 +1,832	
営業利益	19,933	4,975	△75.0%	5,000	研究開発費 △1,626	
経常利益	20,512	5,418	△73.6%	5,200	2023年3月期 4,975	
親会社株主に帰属する 四半期/当期純利益	14,507	3,772	△74.0%	3,800	(単位：百万円)	
対売上高					主な増減要因(前年同期比)	
売上原価率	20.5%	25.9%	+5.4%		・ 契約金収入減少・AZD1222原液製造の終了による 売上高の減少 △16,738百万円	
研究開発费率	14.0%	25.6%	+11.6%		・ 売上高減少に伴う売上原価の減少 +1,574百万円	
営業利益率	39.0%	14.5%	△24.5%		・ コスト削減の積み上げによる販売・一般管理費の改善 +1,832百万円	
(ご参考)					・ 研究開発への積極的な投資 △1,626百万円	
共同開発先による負担控除前の 研究開発費	7,671	9,480	+23.6%	-		

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Financial 2

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



右側のほう、変動要素、ならびに変動要因を書かせていただいております。こちらは先ほどおおむねご説明申し上げましたけれども、研究開発が今年度真ん中辺りにございますけれども88億円で、前年同期比22.7%の増となっているところが大きな特徴となっております。

また一番下に研究開発につきまして、共同開発先による負担を控除前の金額を記載させていただいております。こちらにつきましては、今年度は94億8,000万円で、こちらも前年に比べますと23.6%の増加となっております、研究開発に積極的に投資しているところをご理解いただければと思います。

品目	2022年3月期		2023年3月期			参考 予想 (修正後)
	金額	構成比	金額	構成比	前期比	
グロウジェクト®	12,945	25.3%	12,261	35.7%	△5.3%	12,000
イズカーゴ®	3,003	5.9%	4,428	12.9%	+47.4%	4,500
腎性貧血治療薬	5,875	11.5%	4,696	13.7%	△20.1%	4,750
エポエチンアルファBS注「JCR」	2,876	5.6%	2,710	7.9%	△5.8%	2,650
ダルベポエチンアルファBS注「JCR」	2,998	5.9%	1,986	5.8%	△33.7%	2,100
テムセル®HS注	3,497	6.9%	3,404	9.9%	△2.7%	3,400
アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」	711	1.4%	964	2.8%	+35.6%	1,000
医薬品等合計	26,032	51.0%	25,755	75.0%	△1.1%	25,650
契約金収入	10,571	20.7%	6,546	19.1%	△38.1%	6,500
その他	102	0.2%	109	0.3%	+7.3%	120
AZD1222原液製造	14,375	28.1%	1,931	5.6%	△86.6%	1,930
売上高合計	51,082	100.0%	34,343	100.0%	△32.8%	34,200



- 主な増減要因（前年同期比）
- グロウジェクト薬価改定（△8.1%） △683百万円
 - イズカーゴ 17例への処方開始 +1,424百万円
 - ダルベポエチン薬価改定（△12.3%）に対するキッセイ薬品工業との販売価格調整など △1,011百万円
 - 契約金収入 契約交渉の期ずれなど △4,025百万円
 - AZD1222原液製造の予定通りの終了 △12,443百万円

続きまして、各製品ごとの売上高につきましてご説明申し上げます。

グロウジェクトにつきましては、前期比で5.3%の減となっております。こちらは右側に増減要因を記載させていただいておりますが、薬価改定が8.1%グロウジェクトにつきましてはございました。これによりまして、グロウジェクトの売上高は5.3%の減となっております。

一方、イズカーゴにつきましては17例の処方開始を行ったこともございますので、前期比14億2,400万円の増加、比率にいたしまして47.4%の増で、大きく増加したところでございます。

また腎性貧血治療薬につきましては、ダルベポエチンの薬価改定12.3%が大きく影響しておりまして、金額といたしまして10億1,100万円の減収となっております。

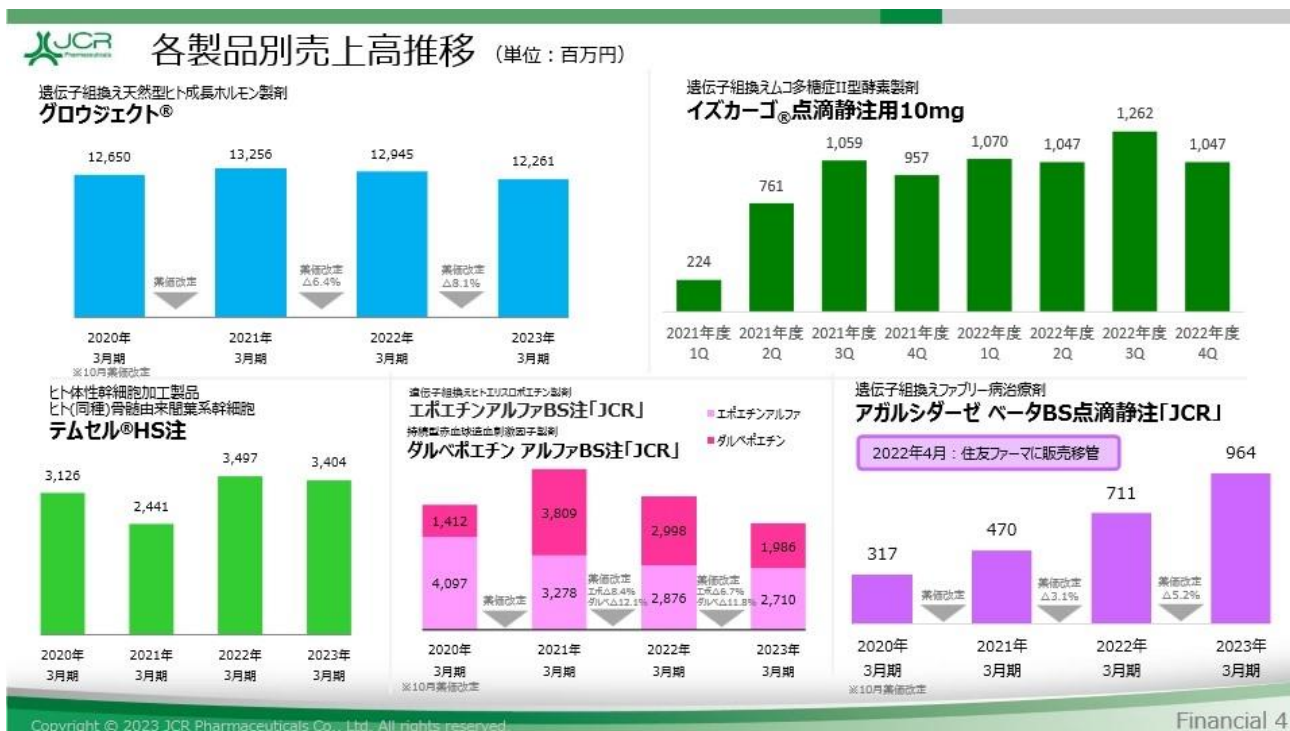
サポート

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



また契約金収入につきましては、契約交渉の期ずれなどによりまして40億円の前期比で減収となっております。

また、アストラゼネカワクチンの製造のほうが予定どおり終了したところをごさいまして、こちらは前期比で124億4,300万円で、こちらが影響がかなりあったところをごさいます。



続きまして、各製品ごとの売上高の推移をグラフにしております。こちらは参考としてご覧いただければと思います。

サポート

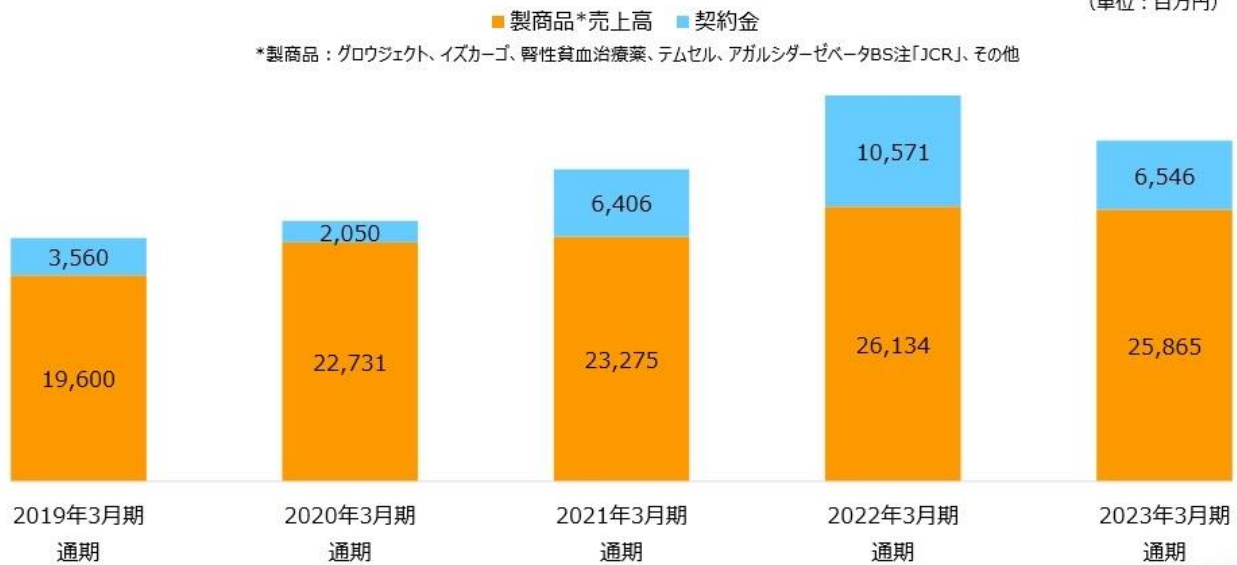
日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com





売上高推移（AZD1222原液を除く）

（単位：百万円）



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Financial 5

また売上高の推移、こちらは売上高トータルです。オレンジの部分製商品トータルの売上高、また水色のところが契約金収入の推移となっております。

こちらオレンジの部分、製商品の売上高は、ほぼ順調に右肩上がり推移しているところがございます。



財務状態（連結）

（単位：百万円）

	2022年 3月末	2023年 3月末	増減 ・主な増減項目		2022年 3月末	2023年 3月末	増減 ・主な増減項目
流動資産	62,188	47,802	計 △ 14,385 ・現預金 △17,454 ・売掛金 △ 4,448 ・たな卸資産 + 3,854	流動負債	42,054	35,762	計 △ 6,292 ・未払法人税等 △ 5,881 ・短期借入金 + 1,650
				固定負債	3,990	6,761	計 + 2,770 ・長期借入金 + 3,050
固定資産	34,946	47,135	計 + 12,188 ・有形固定資産 + 5,898 ・関係会社株式 + 6,710	負債合計	46,045	42,523	計 + 1,324 ・配当金 △ 2,740 ・利益計上 + 3,772
合計	97,134	94,937	△ 2,196	純資産合計	51,089	52,413	
				合計	97,134	94,937	△ 2,196
				自己資本比	51.8%	54.2%	

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Financial 6

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



続きまして、財政状態につきましてご説明申し上げます。

まず資産合計は 949 億 3,700 万円と、前期比では 21 億 9,600 万円の減となっております。

こちらは、まず流動資産につきましては前期比で 143 億 8,500 万円の減少となっております。こちらの主な要因といたしましては、現預金が 174 億 5,400 万円減少しているところでございます。こちらにつきましては、後ほどキャッシュ・フロー計算書のご説明の中で申し上げます。

また、固定資産につきましては 121 億 8,800 万円の増加となっております。こちらの主な要因といたしましては、まず有形固定資産が前期比で 58 億 9,800 万円増加しております。こちらは神戸サイエンスパークの新工場の建設にかかる資金によりまして、主に増加している状況でございます。

また、関係会社株式が 67 億 1,000 万円増加しております。こちらにつきましては昨年度、台湾 Mycenax 社に対する出資を行ったところが主な要因となっております。

これらによりまして、資産合計は 21 億 9,600 万円の減少となっております。

一方、負債合計につきましては 425 億 2,300 万円と、前期比で 35 億 2,100 万円の減少となっております。

こちらの主な減少要因といたしましては、未払法人税が 58 億 8,000 万円減少しているところが主な要因となっております。こちらにつきましては前期利益を計上しておりますので、前期末の時点で未払法人税が計上されておりました。それにつきまして今年度に支払を行ったところで、未払法人税が減っております。

一方で、借入金につきまして実施いたしました。これによりまして、借入金につきましては 47 億円の増加となっております。

また純資産合計は 524 億 1,300 万円と、前期比で 13 億 2,400 万円の増加となっております。

こちらにつきましては今期、利益が 37 億 7,000 万円計上されたのに対しまして、配当金で配当 27 億 4,000 万円を行った結果、13 億 2,400 万円の増加となっております。

なお自己資本比率につきましては 54.2%で、前期比では 2.4%上昇している状況でございます。

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 A	2023年3月期 B	増減 B-A
税金等調整前純利益	19,404	5,412	△13,991
減価償却費	1,945	1,997	+52
売上債権・未収入金（△増加）	△ 7,501	3,269	+10,771
棚卸資産（△増加）	△ 1,082	△ 3,877	△ 2,795
仕入債務・未払金（+増加）	1,424	△ 2,162	△ 3,587
法人税等支払	△ 2,517	△ 8,279	△ 5,761
その他	△ 2,362	△ 1,859	+523
営業活動によるCF	9,289	△ 5,500	△ 14,789
関係会社株式取得	-	△ 6,717	△ 6,717
設備投資	△ 11,333	△ 8,560	+2,773
その他	8,083	275	△ 7,808
投資活動によるCF	△ 3,250	△ 15,002	△ 11,752
借入金	-	4,700	+4,700
配当金・自己株式	△ 2,158	△ 2,729	△ 570
その他	△ 20	△ 22	△ 2
財務活動によるCF	△ 2,179	1,948	+4,127
現金及び現金同等物の増減額	4,472	△ 17,454	△ 21,927
期末現金及び現金同等物	30,733	13,278	△17,454

【ご参考】

減価償却費	1,945	1,997
設備投資（助成金控除後）	4,472	4,330

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Financial 7

続きまして、連結キャッシュ・フローの状況につきましてご説明申し上げます。

こちらは先ほど申し上げましたとおり、現預金残高につきましては174億5,400万円減少しております。

こちらの要因といたしまして、営業活動によるキャッシュ・フローが55億円のマイナスとなっております。こちらの大きな要因といたしましては、先ほど申し上げました法人税の支払が82億7,900万円あったところが、営業キャッシュのマイナスの最も大きな要因となっております。

また、投資活動によるキャッシュ・フローは150億円の支出となっております。こちらにつきましても先ほど申し上げましたが、関係会社株式、こちら台湾 Mycenax 社の株式の取得によりまして、67億1,700万円のキャッシュアウト。また設備投資におきましても85億6,000万円のキャッシュアウトがございましたので、これらによりまして、投資活動によるキャッシュ・フローが150億円の支出となっております。

一方、財務活動によるキャッシュ・フローにつきましては、借入金47億円を行ったところがございますので、トータルでは19億4,800万円の収入となっております。

これらによりまして、期末現金および現金同等物残高といたしましては、132億7,800万円となっております。

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



なお下にご参考といたしまして、減価償却費、ならびに設備投資の額を記載させていただいております。減価償却費につきましては前期とほぼ同水準の 19 億 9,700 万円、また設備投資につきましては助成金控除後の金額となっておりますが、こちらにつきましては前年とほぼ同水準の 43 億 3,000 万円という結果となっております。



2024年3月期 予想ハイライト

業績予想 (2024年3月期)	売上高	: 36,900百万円 (前期比 + 7.4%)
	営業利益	: 5,600百万円 (前期比 +12.5%)
	経常利益	: 5,200百万円 (前期比 △ 4.0%)
	<small>親会社株主に帰属する</small> 当期純利益	: 3,800百万円 (前期比 + 0.7%)
	<ul style="list-style-type: none"> ■ 主力製品売上高の堅調な維持および、確実な契約交渉見込みにおいて、堅実な増収を目指す。 <ul style="list-style-type: none"> ・ イズカーゴ®は今期より住友ファーマ株式会社と共同プロモーションを開始。 ・ グロウジェクト®は少子化による市場縮小傾向および薬価改定 (△5.1%) の影響を織り込む。今期からSHOX異常症に対する適応拡大が期待されるが、患者数から売上高への影響は大きくないと予想。 ・ 腎性貧血治療薬は出荷量は増加し、増収を見込む。 ・ ライセンス事業への積極的な取り組みを継続し、契約金収入8,100百万円を見込む。 ■ 販売・一般管理費は引き続き前期比減を見込む一方で、グローバル臨床試験の進捗を受けて研究開発費のさらなる前期比増加を見込む。 <ul style="list-style-type: none"> ・ 販売・一般管理費 △ 3.2% ・ 研究開発費 +10.2% 	

続きまして、2024年3月期の予想につきましてご説明申し上げます。

売上高につきましては、前期比 7.4%増の 369 億円を予想しております。また営業利益につきましても、前期比 12.5%増の 56 億円、経常利益につきましては前期比 4%減の 52 億円、当期純利益につきましても前期比 0.7%増の 38 億円を予想しております。

主力製品の売上高につきましては、堅調の維持を見込んでおります。また契約交渉におきましては確実な契約交渉を見込んでいる状況でございます。これらによりまして堅実な増収を目指しているかたちでございます。

イズカーゴにつきましては、今期より住友ファーマ株式会社との共同プロモーションを開始いたします。

一方、グロウジェクトにつきましては少子化により市場縮小傾向、および薬価改定が 5.1% マイナスでございます。これらの影響を織り込んだかたちとなっております。

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

また、腎性貧血治療薬につきましては出荷量が増加することがございますので、増収を見込んでおります。

またライセンス事業は積極的な取り組みを継続いたしまして、契約金収入につきましては81億円を見込んでいます。

また販売・一般管理費につきましては、引き続き前期比で減少するところを見込んでおります。一方でグローバル臨床試験の進捗等々を受けまして、研究開発費につきましてはさらなる投資を計画しております、こちらはさらに前期比で増加するところを見込んでおります。



2024年3月期 予想

(単位：百万円)

連結	2023年3月期 A	2024年3月期(予) B	増減 B-A	増減率 (B-A)/A
売上高	34,343	36,900	+ 2,556	+ 7.4%
売上原価	8,886	10,300	+ 1,413	+15.9%
売上総利益	25,456	26,600	+ 1,143	+ 4.5%
販売・一般管理費	11,678	11,300	△ 378	△ 3.2%
研究開発費	8,802	9,700	+ 897	+10.2%
営業利益	4,975	5,600	+ 624	+12.5%
経常利益	5,418	5,200	△ 218	△ 4.0%
親会社株主に帰属する 当期純利益	3,772	3,800	+ 27	+ 0.7%
対売上高				
売上原価率	25.9%	27.9%	+ 2.0%	
研究開発费率	25.6%	26.3%	+ 0.7%	
営業利益率	14.5%	15.2%	+ 0.7%	
(ご参考)				
共同開発先による負担控除前の 研究開発費	9,480	11,700	+ 2,219	+ 23.4%

補足説明（前年同期比）

営業利益への影響

- 売上高の増加 +2,556百万円
 - 主に腎性貧血治療薬の販売数量増加などに伴う売上原価の増加 △1,413百万円
 - 研究開発費の増加 △897百万円
 - 人件費増加の一方で、各コスト削減積み上げによる販売一般管理費の減少 +378百万円
- ⇒ 営業利益 +624百万円

経常利益への影響

- 昨年、第三者割当増資の引受を実施した台湾Mycenax社に関する持分法投資損失の計上
- ⇒ 経常利益 △218百万円

当期純利益への影響

- 税額控除等による税負担率の減少
- ⇒ 当期純利益 +27百万円

こちらはハイライトを数値化したものでございます。

右側に影響につきまして記載させていただいておりますが、繰り返しになりますが売上高が25億円の増加、また売上高の増加によりまして売上原価も増加いたしますので、こちらは営業利益に対しましては14億円の減少要因となります。

また、研究開発費につきましては前期比8億9,700万円の増加がございますので、営業利益全体といたしましては6億2,400万円の増加の56億円を見込んでおります。

また経常利益の影響といたしまして、昨年第三者割当増資の引受を実施いたしました、台湾Mycenax社に関する持分法投資損失の計上が見込まれております。これによりまして、経常利益につきましては前年比2億1,800万円の減少となっております。

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



これらによりまして、当期純利益につきましては 38 億円を見込んでいる状況でございます。

なお、一番下に共同開発先による負担控除前の研究開発費につきまして記載させていただいておりますが、こちらにつきましては 117 億円という数字を見込んでおります。これは前年比で 22 億円、23.4%の増となっております、研究開発活動につきまして積極的に投資を行うところを表しているものでございます。



2024年3月期 予想 (内訳)

(単位：百万円)

品目	2023年3月期		2024年3月期 (予)		増減 (B-A)
	A	構成比	B	構成比	
グロウジェクト®	12,261	35.7%	10,900	29.5%	△1,361
イズカーゴ®	4,428	12.9%	5,200	14.1%	+771
腎性貧血治療薬	4,696	13.7%	5,400	14.6%	+703
エポエチンアルファ B S 注「JCR」	2,710	7.9%	2,600	7.0%	△110
ダルバエチンアルファ B S 注「JCR」	1,986	5.8%	2,800	7.6%	+813
テムセル® H S 注	3,404	9.9%	3,100	8.4%	△304
アガルシダーゼ ベータ B S 点滴静注「JCR」	964	2.8%	1,600	4.3%	+635
医薬品等合計	25,755	75.0%	26,200	71.0%	+444
契約金収入	6,546	19.1%	8,100	22.0%	+1,553
その他	109	0.3%	2,600*	7.0%	+2,490
AZD1222原液製造	1,931	5.6%	-	-	△1,931
売上高合計	34,343	100.0%	36,900	100.0%	+2,556

※製造受託など

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Financial 10

続きまして、売上高の製品ごとの予想につきましてご説明申し上げます。

まず一番上、グロウジェクトにつきましては 109 億円を見込んでおります。こちらにつきましては先ほど申し上げました薬価改定の影響、5.1%の影響が主な要因となっております。一方、イズカーゴにつきましては 52 億円、前期比 7 億 7,100 万円の増加を見込んでおります。

また腎性貧血治療薬につきましても、こちらトータルで 54 億円と前期比で 7 億円の増収を見込んでおります。またテムセルにつきましては 31 億円、前期比で 3 億円の減と現時点では見込んでいる状況でございます。またアガルシダーゼベータにつきましては 16 億円、前期比で 6 億 3,500 万円の増加という予想をしております。

これらによりまして、医薬品等合計につきましては 262 億円と、前期比で 4 億 4,400 万円の増加を計画しております。

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



また契約金収入につきましては81億円、それからその他といたしまして26億円を見込んでおります。こちらの26億円につきましては製造受託などを計画しております。

これらによりまして、売上高を合計といたしましては369億円と、前期比で25億5,600万円の増加を計画しております。

続きまして、イズカーゴの処方状況につきましてご説明申し上げます。こちらにつきましては専務取締役、芦田のほうからご説明させていただきます。



芦田透：それでは私より、イズカーゴの処方状況につきましてご説明させていただきます。

イズカーゴの販売開始後、ムコ多糖症Ⅱ型の患者さんの病態であったり、重症度、年齢を問わず、イズカーゴ、特にJ-Brain Cargo技術への期待が顕在化し、われわれの想定以上のスピードで市場の浸透が進みました。

2023年3月末には累積症例数が77例、投与症例数は64例に達しております。発売後2年未満で、想定の内市場の5割近い患者さんのシェアをいただいております。今後、さらに多くの患者さんにイズカーゴをお届けするために、イズカーゴの投与ニーズが顕在化していない患者さんへのアプローチを行っていく段階にきてい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@scriptsasias.com



次の研究開発の報告において説明もごさいますが、軽症型にも認知発達機能の低下が認められる患者さんがいらっしゃることも、また JR-141 がそのような患者さんに対してベネフィットをもたらすことが示唆されております。

イズカーゴの特徴から、いわゆる重症型や、中枢神経症状が顕在しつつある患者さんにはベネフィットがあると思われていますが、一方で軽症型、中枢神経症状がまだ出ていない患者さんにもベネフィットをもたらす得るメッセージを、われわれとしては医療従事者に届けていきたいと考えております。

このムコ多糖症Ⅱ型の領域において、医療従事者への情報提供で統一的なアプローチ方法は存在しないと考えております。患者さん個々に、それぞれ多様な背景が存在するからであります。その患者さん個々の背景に向き合ってニーズを把握し、治療される医療従事者に対して丁寧なアプローチをしていくことが求められております。

多様な背景、ニーズによりきめ細やかに対応するために、本年4月より従来よりテムセルは専任MRでございましたが、イズカーゴ、グロウジェクトとともに全て製品別のプロモーション体制を導入いたしました。

ムコ多糖症Ⅱ型では、イズカーゴ専任のMRを全国に配置することで、より専門的、かつ患者さんや先生のニーズに合った情報提供が可能になると考えております。

また先ほどもご案内がありました、今年4月24日より住友ファーマ株式会社とのコ・プロモーションを開始いたしました。ご存じのとおり、住友ファーマ社はライソゾーム病領域における認知度や、これまでの貢献度が非常に高いパートナーです。また当社と住友ファーマ社は、古くは成長ホルモンの共同販売、最近ではアガルシダーゼベータ BS の販売移管など、20年以上にわたって特別な関係を構築してまいりました。

臨床に携わっておられる医療従事者の方々に対して、患者様に寄り添った活動、またイズカーゴの情報提供活動を、住友ファーマ社との協業によってこれまで以上に加速し、イズカーゴの製品力との相乗効果によって、さらなる処方拡大が期待できると考えております。

私より、以上ご報告させていただきます。

司会：続きまして藺田より、事業内容についてご報告いたします。よろしく願いいたします。

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@scriptasia.com





JCRトピックス (2022年10月27日～2023年5月11日)

2022年

- ◆10月 – フコシドーシス治療薬 (開発番号: **JR-471**) 開発着手
- 株式会社メディバルホールディングスと超希少疾病4疾患に対するグローバル事業化の独占的交渉権付与についての覚書およびフコシドーシスに対する治療薬の事業化についての実施許諾契約を締結

- ◆11月 – 新原薬工場 神戸サイエンスパークセンター竣工

2023年

- ◆1月 – JR-141 米国FDAよりRare Pediatric Disease指定
- ヨーロッパ品質研究協会 (ESQR) の「ベストプラクティス賞」を受賞
- ◆3月 – ライソゾーム病に対する J-Brain Cargo®技術を用いた遺伝子治療に関する武田薬品工業株式会社との共同開発において、マイルストーンである非臨床 PoC を達成
- アレクシオン・アストラゼネカ・レアディーズ (アレクシオン社) と J-Brain Cargo®技術を用いた神経変性疾患治療薬に関する共同研究、選択権およびライセンス契約を締結
- ◆4月 – 住友ファーマ株式会社と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10mg」の日本における共同プロモーションに関する契約を締結
- ◆5月 – アンジェリーニファーマとてんかんに対する新規生物学的治療薬の独占的グローバル開発および商業化契約を締結

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 1

菌田：改めまして、こんにちは。研究を担当しています菌田です。私から事業内容に関して報告いたします。

まず、昨年の10月以降のトピックスをここにまとめております。時間の関係でここで話しすることはせず、主要なものに関しては以降のスライドで説明をしたいと思います。



目次

■ 研究開発品の進捗報告

■ 今後の開発スケジュール

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 2

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



今日はこの二つですね。研究開発品目の進捗状況をお伝えすると、あとはそれらの今後の開発スケジュールについてお話ししたいと思います。

JCR Pharmaceuticals J-Brain Cargo® 技術を適用した研究開発品の進捗報告



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 3

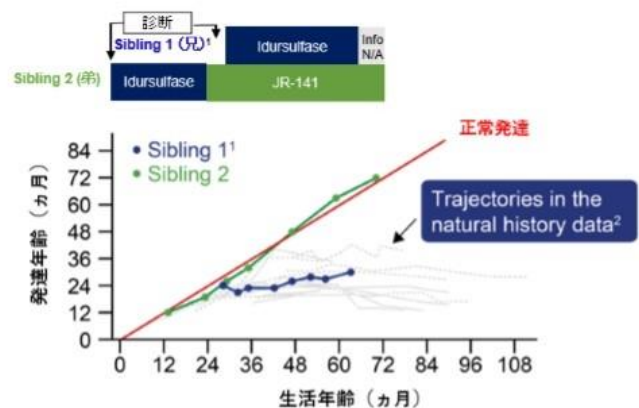
まず一つ目の研究開発品目のところですが、ここを三つに分けております。ライソゾーム病関連とそれ以外、そして酵素以外のという意味ですが、さまざまなモダリティへの応用事例ということで、この三つでお話をします。

JCR Pharmaceuticals JR-141 継続投与結果① (WORLDSymposium™ 2023発表内容)

JR-141 イズカーゴ® (日本における製品名)
pabinafufu alfa (血液脳関門通過型 遺伝子組換えイズロン酸-2-スルファターゼ)

WORLDSymposium™ 2023発表内容は以下リンク先を参照
[giugliani-16-9-poster-05b.pdf](https://www.jcr-pharm.com/press-releases/2023-05-16-05b.pdf)

- Sibling1(兄)はイデユルスルファターゼの治療後、重症型ムコ多糖症II型の患者の自然歴と同様の神経発達経過をたどった
- Sibling2(弟)はJR-141の治療後、正常な神経発達経過をたどった
- 中枢神経系症状を有するムコ多糖症II型患者では、発達年齢スコアは通常5歳までに低下する



¹Tomita K et al. JIMD Rep 2021;62:9-14. ²Seo JH et al. Mol Genet Metab Rep 2020;24:100630.

▶▶ **ムコ多糖症II型において、血液脳関門通過型酵素製剤を用いた早期治療の重要性を支持する**

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 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@scriptasia.com



まず、ライソゾーム病関連です。まず JR-141、イズカーゴの話をしたと思います。これは皆さんご存じのとおり、J-Brain Cargo を適用した一つ目、われわれにとって第 1 号のパイプラインになります。日本では 2021 年に承認を取っていますし、グローバルでは今フェーズ 3 の臨床試験をしている最中です。

日本で、そしてブラジルでたくさんの投与事例があります。長期の投与事例もあります。そういった中からイズカーゴ、そして J-Brain Cargo の特性といいますか能力といいますか、そういったものが見えてきた事例を今日少しお話ししたいと思います。

ここに示しているのは、今年の 2 月に WORLDSymposium というライソゾーム病で一番大きな学会で、米国でいつも開催されるものですが、そこで発表した内容になります。これは日本の患者さんのご兄弟、ご兄弟 2 人とも Hunter 症候群の患者さんですが、の例になります。

このグラフに書いてあるのがその 2 人の発達評価の推移を表していて、お兄さんが青色、そして弟さんが緑色で示しています。残念なことにお兄さんはイズカーゴの開発に間に合わずに、従来の酵素、つまり頭に行かない酵素を投与されています。そして弟さんは途中からイズカーゴの投与を受けております。

この赤い線が正常発達です。つまり 2 歳になれば 2 歳の発達がある。3 歳になれば 3 歳の、というのが正常な発達になります。これはこの赤い線で示してあります。つまり赤い線から右下にずれていくと、正常よりも遅れていることになります。

ここで見ていただくと一目瞭然です。青色の線は従来の治療、もしくはナチュラルヒストリーといいますが、Hunter 症候群の重症型の患者さんがたどられる経緯、まさしくそのど真ん中をいっておられます。

そしてイズカーゴの治療を受けた弟さんのほう、これは緑のラインですが、これは赤い線に沿っているのを見ていただけるかなと思います。つまり正常発達をしていることになります。

これまで Hunter 症候群の重症患者さんでは、5 歳のところで必ず神経発達で何かしらが見られるといわれていますので、こういった症例はおそらくわれわれの知る限り、こういった正常発達は見られたことがありません。

また兄弟例ですので、基本的に同じ遺伝子型を持っています。つまりご兄弟同じ経過をたどられると考えられるところに、イズカーゴを受けた弟さんだけが正常発達をしている現象から、今のイズカーゴ、そしてわれわれの J-Brain Cargo が非常によく患者さんの頭、脳に薬剤を届けているだろうと考えていますし、やはり早期の治療、つまり脳に障害が起こる前にイズカーゴを投与すること

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



で正常発達が期待できるという、非常にわれわれにとってもそうですし、患者さん、そしてそのご家族にとって、とても期待ができる結果になっていると考えています。



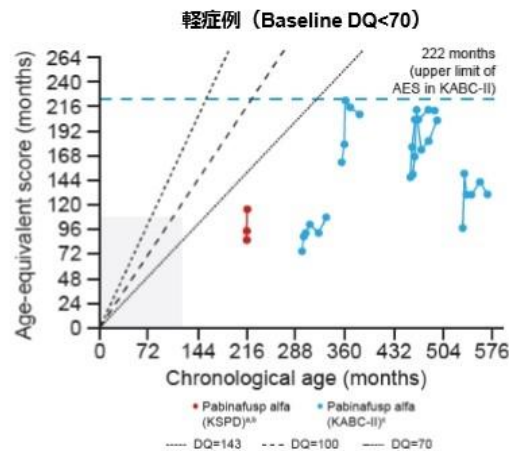
JR-141 継続投与結果② (WORLDSymposium™ 2023発表内容)

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 遺伝子組換えイズロン酸-2-スルファターゼ)

WORLDSymposium™2023発表内容は以下リンク先を参照
[giugliani-16-9-poster-05b.pdf](#)

- 軽症型と分類されているが認知機能の低下が認められる患者が存在する
- それらの患者においてJR-141投与期間中に Age-equivalent score (発達年齢) の改善が認められた



➤ 認知機能が低下している軽症型患者においても、JR-141の中樞神経症状における有効性が示唆される

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 6

次が、先ほどあった軽症型の例になります。これもグラフを同じように見られます。横軸が実年齢で、縦軸が発達年齢という見方になります。これもグラフの線一つが1人の患者さんと観てください。

ここでお伝えしたいことは、軽症の患者さんにも発達が遅れてしまう方がいらっしゃる。そしてそのような患者さんにイズカーゴを使うことで、発達のところが回復し得る可能性があることを、このデータが示しています。

これまで、重症の患者さんは脳に障害がいて発達が遅れてしまうので、イズカーゴは使うべきだ。けれども軽症患者さんの場合は、もうそういったことが起きないので必要ないという話も一部ありましたけれども、こういったデータによって、軽症の患者さんでもそうではない事例があること。

そして最近、これは世界的な考え方ですけれども、軽症、重症という考え方自体が最近は否定されてきていて、軽症であってもいつかは重症になる。つまりそれは分かれるものではなくて、一つの大きなスペクトラムだという考え方に今、なりつつあります。

つまり軽症であっても重症であっても、将来的に脳に障害が出る。発達のところに影響が出る可能性があるので、そういったものを先ほど言ったように出る前に投与するのが、とても重要である。

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



つまり早くイズカーゴのような血液脳関門を通過できる、そして頭に薬効が期待できるような薬剤を打つことが、とても重要だということを示しています。

JCR JR-171 開発状況

JR-171 lepunafusp alfa (血液脳関門通過型 遺伝子組換え α -L-イズロニダーゼ)

グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101)

◆ 2023年4月現在：投与は完了し、データ解析中

	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	
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 : NCT04227600	

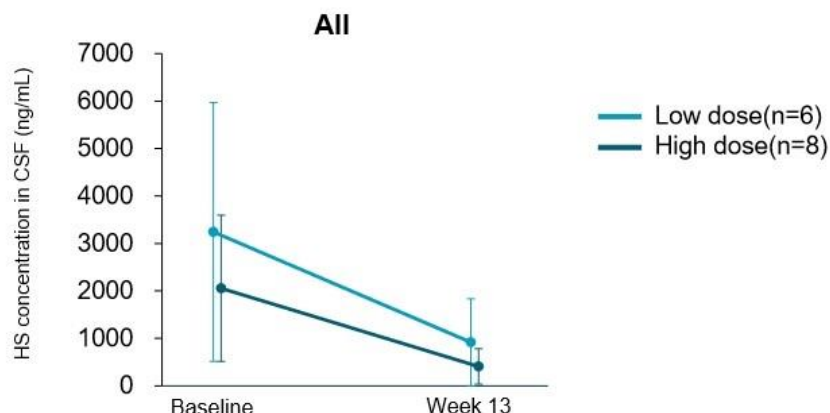
Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved. Business 7

続きまして、JR-171。これは Hurler 症候群です。MPS I 型の治療薬になります。これはフェーズ 1/2 の試験は投与が終了して、今データの解析中になります。

ここに示していますのは、これまでもこれは示していますけれども、フェーズ 1/2 試験の試験デザイン。パート 1 とパート 2 の二つに分かれていて、パート 1 はドーズエスカレーションの 4 週間、パート 2 はドーズを二つに絞って 12 週間の投与をしています。

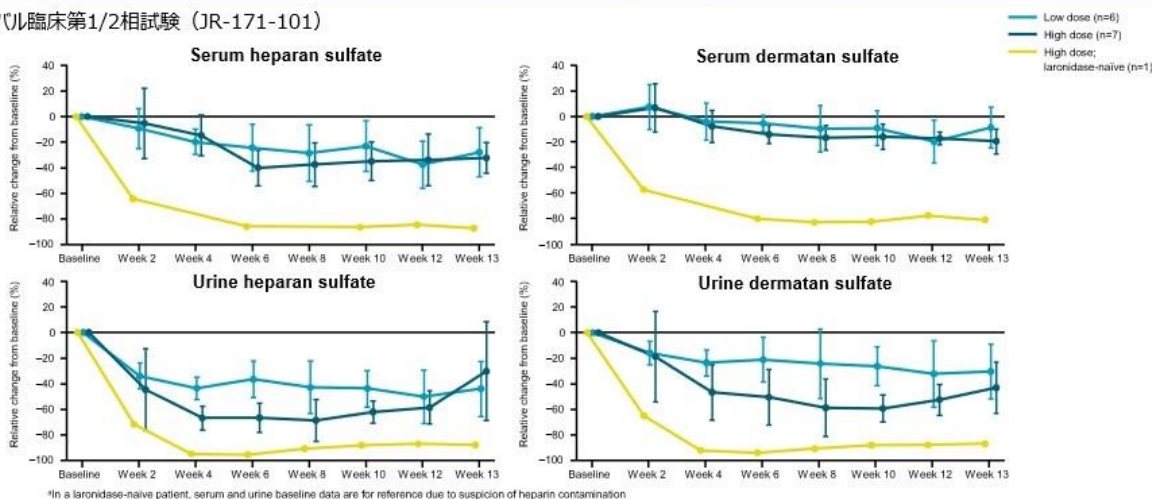
サポート

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



➤ 全ての被験者で脳脊髄液 (CSF) 中のヘパラン硫酸 (HS) が減少した

その結果がこちらのスライドになります。これはCSF、脳脊髄液中のヘパラン硫酸がたまって悪さをするものですが、この濃度を示しています。ここでお示ししたいのは、全ての患者さんで脳脊髄液中のヘパラン硫酸の濃度が下がっているということです。これはJR-141の治験で見られたことと全く同じになります。



➤ 既存治療薬からの切り替え症例において血清および尿中のHS・DS濃度ともに減少
 ➤ 未治療の患者においてもJR-171投与後にHS・DS濃度がベースラインより大きく減少

DS : デルマタン硫酸

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

そしてもう一つ、同じく JR-171 のデータですが、これは頭ではなくて末梢組織の有効性を示しているものになります。上が、Serum と書いてあるのが血清中、そして下の段、Urine と書いてあるのが脳中の、左側がヘパラン硫酸、右側がデルマタン硫酸になります。この2種類のものがたまっていくので、それを測っているということです。

ここで見ていただきたいのは、これまでの従来の治療から切り替えた場合、もしくは従来治療していなかった患者さんに JR-171 を打った場合、どちらにおいても非常によく効いていると。バイオマーカーにおいては非常によく効いていることが、このデータから見てとれます。



JR-171 Ph1/2試験結果③ (WORLDSymposium™ 2023発表内容)

JR-171

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



グローバル臨床第1/2相試験 (JR-171-101)

➤ これまでに以下の改善が認められた



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 10

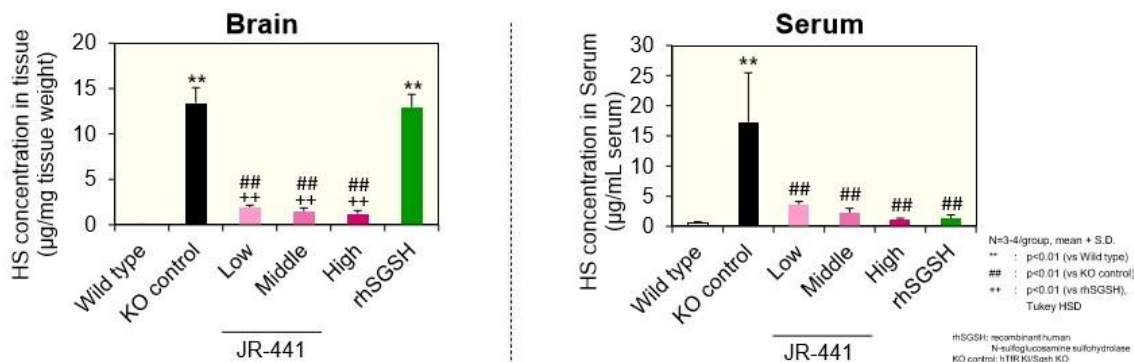
そして、それ以外のところですね。実際のバイオマーカーの数値以外のところで、ここに示しているような改善が報告されています。それは言語能力であったり運動能力であったり、集中力や注意力、ソーシャルスキルといった観点で改善が見られている報告があります。

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@scriptasia.com



- ・ 脳及びCSF中HS濃度を用量依存的に減少させた
- ・ JR-441およびrhSGSHとともに血清及び末梢組織中のHS濃度を低下させた



➤ サンフィリッポ症候群A型においても治療酵素の血液脳関門通過は重要である

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 11

では続きまして、JR-441 に移りたいと思います。これはまだ非臨床ステージのパイプラインになります。サンフィリッポ A 型、MPS3A 型と呼ばれるものの治療薬になります。この品目に関しては今回はマウスモデルでの薬効試験の結果と、サルでの脳の移行に関するデータをお示したいと思います。

まずはマウスモデルの結果になりますが、左側が脳、右側が血清なので、脳以外の組織だと思ってください。そしてグラフの中、左からワイルドタイプ。これは正常のマウスですので、全く何もたまっていないです。これはヘパラン硫酸の量をこのバーグラフで示しています。左から二つ目、黒いバーが病気のモデルがこれだけ悪いものが頭の中、もしくは血清にたまっていると。

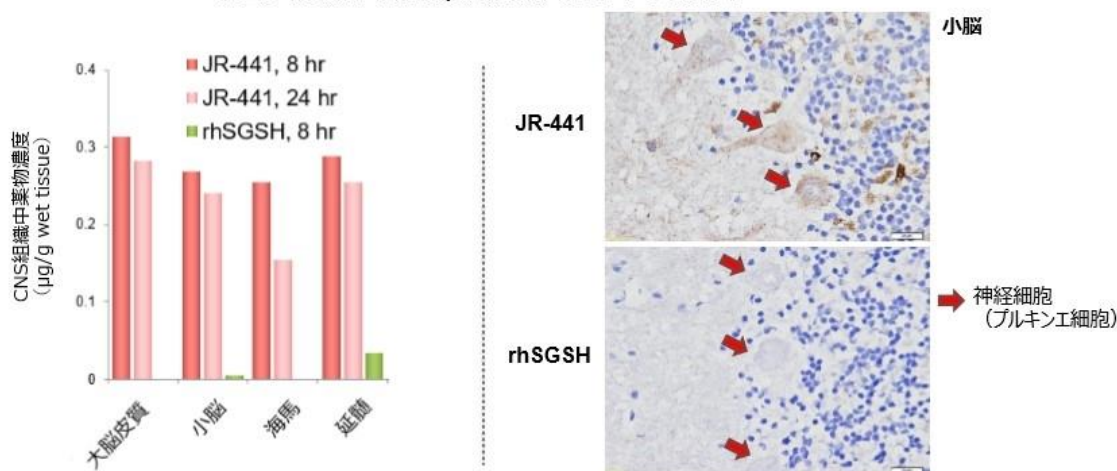
それに対してその右側のピンク色のものが JR-441、そして緑がノーマルの酵素です。BBB 移行能力のないノーマルの酵素を使っています。

それで見てくださいと、右側の Serum と書いてあるほう、血清のほうはどのタイプの酵素を使っても基質が下がっていますが、脳に関しては JR-441 のみ、血液脳関門通過技術を適用した酵素のみで基質の減少が見られています。

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

カニクイザルの中樞神経系におけるJR-441の分布



➤ JR-441は脳内の各部位に分布した

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 12

これはカニクイザルのデータになります。左側がカニクイザルに投与した後に脳を取り出して、その中の薬剤の濃度を図っています。右側は薬剤を投与した後に脳を取り出して切片をつくるんですけども、それを使って、免疫染色法でどこに薬剤があるのかを見ています。ピンク色がJR-441、緑色が先ほど言ったノーマルの酵素です。

左側のバーグラフを見ていただきますと、これはバーが高いほうがたくさんそこに薬剤があることになりますけれども、JR-441、8時間後、24時間後で非常に高いバーが見られるかと思えます。これは薬効を期待するに十分な量がサルの中にも存在している、分布していることを示しています。一方で、ノーマル酵素はほとんど分布していないことがわかります。

また右側の免疫染色の図になりますけれども、上側がJR-441を投与したサル、下がノーマルの酵素を投与したサルになります。赤い矢印で示していますが、それが小脳の中のプルキンエ細胞という神経細胞になります。

上のJR-441の赤い矢印のところを見ていただくと、茶色で細胞の輪郭が、形が分かると思います。つまりこの茶色の点々、これがそこにJR-441が、酵素があるデータになります。一方でノーマル酵素、下側にはそういった染色図は見られないと思います。これによって、先ほどのマウスで頭でしっかりと薬効を果たすことが確認できていますし、カニクイザルにおいても頭に分布して、そして神経細胞に到達していることが明確に示されています。

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

これらのデータは先ほどの JR-141、JR-171 でも同等の結果を得られておりますので、JR-441、これから間もなく治験が始まりますけれども、JR-441 に関してもわれわれは非常に高い期待を持っております。



超希少疾病（ウルトラレアディゼース）の現状

✓ライソゾーム病の中でも特に患者数の少ない疾患

一般的に確立された
標準治療法が無い

企業規模から
大手企業は参入しづらい

ライソゾーム病治療薬のリーディングカンパニーとして
超希少疾病においても「JCRだからこそできる」新たな治療薬の創製と
グローバルの患者さんへの提供体制を構築

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 13

ここまで話しました 3 品目、これは希少疾患です。そして世界で大体数千名ぐらいの患者さんがおられる疾患になります。ところがライソゾーム病の中には、それよりも格段に患者さんの少ない超希少疾病、もしくはウルトラレアと呼ばれるような疾患がまだまだたくさんあります。

やはり患者さんが非常に少ない、例えば世界で数百人とかいうレベルになりますけれども、そういったものになってしまうと、アカデミアであれば研究対象としてやっているところはありますけれども、なかなか製薬企業が手がけている例は少ない疾患です。

ただわれわれは、どうにかそういった疾患のお薬も開発したいということで試行錯誤していますし、以前からもずっと、どうにかできないかなと考えながら開発をしてきておりました。

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@scriptasia.com





超希少疾病治療薬のグローバル開発に向けて

2022年10月 メディパルホールディングスと超希少疾病治療薬のグローバル開発に関する契約を締結

- 超希少疾病4疾患に対するグローバル事業化の独占的交渉権付与についての覚書を締結
- JR-471（フコシドーシス治療薬）の事業化についての実施許諾契約を締結

 **メディパルホールディングス**



医薬品の流通に関する
長年のノウハウや知識



バイオ医薬品に関する専門的な知識
希少疾病領域での研究開発

両社は長年、良好な関係を構築・維持

- ・ 2016年 「テムセル®HS注」の超低温管理物流システムを両社で開発
- ・ 2017年 メディパルホールディングスと業務資本提携を締結

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 14

その中で昨年の10月に発表しておりますけれども、メディパルホールディングス様と、この超希少疾病治療薬のグローバル開発における契約を締結することができました。これはわれわれにとっても非常にありがたい契約ですし、われわれ以上におそらく患者さんの皆様にとって、非常に明るいニュースだったのではないかなと思います。

メディパルホールディングスの持たれる医薬品の流通におけるノウハウ、そしてわれわれが持っているライソゾーム病の専門性ですとか、バイオ医薬品の専門性、そういったものをかけ合わせて、世界の超希少疾患に届けるのは非常にチャレンジングなことになりますけれども、患者さん目線でこういったことを成し遂げていきたいと考えています。

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



➤ 2023年3月：アレクシオン社と J-Brain Cargo®技術を用いた神経変性疾患治療薬に関する共同研究、選択権およびライセンス契約を締結



神経変性疾患の治療に J-Brain-Cargo®技術を適用する初めてのグローバルパートナーシップ

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 16

次、二つ目にいきます。ライツゾーム病以外のところですが、これに関しても今年の3月に発表しております、まずアレクシオンとの契約です。これはわれわれの J-Brain Cargo 技術を用いて、神経変性疾患に対する治療薬をつくると。そのライセンス契約になります。

何を対象にしているのかは公にしておりませんので、そこは詳しいことはお話しできないんですけども、われわれが持つ血液脳関門通過の技術と、アレクシオンが持つ神経変性疾患のところの両社の専門性をかけ合わせて、新しいタイプの治療薬をつくっていこうということで、共同研究をスタートしております。

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

➤ 2023年5月：アンジェリーニファーマとてんかんに対する新規生物学的治療薬の
独占的グローバル開発および商業化契約を締結



Angelini
Pharma



- ✓ てんかん患者数…世界で5,000万人以上と想定^{※1}
- ✓ JCRは本契約により、契約一時金を受領。また、研究開発および販売に関する特定のマイルストーン達成に応じて**最大505.5百万ドル（約657億円^{※2}）**を受領するほか、販売後の売上高に応じた段階的なロイヤルティを受領する権利を有する

※1 : WHO, <https://bit.ly/3VvsC5E> ※2 : 1ドル=130円換算

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 17

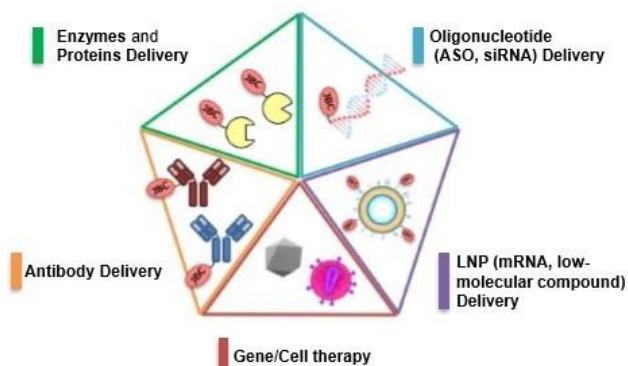
そしてもう一つ、これはちょうど昨日発表しましたがけれども、これはイタリアの会社ですけれども、アンジェリーニファーマとてんかんに対する生物製剤の開発で契約しております。

皆様もご存じのとおり、てんかんは非常に重篤なというか、やっかいな病気です。ですので、新しい難治性のてんかんに関して、もし本当に新しい治療薬ができたら、これは非常に画期的なことだと思っていますので、われわれの血液脳関門通過技術と、そしてアンジェリーニのてんかんに対する専門性、これらをかけ合わせることで、新しい意味のある薬剤をつくり上げ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

➤ 2023年3月：ライソゾーム病に対する J-Brain Cargo®技術を用いた遺伝子治療に関する武田薬品工業との共同開発において、マイルストーンである非臨床 PoC を達成



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 19

最後に、酵素以外のモダリティに関してです。これは昨年の 2022 年の 3 月に R&D 説明会をした際にお示しした図が、左側にもう一度再掲しております。

ここに書いてある五角形の中に 5 種類のモダリティを書いています。既に JCR の中ではこの 5 種類のモダリティに対しては一定の、動物レベルですけれども、PoC は取得しています。

その中で一番下にジーンセラピー、セルセラピーと書いていますが、この遺伝子治療のところで武田薬品さんと 2022 年の 3 月にコラボをスタートして、そしてちょうど 1 年後、今年の 3 月に非臨床の PoC を達成したというアナウンスをしております。

このように、われわれはライソゾーム病の範囲においては自分たちで開発をして、臨床 PoC を取って、それを証明していくことはできるんですけれども、それ以外の領域、それ以外のモダリティでは、われわれ今の JCR では、なかなかリソース的にそこまで手を伸ばすことができませんので、今後もこういったコラボレーションの中で、いろんなモダリティ、そしてライソゾーム病以外のところにわれわれの技術を使っていきたいと考えております。

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@scriptsasias.com

JCR 開発ステージ (J-Brain Cargo®適用の17のライソゾーム病治療薬)



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Business 21

ここから、開発スケジュールになります。ここに示しているのは、J-Brain Cargo を用いたライソゾーム病の17のパイプラインの開発ステージになります。一番下が基礎研究段階、上に上がっていくにつれて開発ステージが上がっていると見てください。

ここにありますように、たくさんの開発品目があります。これに関しては一つずつ、JCRの社内で今研究開発をしていますし、ある品目に関しては他社さんと一緒に協業しながら、グローバルに進めています。

今後もライソゾーム病に関しては、われわれここに注力していくことは変わりありません。ただ海外に関して、グローバルに関してはやはり1社ではなく、それができる会社さんと一緒に協力して、一つでも早く治験が始められるように開発をし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



開発番号	適応症	ステータス	次のマイルストーン	備考
JR-141	ムコ多糖症Ⅱ型 (リンター症候群)	承認	-	先駆け審査指定制度/ オーフアンドラッグ
		臨床第3相試験	~2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定	武田薬品工業とグローバル特定地域における共同開発・事業化に係る契約を締結 米国：オーファンドラッグ/ ファストトラック/ RPDD 欧州：オーファンドラッグ/ PRIME
JR-171	ムコ多糖症Ⅰ型 (ハーラー症候群等)	臨床第1/2相試験 (解析中)	2024年度 Phase 3 ★	米国：オーファンドラッグ/ ファストトラック 欧州：オーファンドラッグ
JR-441	ムコ多糖症ⅢA型 (サンフィッポ症候群A型)	前臨床	2023年度 Phase1/2	オーファンドラッグ (欧州)
JR-446	ムコ多糖症ⅢB型 (サンフィッポ症候群B型)	前臨床	2024年度 Phase1/2 ★	-
JR-479	GM2ガングリオシドーシス (テイ・サックス病、サンドホフ病)	前臨床	~2025年度 Phase1	-
JR-471	フコシドーシス	製法検討	-	メデイバルホールディングスと海外の事業化についての実施許諾契約を締結
JR-162	ボンバ病	前臨床	-	-
JR-443	ムコ多糖症Ⅶ型 (スライ症候群)	前臨床	-	-
JR-401X	SHOX異常症における低身長	製造販売承認申請	-	グローバル® 適応拡大
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 (解析完了)	2023年度 Phase 3	持続型成長ホルモン製剤
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症	臨床第1/2相試験 (解析中)	-	テムセル®HS注 適応拡大

これが最後のスライドです。これはライソゾーム病に限らず、われわれの研究開発のパイプラインを示しています。

真ん中の次のマイルストーンというところが、大きな次のアクションです。なので開発のスケジュールを示しています。この中に、次の臨床のステージがいつ始まるのかも書いてあります。

先ほど言いましたように JR-441 が間もなくフェーズ 1/2 の試験が始まります。三つ目の品目になります。ここで JR-141、JR-171 と同じように J-Brain Cargo の有用性、そして JR-441 の有効性をまず示していきたいと考えています。

私からは以上になります。ありがとうございました。

司会：続きまして伊藤より、新中期経営計画についてご説明いたします。よろしくお願いいたします。

伊藤：経営戦略本部担当の伊藤でございます。新しい中期経営計画、Reach Beyond, Together についてご説明申し上げます。先ほどの菌田のプレゼント多少かぶるところもありますが、お聞きいただければと思います。

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



我々は、テムセル®、イズカーゴ®などの世界初の新しいメカニズムを持った医薬品を世に送り出してきました。我々が確立し、さらに発展に注力している「J-Brain Cargo®技術」は、将来、今まで治療ができなかった疾患に対して大きな効果を期待できる医薬品を世界中の患者の皆さんに届けることができるものです。

我々は、バイオ医薬品の研究から製造まで一貫して対応できる日本では数少ない会社のひとつであり、自社でライソゾーム病を中心とした希少疾病の研究開発をさらに推進していきます。また、パートナーの協力を得ながら、研究開発の幅を大きく広げていきます。革新的なタンパク質医薬品や遺伝子治療などの開発を通して、一人でも多くの患者の皆さんとご家族のために「JCRでしか作れない医薬品」をお届けします。

これからの第二の創業期においても、日本発・世界初となる医薬品で、新しい価値を創造し続けるため、積極的に研究開発投資を行ってまいります。

代表取締役会長兼社長

芦田 信

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-1

まず最初のスライドでございますが、会長の芦田よりのトップメッセージでございます。読み上げさせていただきます。

われわれはテムセル、イズカーゴなどの、世界初の新しいメカニズムを持った医薬品を世に送り出してきました。われわれが確立し、さらに発展に注力している J-Brain Cargo 技術は将来、今まで治療ができなかった疾患に対して、大きな効果を期待できる医薬品を世界中の患者の皆さんに届けることができるものです。

われわれはバイオ医薬品の研究から製造まで一貫して対応できる、日本では数少ない会社の一つであり、自社でライソゾーム病を中心とした希少疾病の研究開発をさらに推進していきます。またパートナーの協力を得ながら、研究開発の幅を大きく広げていきます。

革新的なタンパク質医薬品や遺伝子治療などの開発を通して、1人でも多くの患者の皆さんとご家族のために、JCR でしかつくりえない医薬品をお届けします。これからの第2の創業期においても、日本発・世界初となる医薬品で、新しい価値を創造し続けるため、積極的に研究開発投資を行ってまいります。

本日お話しする内容は、ここに掲載してあるとおりでございます。

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@scriptsasias.com



創業以来培ってきた独自の「研究開発力」と「モノづくり力」を結集し、患者の皆さんが極めて少ない疾患であっても、患者の皆さんとご家族のために、「JCRでなければできないこと」を追求していきます。



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-3

次、われわれのありたい姿についてお伝えいたします。

この左側の写真はライソゾーム病の患者さんと、そのご家族の写真でございます。われわれは創業以来培ってきた独自の研究開発力とモノづくり力を結集し、患者の皆さんがきわめて少ない疾患であっても、患者の皆様とご家族のために、JCR でなければできないことを追求していきます。

2023-27年度中期経営計画「Reach Beyond, Together」の位置付け

企業理念

医薬品を通して人々の健康に貢献する

「飛躍」と「変革」において見出した強みを
2023-27年度中期経営計画においてさらに強化し
グローバルで存在感のある研究開発型企業を実現する



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-4

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

次にこの中期経営計画の位置づけについてお話しいたします。

われわれの医薬品を通して人々の健康に貢献するという企業理念の下、この Reach Beyond, Together という中計におきましては、それ以前の飛躍と変革という二つの中期経営計画において見出した強みを、この5年間に於いてさらに強化し、先ほど申し上げたありたい姿を実現したいと考えております。

2020-22年度中期経営計画「変革」の総括①



安定した経営基盤のもと、
新たな価値創出のための戦略的な投資を続けながら持続的な成長を達成

	飛躍		変革			
	1年目 2015年度	最終年度 2019年度	1年目 2020年度	2年目 2021年度	「変革」最終年度 2022年度	「変革」策定時 ガイダンス (2022年度目標)
売上高	174億円	247億円	300億円	510億円	343億円	320~360億円
営業利益	21億円	32億円	82億円	199億円	49億円	70~100億円
研究開発費 (対売上比率)	33億円 (19.2%)	59億円 (24.2%)	53億円 (17.8%)	71億円 (14.0%)	88億円 (25.6%)	20%目安
設備投資額	12億円	52億円	39億円	106億円	80億円	—
社員数 (連結)	526名	667名	732名	817名	879名	—
配当性向	39.2%	36.8%	21.5%	18.8%	65.9%	30%目安

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-6

新しい中計のお話に入ります前に、20年度から22年度までの中計、変革の総括をいたします。

お願いします。まず数字面でございますが、この変革の最終年度、右から2番目のカラム。2022年度、売上高は343億円、営業利益は49億円、研究開発費は88億円ございました。

この変革に入る前の一番左が飛躍の最終年度、2019年をご覧くださいますと、売上高が247億円、営業利益32億円、研究開発費は59億円で、成長してきたことがお分かりいただけるかと思っております。

また、一番右側にこの変革策定時の2022年度のガイダンスを掲げておりますが、売上高につきましてはガイダンスを達成しておりますが、残念ながら営業利益につきましては未達に終わっております。ただ研究開発費を見ていただきますと対売上比率で25.6%ございまして、ガイダンスを20%大きく上回っております。

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



この研究開発費を営業利益に戻して、研究開発費控除前の営業利益を考えてみますと、2022年度は137億円でございます。また飛躍の最終年度でございます、この変革に入る前の年度は同じく91億円。また変革の1年目は135億円でございますので、それをいずれも上回っているということでございます。

またこの3年間のトピックスといたしましては、2年目の2021年度でございますが、アストラゼネカさんのワクチンの受託生産で、この売上が144億円ございまして510億円の売上、199億円の営業利益という史上最高の数字を記録することができました。

2020-22年度中期経営計画「変革」の総括②



重要経営課題	総括
品質保証体制の質・量的拡充	研究から商業生産までの品質保証体制の更新—研究本部内にアナリティカルR&Dセンター新設 Data Integrityの向上—LIMSシステムの導入（2023年稼働）
既存製品の持続的成長のための取り組み	グロウジェクト®基盤強化 電動式成長ホルモン製剤注入器用アプリケーションソフトウェア「めろん日記®」の開発 新デバイスの開発
基礎研究・応用研究の拡充	17品目のライソゾーム病治療薬の開発 J-Brain Cargo®技術の多様なモダリティへの応用—複数の企業への導出を達成 再生・細胞医療領域の社会実装を目指した合併会社、AlliedCel株式会社を設立
生産・研究への積極的な設備投資の検討・着手	複数品目の同時並行開発を可能にする原薬・製剤製造キャパシティの拡充 研究拠点拡充、神戸サイエンスパークセンター竣工、新製剤工場用地取得、 Mycenax Biotech Inc. (台湾CDMO) 第三者割当増資の引き受け
エビデンス構築を含む製剤戦略の立案	J-Brain Cargo®技術の価値最大化—R&Dミーティングの開催 イスカーゴ®の長期臨床データの蓄積と開示—学会発表、論文投稿の実施 小児領域に特化した、効率的な営業体制に再編—アガルシターゼ ベータBSを住友ファーマ社に販売移管
業務および組織構造改革・人財育成	機能的・効率的な組織に最適化、グローバル展開の基盤構築 グローバルに活躍できる次世代リーダーを育成する「JCRアカデミー」設立 生産性向上のためのITインフラを拡充、働き方改革実現に向けた柔軟な対応

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-7

この変革の中では六つの経営課題を挙げておりました。

まず1番目が品質保証体制の質・量的拡充でございます。この点につきましては研究本部内にアナリティカル R&D センターを新設しまして、研究から商業生産までの品質保証体制の更新をいたしました。

2番目の既存製品の持続的成長のための取り組みに関しましては、グロウジェクトの基盤強化ができた5年間ということで、成長ホルモン市場におきまして国内シェア2位の基盤を固めることができました。またアプリケーションソフトウェアのめろん日記、あるいは新デバイスの開発を行ってまいりました。

基礎研究・応用研究の拡充という意味では、J-Brain Cargo の多様なモダリティへの応用ということで、複数の企業への導出を達成しております。これについては、後でまた申し上げます。

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



生産・研究への積極的な設備投資の検討・着手という面では、キャパシティの拡充ということが課題でございましたが、神戸サイエンスパークセンターの原薬工場の竣工、あるいは新製剤工場用地の取得を行っております。また台湾の CDMO であります Mycenax 社に投資いたしまして、持分法適用会社としております。

エビデンス構築を含む製品戦略の立案という点では、イズカーゴの長期臨床データの蓄積と開示がございましたが、営業関係ではアガルシダーゼベータ BS を住友ファーマ様に販売移管しまして、効率的な営業体制への再編を行っております。

業務および組織構造改革・人材育成におきましては、グローバルに活躍できる次世代リーダーを育成する JCR アカデミーを設立しております。

2020-22年度中期経営計画「変革」の総括③



成 果	将来的な意義
<p>J-Brain Cargo® 技術の実用化</p> <ul style="list-style-type: none"> JR-443, JR-446, JR-479, JR-471 の開発着手 世界初の血液脳関門通過型技術を活用したイズカーゴを日本で上市 武田薬品とJR-141共同開発及び事業化に向けた契約締結 武田薬品と遺伝子治療に関する共同研究開発及びライセンス契約締結、非臨床研究のマイルストーン達成 メディバルホールディングスと超希少疾病4疾患に対するグローバル事業化の契約締結 住友ファーマ社、アレクシオン・アストラゼネカ・レアディーズ (アレクシオン社)、アンジェリー二社へのJ-Brain Cargo®技術導出 	<ul style="list-style-type: none"> J-Brain Cargo®技術を基盤とした様々な疾患領域への応用 パートナーリング戦略の加速による、ライセンス収入基盤の構築 グローバル基準の商用生産を見据えた、サプライチェーンの構築 海外拠点を軸とした、本格的なグローバル活動の実現
<p>戦略的設備投資と高いバイオ生産技術の実証</p> <ul style="list-style-type: none"> Mycenax社への出資による製造キャパシティ確保 神戸サイエンスパークセンター竣工 アストラゼネカ社のCOVID-19ワクチン原液製造の受託と完遂 	
<p>グローバル展開の基盤構築</p>  <ul style="list-style-type: none"> JCR Europe 設立 (2022年) JCR USA 設立 (2018年) JCR DO BRASIL 設立 (2020年) グローバル流通管理の欧州拠点をルクセンブルク大公国に設立 (2022年) 	

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-8

次に、変革の成果についてお話しいたします。

J-Brain Cargo 技術の実用化という意味では、2021年にイズカーゴを日本で上市しております。武田薬品とJR-141に関するグローバルな事業化に向けた契約を締結し、また同じく武田薬品さんと遺伝子治療に関する共同研究開発の契約を結んでおります。この契約下に、この3月には非臨床研究のマイルストーンを達成しております。

またメディバルホールディングスさんと、超希少疾病4疾患に対するグローバル事業化の契約を締結しております。

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



J-Brain Cargo の技術の導出につきましては、住友ファーマ、アレクシオン、アンジェリーニとそれぞれ契約を締結しております。

戦略的設備投資と高いバイオ生産技術の実証という点では、アストラゼネカ社のコロナワクチンの原薬製造を受託いたしまして、これを完遂し、同社より高い評価を頂戴しております。

グローバル展開の基盤構築という点では、JCR USA、JCR DO BRAZIL、JCR Europe を設立し、また流通管理の拠点としまして、ルクセンブルク大公国に欧州の拠点を設立しております。

これらの将来的な意義につきましては、右に書いてあるような点でございます。

5つの取り組み

- 1 **革新的な基盤技術の創製**
- 2 グローバル基準の生産能力発揮
- 3 グローバル品質保証体制の質・量的拡充
- 4 希少疾病品目の早期上市
- 5 成長を支える人材育成

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

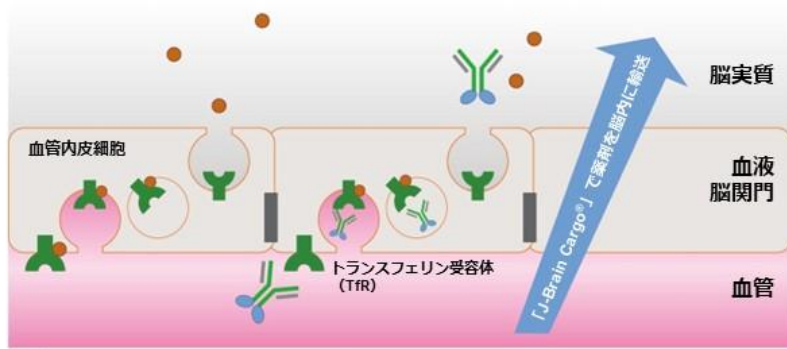
中計-10

続きまして、2023 年度から 2027 年度への中期経営計画、Reach Beyond, Together、一緒にその先へについてご説明いたします。この中計では、五つの取り組みに重点的に取り組んでまいります。

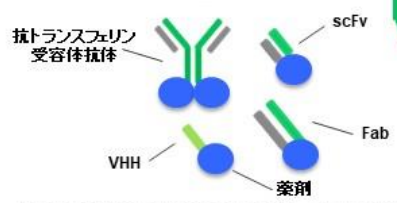
まず一つ目、革新的な基盤技術の創製という点でございます。

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



J-Brain Cargo® 適用治療薬



薬剤の特性に合わせた最適な「J-Brain Cargo®」分子を選択

創業以来蓄積してきた、タンパク質工学のノウハウ
 ・豊富な「J-Brain Cargo®」のバリエーション
 ・製造が難しいバイオ医薬品の創製

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

われわれの独自技術であります J-Brain Cargo は、血液脳関門を突破して薬剤を脳内に輸送する技術でございます。この J-Brain Cargo でございますが 1 種類ではございませんで、いろいろなバリエーションがございます。

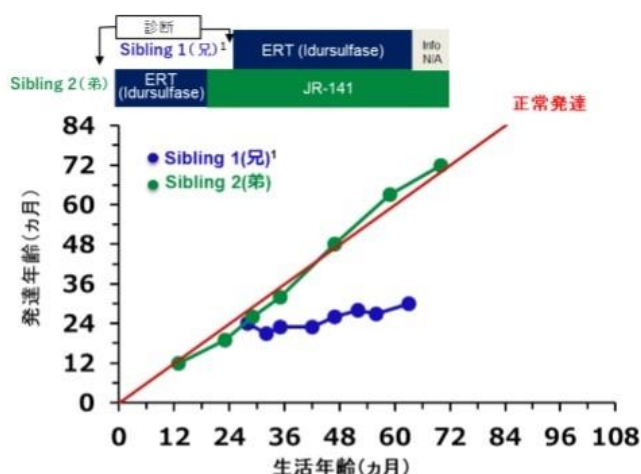
左下の絵をご覧くださいますと、この青い部分は薬剤でございますが、その上の部分にいろいろなバリエーションがあるということでございまして、これを薬剤の特性に合わせて最適なものを選択することによりまして、最適な薬を提供できるということでございます。

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



同一遺伝子変異を持つムコ多糖症II型兄弟例での症例報告



Sibling2(弟)はpabinafusp alfa(JR-141)の治療後生後72カ月（2022年11月時点）まで、正常発達を認めた。（今後も長期データ取得予定）

J-Brain Cargo®技術は血液脳関門を超えて中枢神経系に必要な薬剤を届ける基盤技術であり、様々な疾患への応用が期待できる

1. Based on Tomita K et al., JIMD Reports, 2021, 1-6

次にこの J-Brain Cargo 技術の持つ可能性という点で、症例報告をご紹介します。

これは同一遺伝子変異を持つムコ多糖症 II 型兄弟例での症例報告でございます、左側のグラフ、横軸に生活年齢、縦軸に発達年齢をとっております。

青い点がお兄さんのほうでございます、Idursulfase の投与を受けておられました。緑の点が弟さんのほうで、こちらは JR-141 で治療をされておられまして、生後 72 カ月まで正常発達を認められておられまして、今後も長期データを取得予定でございます。

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@scriptsasias.com

J-Brain Cargo®技術を基本コンセプトとして
画期的な治療薬を創製



J-Brain Cargo®

J-XXX Cargo

J-YYY Cargo

標的臓器



脳



眼



骨格筋



軟骨



その他

標的疾患の一例

ライソゾーム病

神経変性疾患

眼疾患

骨系統疾患

筋疾患



J-Brain Cargo はさまざまな疾患への応用が期待できる技術でございます、われわれとしましてはこの技術を基本コンセプトとしまして、画期的な治療薬を創製していきたいと考えております。

一番左側、これらの酵素ですとか抗体ですとか遺伝子治療、LNP といったさまざまなモダリティに対して応用可能でございます、この J-Brain Cargo 以外にも次世代の Cargo としまして、ここに XY と書いておりますが、右側にありますようなさまざまな臓器をターゲットとして、脳や目、骨格筋、軟骨その他の臓器をターゲットとしまして、開発を進めております。

そのことによりまして、ライソゾーム病以外の疾患につきましてもターゲットとすることが可能となっております。

武田薬品さんと遺伝子治療についての提携をしたと申し上げましたが、アレクシオン社との神経変性疾患での提携、あるいはアンジェリーニとのてんかんに関する提携に関する契約を締結することができました。

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



- 保有するサイトがフル稼働
- 15年以上のシングルユース技術を用いた製造経験
- 研究段階から製品までの統合された品質管理体制
- バイオ医薬品に強みのある品質保証体制
- 創業以来の「モノづくり」への想いを継承する、スキルの高い約400名の社員
- 神戸地区に集約した研究・生産拠点間の部門を超えた緊密な連携

サイト	生産能力
室谷工場 棟1	2x 400L, 2x 80L
室谷工場 棟2	2x 2,000L; 2x 200L (シングルユース)
治験薬製造センター	1x500L, 1x200L (シングルユース)
神戸原薬工場	2x 2,000L; 2x 200L (シングルユース)
神戸工場	充填・包装
西神工場・CPC	再生医療等製品・基礎研究
神戸サイエンスパークセンター	4x 2,000L, 4x 200L (シングルユース)

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-15

次、五つの取り組みの二つ目と三つ目、グローバル基準の生産能力の発揮と、グローバル品質保証体制の質・量的拡充についてご説明いたします。

われわれの強みとするモノづくりでございますが、この左側の写真にありますように工場を五つ持っておりまして、保有するサイトがフル稼働しております。15年以上のシングルユース技術を用いた製造経験がございまして、品質管理体制につきましては研究段階から製品までの統合された体制を敷いております。また、品質保証体制やバイオ医薬品に強みのあるものでございます。

人の面で申しますと、創業以来のモノづくりへの想いを継承する、非常にスキルの高い400名の社員を擁しておりまして、地理的に集約しました研究生産拠点間の、部門を越えた緊密な連携によりまして、研究から製造まで一貫した対応がわれわれの強みでございます。

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

- ・ 約400億円の設備投資・CMO投資により供給能力を拡大中
- ・ 自然災害やパンデミック等の有事においても安定供給可能なレジリエンスを持つグローバルサプライチェーンを構築中



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

*Single Use Technology 中計-16

次に、グローバルサプライを視野に入れた取り組みについてお話しいたします。

ここ数年、あるいはこの中計期間におきまして、われわれは約400億円投資いたします。400億円の設備投資、CMO投資によりまして、供給能力を拡大中でございます。また自然災害、パンデミック等の有事においても、安定供給が可能なグローバルサプライチェーンを構築中でございます。

下の絵の23年から27年の中で、原薬につきましては神戸サイエンスパークセンターに増設いたしましたシングルユースのライン、これが本格稼働いたしますので、2,000リットルのバイオリクター、計8基を持つことになります。

また製剤に関しましては、凍結乾燥機を備えた新製剤工場の建設、および商用稼働がこの期間内に見込まれております。

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

従来製品

国内市場

- 成長ホルモン製剤
- バイオシミラー製品
- テムセル®HS注

「安定供給への挑戦」

- 複雑な工程・厳格な品質管理
- 原材料の確保
- 適正利益の確保

希少疾病
治療薬
ワクチン

国内及び海外市場を見据えた製品

- J-Brain Cargo®技術適用開発品：10以上
- 遺伝子治療製品
- ワクチン（政府の要請に応じて）

「未知への挑戦」

- 新しい技術・キャパシティの活用
- 海外当局によるGMP査察
- 開発スケジュールを遅らせない
- 極小ロットサイズでの生産

次にモノづくりにおける挑戦でございます。

従来製品、こちらは国内市場を対象としておりますが、こちらは安定供給への挑戦ということでございまして、特に毎年の薬価改定がございますので、その中での適正利益をいかに確保するかが課題でございます。

次に希少疾病治療薬につきましては、国内および海外市場を見据えた製品ということで、未知への挑戦になるかと思えます。海外当局による GMP 査察への対応、あるいは希少疾病でございますので、きわめて小さいロットサイズでの生産への挑戦になるかと思えます。

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

基礎研究	前臨床	臨床試験 (第Ⅰ/Ⅱ相)	臨床試験 (第Ⅲ相)	承認申請	承認取得
JR-194 (ハッテン病乳児型) クラッペ病	JR-441 ムコ多糖症ⅢA型 (サンフィリップ症候群A型)	JR-171 ムコ多糖症Ⅰ型 (ハーラー症候群等)	JR-141 ムコ多糖症Ⅱ型 (ハンター症候群)		JR-141 ムコ多糖症Ⅱ型 (ハンター症候群)
GM1ガングリオシドーシス	JR-446 ムコ多糖症ⅢB型 (サンフィリップ症候群B型)				
CLN2 (ハッテン病遅発乳児型)	JR-162 ボンベ病				
ゴーシェ病	JR-443 ムコ多糖症Ⅶ型 (スライ症候群)				
α-マンノシドーシス	JR-479 GM2ガングリオシドーシス (テイ・サックス病、サンドホフ病)				
ニーマンピック病	JR-471 フコシドーシス				
異染性白質 シストロフィー					
ガラクトシアリドーシス					

5品目の臨床試験入りを目指す
(候補)
JR-441, JR-446, JR-479, JR-471, JR-194, クラッペ病

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-19

次に四つ目の、希少疾病品目の早期上市についてでございます。

こちらがわれわれの J-Brain Cargo 技術適用の、ライソゾーム病の治療薬パイプラインでございます。ご覧いただきますように前臨床より前に 15 個のパイプラインがございまして、この 5 年間に 5 品目の臨床試験入りを目指しております。

人的資本経営の推進：人事戦略の展開①

人事戦略

「人的資本」への投資を進め、企業価値向上に貢献する人事戦略を確立する

戦略遂行に資する「動的な人材ポートフォリオ」の構築

- 現状の「人材ポートフォリオ」の把握
- キャリア採用による多様性確保、既存の人材群とのシナジー効果の創出
- 最適な「人材ポートフォリオ」の構築

ダイバーシティ&インクルージョンの展開と組織浸透

- 多様な属性を持つプロフェッショナル人材の持つ「知見と経験値」のインクルージョンによる「研究開発」「モノづくり」の深化
- インクルージョンのマネジメントとモニタリング

個人と組織の活性化、エンゲージメントの向上推進

- 当社のありたい姿の社内外への積極的な発信による、エンゲージメント向上
- 社員の成長への支援、環境整備による組織全体の熱意、活力の増進

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-21

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

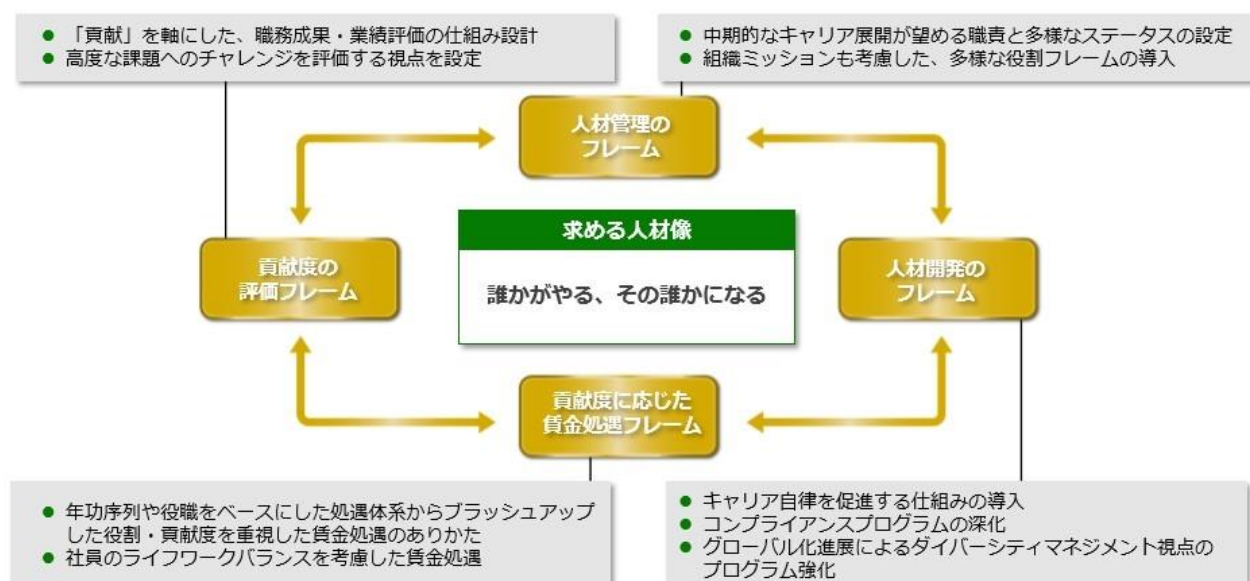
5番目の取り組みとしまして、成長を支える人財育成についてでございます。人的資本経営がいわれておりますが、われわれは人的資本への投資を進め、企業価値向上に貢献する人事戦略を確立してまいります。

三つの柱がございます。一つ目が動的な人財ポートフォリオの構築、二つ目がダイバーシティとインクルージョンの展開と組織の浸透、3番目が個人と組織の活性化、エンゲージメントの向上推進でございます。

人的資本経営の推進：人事戦略の展開②



「求める人材像」を実現する「仕組み」としての「人事マネジメントフレーム」を構築する



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-22

人事戦略の2枚目でございますけれども、この絵の真ん中にあります求める人財像、誰かがやる、その誰かになる。この人財像を実現する仕組みとしての人事マネジメントフレームを構築してまいります。

これには四つのサブフレームがございますして、人材管理、貢献度の評価、貢献度に応じた賃金処遇、人材開発といった四つのサブフレームでございます。

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@scriptsasias.com



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	
<p>Rare Diseases</p> <ul style="list-style-type: none"> 超希少疾病群の治療薬開発と新たな事業モデルの構築 革新的な医薬品を世界中の人々に届ける、医薬品アクセス向上への取り組み (Named Patient Supply) 			
<p>Environment</p> <ul style="list-style-type: none"> 事業活動を通じた環境負荷低減対策の検討・実施 医薬品の品質確保と安定供給を前提とし、環境に配慮した調達推進 	<p>Society</p> <ul style="list-style-type: none"> 基盤技術の創出により、アンメットメディカルニーズへの挑戦 「チームJCR」一人ひとりがそれぞれの場所で輝くことができるよう人材を育成 	<p>Corporate Governance</p> <ul style="list-style-type: none"> 当社の成長にあわせたガバナンスの在り方を追求 コンプライアンスの徹底とリスクマネジメント強化 	

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-24

ここからサステナビリティへの取り組みについてお話をします。

従来より、RD、E・S・Gということを申し上げておりましたが、このRD、Rare Diseaseでございますが、特にわれわれはサステナビリティへの取り組みという点では、このRare Diseaseに注力していきたいと考えております。

超希少疾病群の治療薬開発、これを患者さんに届ける新たな事業モデルの構築。あるいはこういった薬剤の医薬品アクセス向上への取り組みとしまして、Named Patient Supplyの仕組みの構築に取り組んでまいりました。

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





事業活動を通じ、誰一人取り残さない社会の実現を目指します。

当社が取り組むライソゾーム病

世界中の患者の皆さんへ

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-25

続きまして、Rare Disease への取り組みについてでございます。

左側、当社が取り組むライソゾーム病のパイプラインがございます。これを世界中の患者の皆さんへお届けする、そういったまさに事業活動を通じて誰1人取り残さない社会、No one left behindの実現を目指してまいります。

サステナブルな社会実現に向けた挑戦

持続可能な医療の実現	人と組織の成長	社会課題への挑戦																				
<p>事業活動を通じて創出された価値を最大化し、患者の皆さんを中心とした全ての人々に還元し続けます。</p> <p>「研究開発」と「モノづくり」を軸に、患者の皆さんとご家族のアンメット・メディカルニーズに革新的な創薬で応えられるよう取り組みを続けていきます。</p>	<p>社員一人ひとりがキャリア展望をもって成長し、新たな価値を社会に還元できる組織を構築します。</p> <p>型にとらわれない独自の企業文化・コアバリューを大切に、社員の豊かな創造力の育成、ジェンダー平等を実現する働く環境の充実を図ります。</p>	<p>自然環境へ配慮した事業活動を実現します。</p> <p>限りある資源を有効活用することを、社員一人ひとりが自分ごとと捉え自発的な行動につながるよう意識向上を図ります。</p>																				
取り組み																						
<p>研究者の継続的な支援 京都大学「本庶佑有志基金」及び「がん免疫治療研究基金」に対する寄付（自己株式割当）</p> <p>グローバルで活躍できる医学研究者育成 「公益財団法人 国際医学研究振興財団」への支援</p> <p>小児医療や保険医療分野支援 「母子保健奨励員」への協賛</p> <p>医療・福祉・介護支援 「医療功労員」への協賛</p> <p>患者さんとそのご家族に寄り添う医療実現 医療型短期入所施設「もみじの家」へ継続的な支援</p> <p>グローバル・ヘルスへの貢献を目指す取り組み 非営利財団「Global Foundation for Life Sciences」の活動支援</p>	<p>グローバル人材育成</p> <ul style="list-style-type: none"> 社員の成長を支援する研修制度の充実 次世代グローバルリーダー育成（JCRアカデミー） <p>ダイバーシティ&インクルージョン</p> <ul style="list-style-type: none"> 性別を問わず社員が活躍できる環境づくり 障がい者雇用の推進 在宅勤務を含む多様な働き方の促進 離職率（正社員）：2019年度2.5% / 2022年度2.8% 「平成30年（第3回）ひょうご女性の活躍企業」 事業所内保育所の整備、男性の育児参加促進に向けた取り組み促進 「えるぼし（2段階目）」の認定取得 「ひょうごお仕事と生活のバランス企業表彰」 	<p>カーボンニュートラルに向けた取り組み</p> <ul style="list-style-type: none"> 太陽光発電の設置（研究所・神戸サイエンスパークセンター・本社地区建屋） 廃棄物の削減（マテリアリリサイクルが困難な古紙および廃プラスチックをバイオマスボイラー燃料として再利用） リサイクル素材を使用したレンタルユニフォームの採用 LED照明への切り替え 営業車、社用車を、ハイブリッドカー、電気・水素自動車へ切り替え 																				
	<table border="1"> <thead> <tr> <th></th> <th>FY2015</th> <th>FY2019</th> <th>FY2022</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>社員数に対する女性比率</td> <td>33.2%</td> <td>37.2%</td> <td>40.6%</td> </tr> <tr> <td>女性管理職比率</td> <td>6.2%</td> <td>10.7%</td> <td>12.5%</td> </tr> <tr> <td>新卒女性比率</td> <td>27.3%</td> <td>31.8%</td> <td>59.1%</td> </tr> <tr> <td>男性育児取得率</td> <td>0.0%</td> <td>14.2%</td> <td>66.7%</td> </tr> </tbody> </table>		FY2015	FY2019	FY2022	社員数に対する女性比率	33.2%	37.2%	40.6%	女性管理職比率	6.2%	10.7%	12.5%	新卒女性比率	27.3%	31.8%	59.1%	男性育児取得率	0.0%	14.2%	66.7%	
	FY2015	FY2019	FY2022																			
社員数に対する女性比率	33.2%	37.2%	40.6%																			
女性管理職比率	6.2%	10.7%	12.5%																			
新卒女性比率	27.3%	31.8%	59.1%																			
男性育児取得率	0.0%	14.2%	66.7%																			

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

サステナブルな社会実現に向けた挑戦という意味で、われわれの実績を少しご紹介したいと思えます。

一番左側、持続可能な医療の実現という点では、取り組みとしまして左側一番上にあります、京都大学の基金への自己株式の寄付によりまして、研究者の皆さんへの継続的な支援を行っております。

また下から2番目、医療型短期入所施設、もみじの家への継続的な支援ということで、患者さんとそのご家族に寄り添う医療の実現に貢献しております。

また真ん中の人と組織の成長という点では、ダイバーシティ&インクルージョンが重要なポイントとなってきますが、その下にあります表をご覧くださいますと、2015年から2022年までの間に社員数に対する女性比率、あるいは女性管理職比率がいずれも上昇していることを見ていただけるかと思えます。

また2022年度新卒の女性比率は59.1%でございまして、男性の育休取得につきましては0%であったものが2022年には66.7%で、3人に2人は取得する状況になっております。

2027年、そしてその先へ



当社は、1975年の創業以来、独自の「研究開発」と「モノづくり」を進展させることによって成長を続けてきました。その大きな成果であるJ-Brain Cargo®技術の創出は、希少疾病領域のみならず、様々な疾患の治療に応用できる可能性があります。

さらに、J-Brain Cargo®技術に続く革新的なプラットフォーム技術を創出し、そこから生み出される医薬品を世界中の患者の皆さんとそのご家族に届け、治療に貢献することが、当社の使命であると考えています。

この使命を果たすべく、本中期経営計画では定量的なガイダンスを設けず、研究開発の進展による成長の可能性に断固として投資していきます。そして、新たなイノベーションの創出により、患者の皆さんとそのご家族、当社の社員および株主の皆様にとっての価値の最大化を目指します。

第二の創業期、成長への新たな挑戦が始まります。

一患者の皆さんとそのご家族のために一

Reach Beyond, Together 一緒に、その先へ

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中計-27

この中期経営計画、2027年が最終年度ですが、その先へ向けましたわれわれの決意を申し述べます。

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



当社は 1975 年の創業以来、独自の研究開発とモノづくりを進展させることによって、成長を続けてきました。その大きな成果である J-Brain Cargo 技術の創出は、希少疾病領域のみならず、さまざまな疾患の治療に応用できる可能性があります。

さらに J-Brain Cargo 技術に続く革新的なプラットフォーム技術を創出し、そこから生み出される医薬品を世界中の患者の皆さんとそごご家族に届け、治療に貢献することが当社の使命であると考えています。

この使命を果たすべく、本中期経営計画では定量的なガイダンスをもうけず、研究開発の進展による成長の可能性に断固として投資していきます。そして新たなイノベーションの創出により、患者の皆さんとそごご家族、当社の社員および株主の皆様にとっての価値の最大化を目指します。

第 2 の創業期、成長への新たな挑戦が始まります。患者の皆さんとそごご家族のために、ご一緒に新たな希望への歩みを進めてまいります。Reach Beyond, Together、一緒に、その先へ。



こちらが最後のスライドですが、このモザイクアートは社員 1 人 1 人の写真でできております。チーム JCR は一丸となって、患者さんとそごご家族のために進んでまいります。

一緒に、その先へ。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@scriptasia.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。質問方法は画面に表示しております。ご質問の順番がきましたら指名させていただきます。会社名とお名前をおっしゃってからご質問をお願いいたします。それでは、質疑応答を開始いたします。

それでは、Zoom ご参加者様より指名してまいります。シティグループ証券、山口様。お願いいたします。

山口 [Q]：シティの山口と申します。ありがとうございます。予定が合わず、大変失礼いたします。

まず最初に前期と今期の契約金の額の推移ですけれども、詳細は開示しにくいことはよく理解しておりますが、前期の期初では154億円でスタートして結局65億円ということで、80億強の未達になって、今期は81億円ということになっておりますが。

前期末達になった部分が今期に期ずれしたと理解すればよいのか、前期見ていたものと今期見ていたものはまた別の内容が多いのか。契約金の額が結果的には下方修正の要因にもなっております。今期の見方について内容や試算の仕方が変わったのかどうか、それを最初にお願いします。

本多 [A]：ご質問ありがとうございます。管理本部の本多でございます。お答えさせていただきます。

前期の154億円の契約金の見通しに関しましては、説明会でもお話のとおり、ややチャレンジングなものも含めて、JCRとして果敢に挑戦していく数字を含めた見通しを立てさせていただきました。

残念ながら下方修正をさせていただく結果になりまして、契約金収入そのものは見通しを達成することはできませんでしたが、今期の契約金の見通しについては確実にJCRとしてチャレンジして、計上ができるであろうというものを、堅実なレベルで判断したものを想定させていただいております。

前期に未達になった契約がいくつか当然ございますが、それが全て今期に流れているわけではございません。中には契約の過程において、残念ながら契約としてもう成り立たないこともありますし、あるいは今期に見通しを立てているものに関しましても、また新たに前期にはなかったものが

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



含まれていることもございます。その点、ご理解いただければと思います。よろしくお願いいたします。

山口 [Q]：ありがとうございます。あと二つ目でちょっと細かいんですけども、今期から受託の売上が業績予想に入っておりますが、これは投資した会社によるものなののでしょうか。それとも御社そのものが受託しているのでしょうか。CDMO 的な売上が上がっていたと思うのですが、その内容についてよろしければ教えてください。

本多 [A]：ありがとうございます。この受託に関しましては相手先様がありますので、中身に関しては詳細はお答えいたしかねますが、決して JCR として CDMO 事業に進出していくとかいう類のものではございません。

他社様がわれわれの技術力を高く評価して、一定のものを製造委託したいということでお話をいただいたものが、今期計上を予定されているとご理解いただければと思います。よろしくお願いいたします。

山口 [Q]：ということは、これは国内の御社の神戸からの受託ということでしょうか。

本多 [A]：はい。弊社の生産設備を用います。

山口 [Q]：分かりました、ありがとうございます。あと JR-171 なんですけども、フェーズ 1/2 がそろそろお伺いしましたが、今さらながらで恐縮ですけども、これはグローバル試験はともかくフェーズ 3 をやるのはよく理解していますが、国内においてはイズカーゴと同じで 1/2 の後申請できる可能性はあるのでしょうか。

藺田 [A]：藺田がお答えしたいと思います。これに関してはまだ確定的なことは決まっておられませんけれども、われわれの方針としてはフェーズ 3 を実施して、そのデータをもとにグローバルでの申請を考えています。

山口 [Q]：分かりました。あと最後にアンジェリーニのディール、総額が結構大きなディールとなっております。今まではあまり総額等々は開示されていなかったんですけども、これは今年についてはあまり入っているような印象を受けないんですけども、今後開発が進むにしたがって額自体はかなり大きいんですけども、マイルストーンとして毎年入っていくようなことが予想されるのでしょうか。それともやっぱりかなり時間はかかって、そう簡単にはなかなかマイルストーンは入らないのでしょうか。

本多 [A]：ご質問ありがとうございます。こちらは他社様との契約に絡むことですので、時間軸も含めて詳細な内容はお回答は差し控えさせていただきたいと思っております。

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



金額の開示に関しましては従来の JCR のリリースとはちょっと違って、より高い透明性をもって投資家の皆様にご理解いただけるような観点でやっております。金額を開示する方針に関しましては両社で協議をして、先方様もぜひこの JCR との協業に関しまして、積極的に投資していることを開示したいということが挙げられましたので、両社の合意の下で金額の開示をさせていただいてるとご理解いただければと思います。

山口 [Q]：ありがとうございました。長くなって恐縮ですが、最後は簡単なんですけれども、中計をご発表いただいて大変ありがたいんですけれども。今回計数的なものが一切ないのですが、それについてはないものはないのでしょうか。それとも時期によっては、出してきたりする可能性があるのでしょうか。この計数的なものがなくなったことについて一言、コメントをいただけますでしょうか。

伊藤 [A]：それでは伊藤よりご回答いたします。JCR は 48 年の歴史のある会社でございますが、第 2 の創業期と申し上げていますように、ここから新たなグローバルに成長する成長期に入ると考えております。そういう意味では、グローバルに見ればバイオテックベンチャーという性格を強く持った企業なのかなと思っておりまして、そういう意味では数値目標を置くことよりも、とにかく投資して、その成果、研究開発の成果で評価していただくことが重要だと考えたということでございます。

そのためにはリソースの許す限り、研究開発に投資していきたいということございまして、一方でご覧いただいて既にお分かりのことと思いますが、われわれの収益構造はラフに申し上げまして、国内で販売する製品の利益で研究開発費、その他の販管費をまかなって、契約金収入で利益を稼いでいる構造でございまして、そのため、契約金収入の大小によって利益額が大きくぶれるわけでございます。

ですから、数年後の数値目標を設定すること自体が非常に難しいと思いますし、逆に設定することによってその数字にとらわれて、投資を削るという可能性は排除したいということでございます。小成に安ずることなく大きな成長を目指すということで、今回、数字を開示しなかったと、ガイダンスを開示しなかったということございまして、この中計に関しましては少なくともこの方針でやらせていただきたいと考えております。よろしく願いいたします。

山口 [M]：ありがとうございました。

司会 [M]：ありがとうございました。恐れ入りますが、お 1 人様 1 回につき 2 問までとさせていただきます。何回挙手いただいても結構でございますので、ご協力のほどお願いいたします。

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@scriptasia.com



それでは続いてのご質問、大和証券、橋口様。お願いいたします。

橋口 [Q]：橋口です。よろしく申し上げます。一つ目が JR-141、イズカーゴのフェーズ 3 試験の進捗状況についてです。

ビジネスのスライドの 31 ページに、新たな地域での治験開始準備中とご紹介をいただいています。これはもともと予定していたものなのか、それとも今の状況を踏まえて新たに計画されているものなのか。この背景を教えてください。

それと関連して 22 ページに、次のマイルストーン承認予定が 27 年度までということになっていますが、今のペースで順調に症例登録が進めば、最速だとどれぐらいにできるのか。まだレンジがある状況だと思いますけれども、早ければいつぐらいが可能なのかも併せて教えていただければと思います。

シュミット [A]*：橋口さん、ご質問ありがとうございました。新しいロケーションをなぜ加えたのか、この臨床試験で新たな場所を加えたんですけれども、患者さんの登録を増やしたいと思ったからです。

最初、登録が若干スローでした。コロナがあったからです。治験施設へのリソースの割り当てもありまして。ただし、かなりキャッチアップできつつあります。ただ、それをさらに加速するために、新しい地域を加えています。そうすることで患者さんの登録を増やしたいと考えています。

予測は難しいです。全体の登録がどれくらい進むか予測をするよりも、当初のコミュニケーションのまま 27 年度と据え置きたいと考えています。予測が難しいからです。これでお答えになりましたでしょうか。なっていればよいのですが。

橋口 [Q]：ありがとうございます。もう 1 点目が、武田薬品との遺伝子治療の共同研究についてです。

武田薬品さんは昨日、AAV ベクターを使った遺伝子治療はもう開発しないと発表されているんですけれども、御社と一緒にされていたのは AAV ベクターなのか別のものなのか、またそれとも両方並行してやっていた状況なのか。どういう状況であって今回の武田さんの判断が、このプロジェクトに進捗にどういった影響を及ぼすのかを教えてください。

菌田 [A]：個人的にはいろいろと申し上げたいところではあるんですけれども、他社様との関係上、何も私からは申し上げることができません。大変申し訳ないですけれども、ご理解いただければと思います。

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



橋口 [M]：ありがとうございました。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いてのご質問、モルガン・スタンレーMUFG 証券、村岡様。お願いいたします。

村岡 [Q]：こんにちは。モルガン・スタンレー、村岡です。ありがとうございます。

受託収入の 25～26 億円ですけれども、お話ししにくいのは分かるのですが、方向性を知りたくて。この数字は今期はこの数字が出るとして、来期以降も同じような水準が続くのか。それとも 1 回こっきりで終わっちゃうような、アストラゼネカみたいな話なのか。

そして、これはそれなりに利益につながるものなのか。その辺り、僕らも利益の予想をしなきゃいけないので、いくつかヒントになるものを教えていただくと助かります。

本多 [A]：ご質問ありがとうございます。管理本部の本多でございます。

まず受託に関しましては、契約としては一つの契約でこの金額というかたちで、今期は見込みを立てさせていただいております。その同じ相手先様と今後どのような関係になっていくかは、まだ今後の未定の中にございまして、来期以降も安定的なこのようなものがあるかは、一切今、明確なことは申し上げられないことになります。

ただ一方で、弊社も当然受託を請ける以上、一定の利益がなければこのようなものは受託はしないわけございまして、弊社としては受託して意味のある、価値がある事業であるからこそ受け入れておりますので、一定の利益率は十分に確保できていると考えております。

村岡 [Q]：分かりました、ありがとうございます。2 問目ですが、この中計なのですが、本日株価が随分下がってしまっていて、マーケットキャップでいうと 200 億円消えているんですけども、企業価値の最大化とか株式市場との対話という意味で考えると、中計に限らずもう少し私たちの側に歩み寄るようなかたちで、いろいろな情報をお出しいただけないかと思うのですが、その辺りの考え方を、繰り返しのよう質問になりますけれども、お教えいただけますでしょうか。

伊藤 [A]：ご質問ありがとうございます。伊藤よりご回答申し上げます。

今回、ガイダンスを出さないということでございますが、一方でおっしゃるような、われわれのサイドからのさまざまな情報の提供は非常に重要だと考えております。研究開発に投資をしていきますと申し上げておりますし、またこの研究開発の成果によって患者さん、あるいはそのご家族、投資家の皆様に貢献していきたいと考えておりますので、そういった内容についても適宜発表でき

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



る、ご紹介できるときにはしっかりと開示させていただいて、情報伝達に努めてまいりたいと考えております。よろしくお願いいたします。

司会 [M]：村岡様、ありがとうございました。それでは続いてのご質問、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。

中計の数値目標は出さないということではあったんですけども、R&D 費の目安を中計期間でどう考えたらよろしいのでしょうか。5 品目の臨床試験入りということがありましたので、それなりにかかると思うんですけども、何か定性的でもいいのでガイダンスをいただけますでしょうか。

話者 [A]：特にガイダンス的にお示しできるものはございませんが、それぞれ臨床開発が進んでまいりますので、傾向としましては徐々に増えていく傾向になるかと考えております。

熊谷 [Q]：分かりました。中計中に発売されるものはイズカーゴの海外と JR-171 だけで、JR-441 はまだという理解でよろしいですか。

菌田 [A]：はい、そのとおりです。普通の開発のスキームになれば、そういう考え方でよろしいかと思えます。

熊谷 [Q]：分かりました。あともう一つはイズカーゴの国内ですけれども、今期 52 億円だったかな。予想が少しソフトに見えるんですけども、コ・プロモーションでもう少し患者への浸透の加速はないのでしょうか。教えてください。以上です。

話者 [A]：今期、イズカーゴにつきましては投与患者さんの年齢によって、体重等によってもかなり売上に換算した場合は予測からぶれてくる部分がございますので、売上高予測についてはそういったかたちの金額になっておりますけれども、おっしゃるとおり住友さんとのコ・プロの成果もシナジーも出てくると思えますので、当初われわれ単体で考えている予測よりは、もう少しスピード感を持って処方が増えていくと考えております。

実際 4 月、今期始まっておりますので 5 月の 1 カ月ですけれども、かなりわれわれの予想を上回る処方の患者さんが、切替え含めて出ている状況でございます。

熊谷 [M]：分かりました。ありがとうございました。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは、続いてのご質問。SBI 証券、川村様。よろしくお願いいたします。

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



川村 [Q]：ご説明ありがとうございます。SBI証券の川村です。JR-141のグローバルについて、サイトを増やしているとのことでしたけれども、リクルート面、組入れが終わるタイミングと中間解析の終わりにアナウンスしてくれるタイミングについて、アップデートをお願いします。

シュミット [A]*：ご質問ありがとうございます。中間解析に関してはコメントはできかねます。戦略をあまり詳しく申し上げたくないんですけども、今現在としては、組入れに関しては予定どおり進んでおります。ですからこれは承認日、27年ということになっています。

そしてそこから治療期間を考えて、最初のコホートが2年間と考えますと、いつ全体の組入れが終わるかが分かると思います。コホートBはクリティカルパスではありません。長期のもので、治療になります。コホートAの1年ということ、それだけが計算に入ります。計算のためにはコホートAを使ってください。そしてクラス2の最後の患者の組入れということ、それから27年の承認予定ということから計算できると思います。

川村 [Q]：ウルトラレアのところでの提携について、ご質問させてください。

この領域、御社は前からディールの相手を探していたと思います。メディパルさん、医薬品卸としては素晴らしい会社だと思うんですけども、ことこの医薬品開発であえて彼らと組んだ意義というんですか、われわれ資本市場サイドとしては大手メガファーマとか、海外の会社を期待していたほうが多いかと思うんですけども。

改めて、彼らと組む意義とかシナジーとか、メリットについて教えてください。以上です。

藪田 [A]：われわれが以前からこのウルトラレアのところ、JCRとして手がけてきて、そしてウルトラレアですので、日本の中だけでは到底ビジネスにならない。例えば日本だと1人、2人しか患者さんがおられないような疾患もありますし、例えばゼロの疾患もあります。

そういったものに関して、どこと一緒にやっていこうかというのがとても重要だったわけですが、これに関してはお金云々ではなくて、やっぱり考え方として同じマインドで、同じ温度感でやっていただけたところと一緒にないと、これはなかなか難しいと考えてきていました。

あとは一番重要なのは、われわれが持っている剤のポテンシャルといいますか、これなら確かに先に進んで、患者さんが治せるよねというのをしっかり理解してくださるところ。そして大きな賭けにチャレンジしていただくことになりますので、患者さんのためにやろうと言っていただけたところ。そういったところをもちろん探すわけですが、なかなかそういったところに巡り会うことがなく、ずっと探している状況でした。

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@scriptasia.com



その中でメディパルさん、われわれと非常に長くいろんな方面でお付き合いをしてくれておりましたので、われわれの考え方も非常に理解してくださって、メディパルさんはまだ国内にしかももちろん卸機能はございませんけれども、その卸機能を海外に出していくと。海外でもこういった希少疾病、さらにいうとウルトラレアであれば、患者さん個人個人に薬剤を届けられるだろうという、それは両社でいろいろと調査して考えた結果、そういった結論に行きついて、一緒にやるという結論になっております。

ダイレクトなお答えではないですけれども、この答えでお許しください。

川村 [M]：分かりました。ありがとうございます、以上です。

司会 [M]：ありがとうございます。それでは続いてのご質問、クレディ・スイス証券、春田様。お願いいたします。

ハルタ [Q]：クレディ・スイス証券のハルタと申します。1点目なんですけれども、今回 J-Brain Cargo、神経変性での契約を締結したかと思うんですけれども、理論上といいますか、J-Brain Cargo は BBB を通過する技術なので、ライソゾーム病以外でも応用が利くという話だったんですけれども、この提携にあたって、何かライソゾーム以外でも効くことは非臨床の試験など、何かデータはあったのでしょうか。

こういった契約に関して技術提供をこれからもやっていく場合にあっては、契約一時金を得た後は基本的にはパートナー企業が開発主導するかたちで、今後マイルストーンを御社は待つかたちでの、技術提供のビジネスモデルにおいてはそういったかたちになっていくのか。ここについても教えてください。

藺田 [A]：まずデータはあるのかというところなんですけれども、答えとしてはあります。われわれ、ライソゾーム病に関してはもちろん一番集中的にやっていますけれども、それ以外のところも基礎研究レベルではやっています。

次にパートナーが主導して開発するのですかというところに関しては、基本的にはイエスですが、これは契約内容の中身に関してのことになりますので、こちらからお答えすることはできません。

ハルタ [Q]：分かりました。その技術提供を今後もやっていく中では、どうでしょう。御社はある意味一時金を待つみたいなビジネスモデルに、この技術提供という部分はどんどん広がっていくのかみたいなところはいかがですか。

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



藺田 [A]：はい。ただ、技術を持っているのは JCR なんですよ。相手方は相手方がフォーカスしている疾患の専門性があります。われわれはただ待っているだけではなくて、われわれが持っている技術ですとかノウハウですとか、そういったもので候補分子をつくり上げていく過程がありますので、待っているというよりも、こちらが協力してそれを速く前に進める。

それが終わった後、例えば臨床開発の役割はどちらかということは、一つ一つのケースによって違いますのでなんとも申し上げられませんが、仮に相手はその役割を持っていた場合、ここまでいくと待つことになる可能性は十分あるかと思います。

ハルタ [Q]：承知いたしました、理解いたしました。2 点目なんですけれども、Mycenax 社、去年第三者割当を引き受けたということなんですけれども、今期に持分投資損失が挙げられていましたけれども、その成果として、この会社との提携は掲げていましたけれども、これはあくまでもマーケットの価値の部分であって、企業の価値自体は毀損していないという理解でよろしいでしょうか。

伊藤 [A]：ご質問ありがとうございます。伊藤よりお答えいたします。

Mycenax 社につきましては、われわれは彼らの技術力等を評価して提携し、投資したということでございます。実際、これまでも Mycenax に委託をして治験薬等を生産していただいた実績もございますし、今現在もいろんなものに関して Mycenax 社での生産をしていただくことを検討して、いろいろとやり取りをしております。

ですから、われわれの彼らの技術力に対する評価は特に全く変わっているものではございませんで、持分法投資損失につきましては会計上、そういう取扱いをせざるを得ない状況にあるということでの投資損失で、ご案内いただければと思います。

ハルタ [M]：承知いたしました。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いてのご質問、野村証券、松原様。よろしく願いいたします。

松原 [Q]：野村証券、松原です。ご説明いただき、ありがとうございます。私は製造受託のところ
で 2 点、お願いします。

まず 1 点目が、御社のキャパシティとして何件の契約を受託できるのかということ。そして 2 点目が今、この一つの企業だけになっていて、ほか複数の企業とお話合いをして、案件を今後取ってこられる可能性があるのかということ。この二つをお願いします。

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



藺田 [A]：藺田がお答えしたいと思います。これは受託のところのキャパということでよろしいですよ。われわれは先ほどお示ししましたように、2,000 リッターの釜が8基そろった状況になりますので、仮にそれをフル稼働すれば、もっと受託を請けることはできます。

ただ、われわれは受託企業ではありませんし、先ほどの Mycenax も自分たちの品目を先に進めるために、フレキシビリティを持ちたいがための Mycenax との提携という意図がありますので、自分たちがやっているライソゾーム病のパイプラインを先に進める。ライソゾーム病の治療薬をとにかく世に出すのが、われわれのファーストプライオリティです。

ですので、これを達成しつつ、まだ空きスペースがある場合で、かつビジネス的にわれわれにも良い条件であれば受託が増える可能性はありますけれども、われわれが積極的にそこを推し進めていく考えはありません。以上です。

松原 [Q]：つまり非臨床試験段階のものが臨床試験が進んでいくと、この受託は請けられないという理解でよろしいですか。

藺田 [A]：それは、われわれの先ほど言った考え方にのっとればそうなっていきますけれども、そこは誰もまだ予測ができない領域でありますし、そのときの状況にもよるかと思います。

例えば受託費用がとても高く受託していただいて、われわれがそれを受託する代わりに、われわれの品目を Mycenax でつくるですとか、いろいろそこは考え方、やり方があるかと思いますので、一概にこうだとは言えないですけれども、基本的な考え方としては先ほど述べたとおりです。

松原 [M]：承知いたしました。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いてのご質問、みずほ証券、都築様。お願いいたします。

都築 [Q]：みずほ証券の都築と申します。ありがとうございます。私からは契約金収入のところでは1点と、技術投資のところでは1点お伺いしたいと思っています。

まず契約金収入のところなんですけれども、前回の決算のときはチャレンジングな数字で含めて出されたということで、今回は確実にできるものを想定されていたとおっしゃっていたと思います。そうすると、確実にできるものと考えたら、われわれの見方としては結構年前半に高まっているものと想定していて、そういう意味だと今後契約金収入のところでは新たな契約で、上振れで上方修正とか、そういったかたちの目線感を持っていていいのか。そこをまず1点、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@scriptasia.com



本多 [A]：ご質問ありがとうございます。今、今期見込んでいる契約金収入の計上時期に関しましては、こちら相手先様があることでございまして、今明確にどのクォーターでとは申し上げられない状況になっておりますので、ご理解いただければと思います。

もちろん今見込んでいる契約以外に、今後他社様とのいろんな協議が進んで、新たにもし見込みが立つようなことがあれば、それは速やかに投資家の皆様に情報開示していきたいと考えておりますので、よろしくお願いいたします。

都築 [Q]：承知しました。あともう1点が技術導出という話を少し知りたいなと思っていて、御社の2022年のときのR&Dのときに、VHH抗体の話があったと思います。

これは加工が容易ということもあるので、そういう意味だと技術投資には向いているなと思っていて、今年の23年に関してはこのVHH抗体関連の導出だとか、これを踏まえてかもしれないですけども、J-XXX CargoとかJ-YYY Cargoとかの辺りの進捗は、われわれにも23年中に見えてくる可能性があるのか。この点もお聞きしたいです。

そもそもアーマジエンが別の受容体のところの、J-Brain Cargo じゃないですかね、いろんな受容体のところで学会発表も前回されていたなというのもあったので、この辺りをお伺いしたかったです。

藺田 [A]：藺田がお答えしたいと思います。まずVHHに関してですけれども、2022年の3月に発表した当時ではほぼほぼ完成体というか、発表できるようなものまで仕上げているので、そこからさらに練り上げていっているのが現状です。

われわれは非常に強い自信をこれは持っていますし、われわれの良いところは既に上市品がある。あれはVHH じゃないですけども、われわれは既に人でバリデートされたものと比べてどうだということがいえますし、そういったデータを示すことができる。これが非常にわれわれの強みだと思っています。なので、VHH に関して、すぐに使えるところまでできているといえるかと思いません。

その次のJ-XXX Cargo、J-YYY Cargo というところ、これに関してはまだ基礎研究段階です。われわれは今、17種類のライソゾーム病のパイプラインを推し進めていますけれども、どこにプライオリティを置いて研究をやっていくのが非常に悩ましいところです。

基盤技術をつくり上げていくのは非常に重要なんですけれども、この基盤技術をきっちり薬に変えていく。きっちり薬剤として患者さんに届けていくと、それも非常に重要です。ですので、今のところはこの17品目の開発に非常に重きを置いてやっている。その裏でというか並行して、先ほど

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



の J-XXX Cargo ですとか J-YYY Cargo にあたるようなものを今やっていますので、これがいつ皆様にお伝えできるような状況になるのかは、今ここでは申し訳ないですけれども明言することはできません。

ただ、頭以外の臓器に薬をデリバリーするニーズも非常に高いものがありますので、ここも引き続きプライオリティを引き上げて開発していきたいと思っています。

都築 [M]：よく分かりました。ありがとうございました。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いてのご質問、東京海上アセットマネジメント、ミズノ様。お願いいたします。

ミズノ [Q]：東京海上アセットマネジメントのミズノと申します。本日はありがとうございます。二つあります。

一つはアレクシオンですとかアンジェリーニと提携しているような、ライソゾーム病以外のところとのアライアンスの御社がこういうライセンスマーケット、技術提供マーケットにあるんだよというかたちで売り出していったタイミングは、大体いつ頃だったのか。もし教えていただければ開示いただけますでしょうか。

藺田 [M]：藺田がお答えしたいと思います。すみません、質問の中身をもう一度整理させていただきたいんですけれども、話をし始めたタイミングという意味ですか。それともこういった技術があるよというのを、われわれがいい出したタイミングとどちらでしょう。

ミズノ [Q]：後者のほうです。当然アレクシオンとか、アンジェリーニとの具体的な交渉がいつ始まったというのを教えていただけるんだったら、それは非常にありがたいんですけれども。

要はこの二つが結構タイミングが近く発生して、武田さんとの提携からも1年ということなんで、大体こういう技術があるよと、それを相手方がデューデリをして、ぜひ一緒にやってみようという交渉が進んできたタイミングが、ちょうど重なっているのかなと思ったのですが、なので今後また出てくる可能性があるのかなとか、そういうようなことのイメージをつかみたくて。

大体何年ぐらい前からこういうかたちで、ディスカッションというか、御社からオファーが始まったのか。その辺について教えていただければと思いました。

藺田 [A]：よく分かりました。各それぞれのケースでいつ始まってというのはお答えはできないですけれども、基本的にわれわれが今持っている技術ベースでの導出機会は、常に探しています。

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



それがどれぐらいのタイミングで、どれぐらいの期間でというのは、これは本当に個々のケースによりけりですので、なかなか平均がどれぐらいでとは、なかなか申し上げにくいかなと思います。

ミズノ [Q]：そうすると、アレクシオンとアンジェリーニがかなりタイミングが近かったのは、これはどちらかというところ偶然であって、何か企業戦略にのっかって動いていたら、こういうタイミングだったというわけではないということですか。

藺田 [A]：はい。たまたま同じような時期になったということですし、今後も同じような導出契約は積極的にやりたいなと思っています。

ミズノ [Q]：分かりました。あと中計について、これは質問でもあり意見でもあるんですけども、今までも何人かの方が質問されている、やはり定量の目標がないことについてなのですが。

定量の数字を出しづらいのは非常によく分かりますが、一方で私は御社のことを十数年カバーしているので、ある程度今日の中計の内容を見ていけば5年後、10年後にこういうパイプラインがあって、そしたらこのぐらいの企業価値が出てくるのかなと、そういうイメージはなんとなく湧いてきます。

ただ、おそらく御社を初めて見る投資家が今日の中計を見たら、5年後、10年後、御社がどういう規模になるんだろうというのは、全くイメージが湧かないと思うんですね。今日の中計をどこかの初めての金融機関に持って行って融資してくださいといっても、おそらく一銭も出してくれないと思います。

先ほど伊藤様も R&D について、今後の見通しについては特に数字などはありませんとおっしゃいましたけれども、正直言って今日の中計は、御社は資料のなかで No one left behind という表現をされていましたけれども、株式市場が完全に left behind だと思いますが、いかがでしょうか。

話者 [A]：ご意見ありがとうございます。今、いただきましたようなご意見もよく聞かせていただきまして、これからのわれわれの情報発信に生かしていきたいと考えております。

また資金調達についてご心配されるようなお話もございましたが、そちらについては既存の取引のある金融機関とは良好な関係を築いておりますので、特にそれによってわれわれどうこうという心配はございません。

また貴重な意見を頂戴しましたので、これからもいろいろと勉強させていただきながら進めていければと思います。どうも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



ミズノ [M]：補足ですけれども、私は別に御社がお金を借りるかどうかのことは全然心配してなくて、今日開示された中計のような内容は、株式市場からしてみると新規に投資しようかどうかと考えるための資料だと思いますので、それに向けては何の貢献もしないような資料じゃないかなと。

これは新しい患者さんがいらっちゃって、新しい薬が出てきたときに、将来この薬は効くかどうかは分からないけれども投資しませんかと投げかけても、誰も受け付けないと思うんですけれども。基本、今回の中計は正直いって、株式市場的な目線から見るとそれに近い内容じゃないかなと思いますので。定量的な数字、2028年度に御社の業績がいくらになるとか、そういう数字は私たちが責任を持って試算した上で投資すればいい話なんですけれども、それに向けてのヒントになるような定量的なエビデンスですとか方向性ですとか、そういうものが全然記されていないのは、ちょっと問題だと思います。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。会場からの質問を受付いたします。ご質問はございませんでしょうか。会場に質問者がいないようですので、Zoom ご参加者様より引き続き指名してまいります。SBI証券、川村様。よろしくお願いいたします。

川村 [Q]：SBIの川村です。2周目、すみません。

細かいところで恐縮なんですけれども、24年3月期のご予想のところでは、グロウジェクトとテムセルについてご質問させていただきます。

グロウジェクト、薬価改定影響で5%、YoYだと売上マイナス11%のご前提だと思います。市場は少子化でちっちゃくなるのはそのとおりだと思うんですけれども、今まで横ばいぐらいできていたものが、ここでなんでマイナス11%までがつんと下がるのかの背景。

あと、テムセルに関しては薬価改定なかったと思うんですけれども、これも減収予想の前提の背景を教えてください。

話者 [A]：ご質問ありがとうございます。グロウジェクトにつきましては私のほうから、まずご回答させていただくんですけれども、薬価改定の影響は当然ございます。少子化という部分はございますが、成長ホルモン治療をされる患者さんという層は、われわれ成長ホルモンメーカーとして継続的に養護教諭であったり、学校医の先生方への啓もう活動を行っておりますので。成長ホルモン治療患者さんで新たに治療を開始されるお子さんは発掘、啓もうしているということで、徐々にわれわれの獲得する患者さんも増えていくものと考えております。

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



事実、日本国内における成長ホルモンの市場シェアにつきましては、過去5年、全て上がっていると、今24%のシェアがございますが、そういったかたちで薬価改定、薬価ダウンの中でも市場発掘に努力していきたいと思っております。

それと若干売上のところインパクトがある要素といいますと、過去成長ホルモン治療を開始した患者さんが、大体2歳とか3歳ぐらいから開始するわけですが、これまで10年前ぐらいに非常にそういう意味では今よりも子供さん、治療の患者さんの相対的、絶対的な数が多い時代に治療を開始した患者さんが、治療を終了する患者さんが毎年ございます。そちらにつきましては体重増加によって、1人の患者さんが成長ホルモン治療を終了されると、新しく2歳、3歳のお子さんですと3人から4人の新規の患者さんを処方獲得せねば、プラスマイナスゼロにならないということで、そういった治療終了患者さんがここ数年増えてくるところの要素も加味した数字でございます。

太田 [A]：ちょっと経理部のほうで補足させていただきます。グロウジェクトに関しましては卸と自販の比率が前年度と今年度で変わったところがございますので、その売上の計上に若干そこが影響を及ぼしている側面もございます。以上でございます。

川村 [Q]：ありがとうございます。テムセルに関してはいかがでしょうか。

話者 [A]：テムセルにつきましては発売後、急性GVHD治療の領域におきましては、かなりブランディングが進んでいると感じております。

その一方、医療現場でGVHDを事前に抑えるような新たな治療法みたいなものも、臨床の現場では発生しているということで、ただここは移植の数も含めまして、なかなかわれわれのほうで予測できない部分もございますので、若干保守的な見通しにさせていただいております。

川村 [M]：分かりました、ありがとうございます。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。終了時刻が近づいてまいりましたので、現在挙手いただいている2名で終了させていただきます。

それでは続きまして、村岡様。お願いいたします。

村岡 [Q]：モルガン・スタンレー、村岡です。1問だけ。

JR-171 なんですけれども、フェーズ3が必要と考えているというお話をされたのは重々分かった上で、それでも日本だけだったらフェーズ1/2の結果で申請とかできないものなのでしょうか。

JR-141の実績もありますので。

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



とにかく次の株式市場が嬉しくなるようなイベントが随分先になっちゃっているんで、そういう可能な限り早まるような策を考えていただけたら嬉しいのですが、そこは難しいものなのでしょうか。

藺田 [A]：ご質問ありがとうございます。今の状況で、これは絶対 100%無理ですという回答ではもちろんございません。ただ当初からフェーズ 1/2 の JR-141 と JR-171、投与期間も違いますし、はなからフェーズ 3 をやることを見越してのフェーズ 1/2 の試験の構成、実施になっておりますので、これをやっぱりこの結果でというのは、少し難しいかなとは考えております。

ただ完全にノーだということではありませんので、いろいろな選択肢を考えながら、今後進めていきたいと思っております。ご指摘ありがとうございます。

村岡 [M]：ぜひ、僕らが喜ぶようなイベントを早め早めに設定していただけるよう、努力いただくと大変助かります。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは終了時刻となりましたので、以上で質疑応答を終了させていただきます。

それでは以上をもちまして、JCR ファーマ株式会社、2023 年 3 月期決算説明会を終了いたします。皆様、本日はご参加いただき、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付いては[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

