



JCRファーマ株式会社

2024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）

2023年11月2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]	2024 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]	2024 年度 第 2 四半期
[日程]	2023 年 11 月 2 日
[ページ数]	49
[時間]	13:00 – 14:31 (合計：91 分、登壇：47 分、質疑応答：44 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@scriptasia.com



常務取締役 臨床開発（統括）日本を除く事業開発分野・IR 分野担当

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 管理本部長 兼 総務部長 兼 人事企画部長

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

モルガン・スタンレーMUFG 証券

村岡 真一郎

野村証券

松原 弘幸

みずほ証券

都築 伸弥

SBI 証券

川村 龍太

大和証券

橋口 和明

*質疑応答の中で発言をしたアナリスト、または質問が代読され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：JCRファーマ株式会社、2024年3月期第2四半期決算説明会を開催いたします。

まず、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ざい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、また、今後の結果を保証するもの、開発中の製品の効能・効果を保証するものではありません。

なお、本説明会は、後日弊社ホームページへ掲載する目的で録画を行っております。

それでは初めに、本日の登壇者をご紹介します。代表取締役会長兼社長、芦田信。

芦田信：よろしく申し上げます。

司会：専務取締役、営業本部長、芦田透。

芦田透：よろしく申し上げます。

司会：常務取締役、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：常務取締役、研究本部長、藺田啓之。

藺田：よろしく申し上げます。

司会：上席執行役員、経営戦略本部長、伊藤洋。

伊藤：よろしくお願いたします。

司会：上席執行役員、管理本部長、本多裕。

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：よろしくお願いします。

司会：経営戦略本部、経理部長、太田義博。

太田：よろしくお願いいたします。

司会：以上 7 名です。

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 11 月 1 日、17 時に掲載いたしました。お手元に資料が必要な方は、恐れ入りますが、そちらをご参照ください。

次に、本日の説明会の流れについてご説明いたします。本日は、プレゼンテーションおよび質疑応答を含めた約 1 時間 30 分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 50 分を予定しております。

それでは早速、会長の芦田よりごあいさつさせていただきます。芦田会長、よろしくお願いいたします。

芦田信：芦田でございます。よろしくお願いいたします。皆様には当社への格別のご理解とご支援を賜っております。ありがとうございます。

本日の決算説明会では、まず、JCR が 2030 年までに目指す姿を皆様にお示しいたします。その後、2024 年 3 月期第 2 四半期の決算概要等をご報告いたします。

今期は、主力製品であるグロウジェクトが他社の供給問題もあり順調に推移し、またイズカーゴやテムセルも、当初より予算を上回る実績で推移したことによって、ワクチン製造が寄与した一昨年度を除いて、売上高、利益とも最高の水準に迫る数値を達成することができました。

われわれは新薬の開発として J-Brain Cargo を使ったライソゾーム病を主に臨床開発を進めておりますが、われわれの第 1 号の JR-141、イズカーゴ、これに続きまして、JR-171 の臨床の Phase I/II の結果が得られ、非常に良い成績を収めることができました。

これによって、この J-Brain Cargo が他のライソゾーム病の酵素に有効であるということが示されたということで、非常にわれわれのこれからのライソゾーム病の開発ラインが順調にいくであろうということをわれわれは確信しております。

JR-441 については、グローバル Phase I/II 試験がまず 1 例目の患者さんに、ドイツの患者さんですが投与をされました。順調に推移しております。これに続いて、JR-446 等が順番にわれわれの

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



臨床の開発に上がってきます。われわれは幅広い患者さんに投与できるような疾患については、他社へのライセンスを進めており、このライセンスの話し合いも順調に進んでおります。

われわれ、このライソゾーム病の疾患、それと、他社へのライセンス、ロイヤリティ等で、2030年には1,000億円に近づくような売上を上げられると自信を持って考えるようになっております。

希少疾病への貢献を続け、世界でも希少疾病だけで生きていくという会社は本当に少ないと思うんですが、今後ともわれわれはそこを狙って挑戦をし続けることをやり遂げるということをわれわれとして考えております。今後とも皆様のご支援を賜りたく、よろしくお願い申し上げます。どうもありがとうございました。

司会：それでは、これより決算概要およ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。初めに、伊藤より、「JCRが目指す姿」についてご説明いたします。

伊藤：それでは、経営戦略本部長の伊藤より、「JCRが目指す姿」についてご説明申し上げます。

希少疾病領域にフォーカスし続ける製薬企業

Reach Beyond, Together
一緒に、その先へ



継続して利益を上げている希少疾病領域の製薬会社は**世界的にも非常に少ない**
それを可能とする事業基盤をJCRは保有している

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

FY2023_2Q_3

今、芦田から話がありましたように、世界中でも希少疾病領域に特化をして利益を上げている会社、継続して利益を上げている会社は非常に少ないと思います。われわれとしては、われわれがそれを可能とする事業基盤を有していると考えております。

その基盤は三つありまして、まず一つ目が、われわれはバイオシミラーのリスクが非常に低いライソゾーム病領域に注力をしております。ライソゾーム病領域は、個別の疾病を取り上げてみますと

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



それぞれ非常に小さいマーケットでございます。それによりまして、バイオシミラーの参入率が低いと思います。

そういう領域で、それぞれに高度な医薬品を創出し提供することによりまして、パテントクリフのない、パテントクリフのリスクの少ない事業を構築していけると、それによりまして長期に利益を創出し続ける製品群、これを創出していけると考えております。

2番目の基盤としましては、われわれは希少疾病領域、ライソゾーム病の治療薬以外に、国内の製品群、あるいは先ほども話がありましたように、J-Brain Cargo 技術の導出によりまして、さまざまな疾病領域へのアプローチが可能であると考えております。

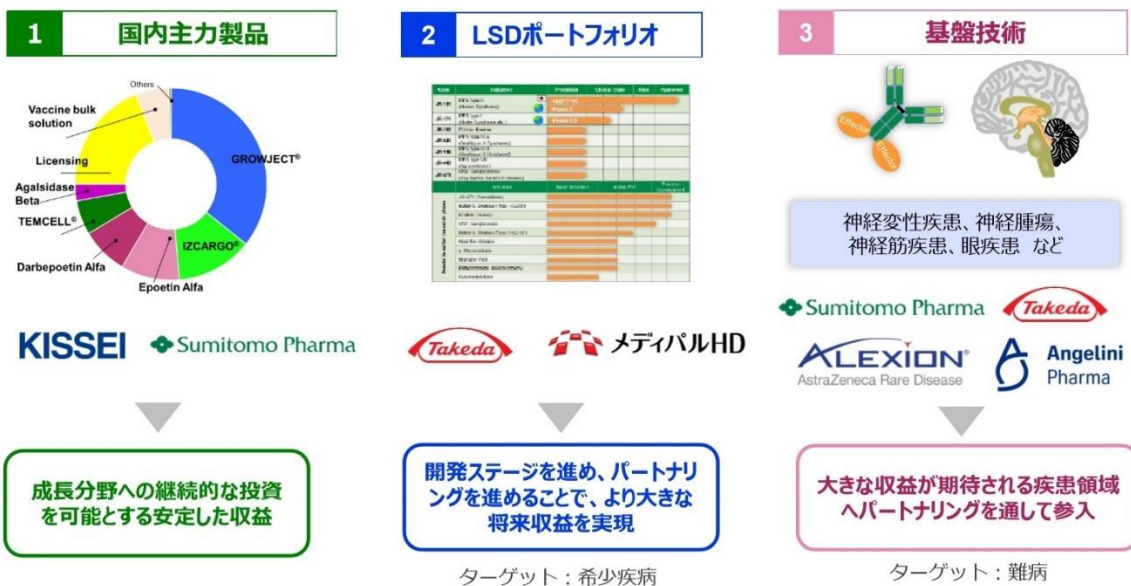
それによりまして、長期にわたって希少疾病領域への研究開発投資を継続できる事業基盤を持っていると考えております。

三つ目としまして、自社で有しておりますバイオ医薬品の製造技術、あるいは製造設備がございます。自社で製造技術、製造設備を保有することによりまして、複数の品目を同時に開発し、より多くの製品を、より低コストで、より早く市場に提供できる、そういう基盤を有していると考えております。

この三つの基盤によりまして、希少疾病領域にフォーカスし続ける製薬企業で居続けることができると考えております。

JCRの成長戦略

Reach Beyond, Together
一緒に、その先へ



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

FY2023_2Q_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@scriptasia.com

SCRIPTS
Asia's Meetings, Globally

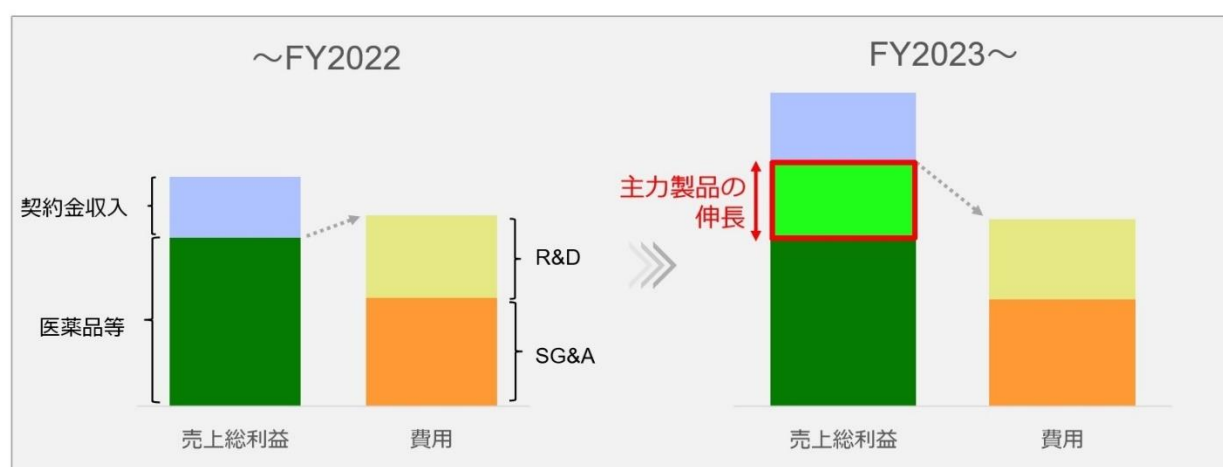
次に、われわれの成長戦略ですけれども、先ほど申しあげましたように、われわれは国内で営業基盤を持っております。グロウジェクト、イズカーゴ、あるいはテムセルといった製品が代表的な製品であります。こういった国内の主力製品の売上から安定した収益を上げることができます。

二つ目としまして、ライソゾーム病領域のポートフォリオがございます。これらのポートフォリオの開発ステージを進め、パートナーリングを進めることで、より大きな収益を将来にわたって確保できると考えております。

三つ目に、基盤技術でございます J-Brain Cargo 技術をわれわれは持ってございまして、これによりまして、より大きな収益が期待できる疾患領域、ここに書かれておりますようなさまざまな疾患領域へパートナーリングを通じて参入し、そこから利益を上げることができると考えております。

より安定した収益構造へ

- 主力製品の売上伸長により、より安定した収益構造を実現へ
- 国内製品からの収益のみで研究開発費、販管費を賄える構造へ



次をお願いします。収益基盤について一つ付け加えさせていただきたいことがございます。われわれは今期から、より安定した収益構造を得ることができたと考えております。これまでは左側にありますように、研究開発費、あるいは販管費といった費用を国内製品の収益からだけでは賄えない構造でございました。逆に言いますと、契約金収入への依存度はそれだけ高かったということがございます。

しかしながら、今期から主力製品の売上が伸長することによりまして、より安定した収益構造、つまり研究開発費、あるいは販管費といったものを国内製品からの収益だけで賄える構造へと転換できると考えております。それによりまして、安定した収益構造を継続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

LSD市場における想定タイムラインと収益



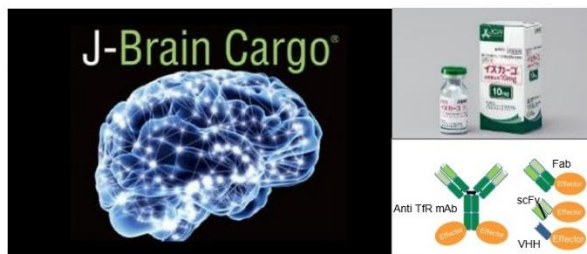
次をお願いします。ライソゾーム病市場におけるわれわれの将来像ということでございますが、左に掲げておりますように、JR-141、171、441、446といった製品群を持っております。そういったポートフォリオを持っております。

ここから考えられるパイプラインの想定タイムラインを考えると、右側にありますように、2030年代の半ばには国内で150億円から200億円、海外からの収入、これはパートナーリングを通じたグローバル化ということを考えておりますので、ロイヤリティ収入とお考えいただいて結構でございますが、そういった収益としまして、500億円から600億円の収益が期待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@scriptsasias.com

J-Brain Cargo®は中枢神経に薬剤を届けることが可能



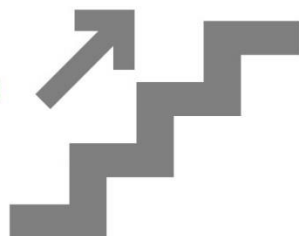
患者数 : 5000万人(WW)
市場 : 約570億ドル

神経変性疾患

- アルツハイマー病
- パーキンソン病
- てんかん
- ALS
- 多発性硬化症
- SMA
- ハンチントン病 など

患者数 : 3万人 (WW)
約100億ドル市場

LSD

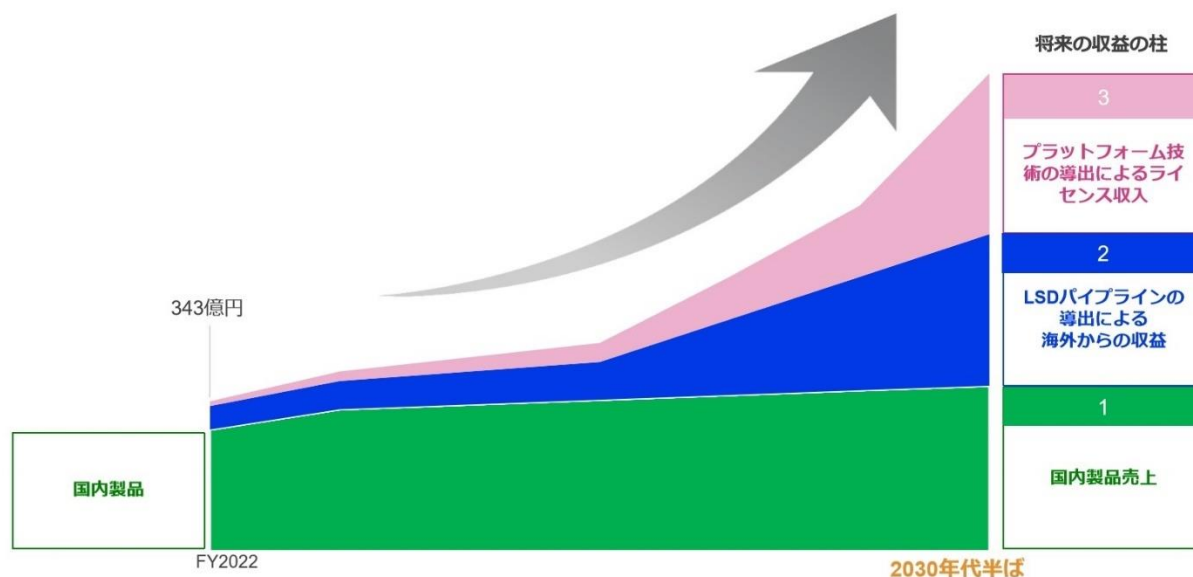


次に、今申し上げましたライソゾーム病のマーケット以外に、J-Brain Cargo 技術、われわれの独自のプラットフォーム技術を導出することによりまして、より大きな CNS (Central Nervous System:中枢神経系) 領域へ進出できると考えております。

左下にありますように、ライソゾーム病の市場だけでも全体では 100 億ドルの市場が世界ではあると考えておりますけれども、神経変性疾患の市場としましては、われわれの考えでは 570 億ドルにのぼる市場があるだろうと考えておりまして、こういった非常に大きな市場へワールドワイドでアプローチできる技術をわれわれは持ってい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@scriptsasia.com



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

FY2023_2Q_8

次をお願いします。これまでご説明しました三つの収益の柱、一つ目が国内製品による売上、二つ目がライソゾーム病パイプラインの導出による海外からの収益、三つ目が J-Brain Cargo 技術、われわれの独自技術であります J-Brain Cargo 技術の導出によるライセンス収入、世界のマーケットからのライセンス収入。この三つの収益の柱を確立することによりまして、2030 年代半ばには売上 1,000 億円の企業を目指していきたくて考えております。

この三つの収益の基盤のうち、二つ目の LSD パイプラインの収益、あるいは三つ目のプラットフォーム技術による収益といったものは、基本的にはパートナーリングによって世界のマーケットから収益を上げたいと考えておりますので、ロイヤリティ収入でございます。ですから、この二つにつきましては、言ってみれば原価のない売上ということになりますので、非常に高収益な会社を目指していけると考えております。

私からの「JCR の目指す姿」についての説明は以上でございます。次に、経理部長の太田から、第 2 四半期の決算につきましてご説明申し上げます。ありがとうございます。

太田：経理部長の太田でございます。私から、2024 年 3 月期第 2 四半期連結業績につきましてご説明申し上げます。

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@scriptasia.com

**主力製品販売の好調、契約金収入の増加が寄与し、
前年同期比で大幅な増収増益**

- ▶▶ 売上高 : 24,272百万円（前年同期比 +55.8%）
- ▶▶ 営業利益 : 6,898百万円（前年同期比 +826.2%）
- ▶▶ 経常利益 : 7,126百万円（前年同期比 +353.9%）
- ▶▶ 親会社株主に帰属する
四半期純利益 : 5,253百万円（前年同期比 +445.6%）

（単位：百万円）



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

FY2023_2Q_10

まず、最初のページ、決算ハイライトでご説明申し上げます。先ほどからの繰り返しになりますが、主力製品、こちらの販売が非常に好調であること、また契約金収入、こちらの増加が寄与いたしまして、売上高といたしましては前年同期比 55.8%増、242 億 7,200 万円と大幅な増収となっております。

また、この増収に伴いまして、各段階利益も大幅な増益となっております。営業利益につきましては 68 億 9,800 万円、経常利益につきましては 71 億 2,600 万円、四半期純利益につきましては 52 億 5,300 万円を達成しております。

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

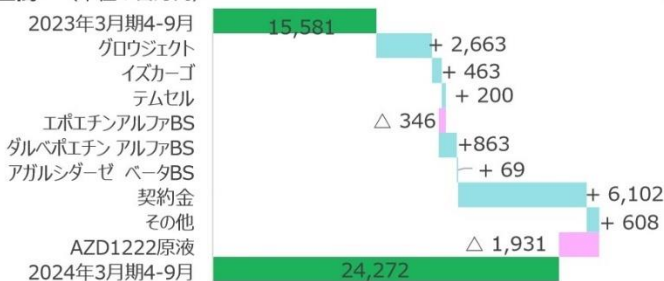
売上高内訳

(単位：百万円)

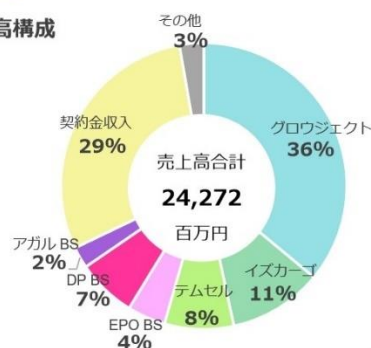
	2023年3月期		2024年3月期			
	2Q実績	2Q実績	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間進捗率
			増減額	増減率		
医薬品等合計	12,583	16,495	+3,913	+31.1%	34,700	47.5%
契約金収入	1,010	7,112	+6,102	+604.2%	8,100	87.8%
その他	56	664	+608	+1085.7%	2,600	25.5%
AZD1222原液	1,931	—	△ 1,931	—	—	—
売上高合計	15,581	24,272	+8,691	+55.8%	45,400	53.5%

- グロウジェクト®をはじめ、イズカーゴ®、テムセル®を含む当社主力製品が好調に推移し、医薬品売上高は前年同期比+31.1%の増収となりました。
- 契約金収入、その他（製造受託分含む）に関しては予定通り進捗し、前年同期比増となりました。

売上高 (単位：百万円)



売上高構成



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

FY2023_2Q_11

次のスライド、売上高の内訳につきましてご説明申し上げます。グロウジェクトをはじめといたしまして、イズカーゴ、テムセルを含む当社主力製品が好調に推移いたしております。これによりまして、医薬品売上高につきましては前年同期比31%増の164億9,500万円となっております。

また、契約金収入につきましては71億1,200万円、その他の収入といたしまして6億6,400万円を計上しております。こちらにつきましては、いずれも予定どおりに進捗しております。

これらによりまして、売上高につきましては242億7,200万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

(単位：百万円)

連結	2023年3月期	2024年3月期				対売上高比率	2023年3月期 2Q	2024年3月期 2Q
	2Q実績	2Q実績	前年同期比		通期予想 (修正後)			
			増減額	増減率				
売上高	15,581	24,272	+8,691	+55.8%	45,400	53.5%		
売上原価	4,836	5,881	+1,044	+21.6%	12,400	47.4%	売上原価率 31.0% 24.2%	
売上総利益	10,744	18,391	+7,646	+71.2%	33,000	55.7%		
販売・一般管理費	5,782	5,957	+174	+3.0%	12,800	46.5%	販売・一般管理費率 37.1% 24.5%	
研究開発費	4,216	5,535	+1,318	+31.3%	9,700	57.1%	研究開発費率 27.1% 22.8%	
営業利益	744	6,898	+6,153	+826.2%	10,500	65.7%	営業利益率 4.8% 28.4%	

営業利益 (単位：百万円)



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

FY2023_2Q_12

次のページ、こちらは営業利益につきましてご説明申し上げます。先ほど申し上げましたとおり、売上高が大きく増収となっておりますので、それに伴いまして売上総利益も 183 億 9,100 万円と、前年同期比で 71.2%の増となっております。

一方、販売・一般管理費は前期比で 3%の増の 59 億 5,700 万円となっております。また、積極的な研究開発活動を行っておりますので、研究開発費につきましては、前年同期比 31%増加しております、こちらが 55 億 3,500 万円計上されております。

これらによりまして、営業利益につきましては、前年同期比 826.2%増、金額にいたしまして 61 億 5,300 万円増の 68 億 9,800 万円を計上いたしております。

以上、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、専務の芦田より、「さらなる成長に向けた取り組み 主力製品販売」についてご説明いたします。

芦田透：皆様、営業本部長の芦田でございます。私より、主力製品の販売につきましてご説明をさせていただきます。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

主力製品の好調が、大幅増益・増収に大きく寄与した。

(単位：百万円)

連結	2023年3月期		2024年3月期				
	通期実績	2Q実績	2Q実績	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間進捗率
				増減額	増減率		
グロウジェクト®	12,261	6,083	8,746	+2,663	+43.8%	19,500	44.9%
イズカーゴ®	4,428	2,118	2,581	+463	+21.9%	5,500	46.9%
テムセル® H S 注	3,404	1,701	1,901	+200	+11.8%	3,300	57.6%
腎性貧血治療薬	4,696	2,157	2,674	+517	+24.0%	5,000	53.5%
エボエチナルファ B S 注「JCR」	2,710	1,392	1,046	△ 346	△ 24.9%	2,200	47.5%
ダルベエチナルファ B S 注「JCR」	1,986	765	1,628	+863	+112.8%	2,800	58.1%
アガルシダーゼ ベータ B S 点滴静注「JCR」	964	521	590	+69	+13.2%	1,400	42.1%
医薬品等合計	25,755	12,583	16,495	+3,913	+31.1%	34,700	47.5%

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

FY2023_2Q_14

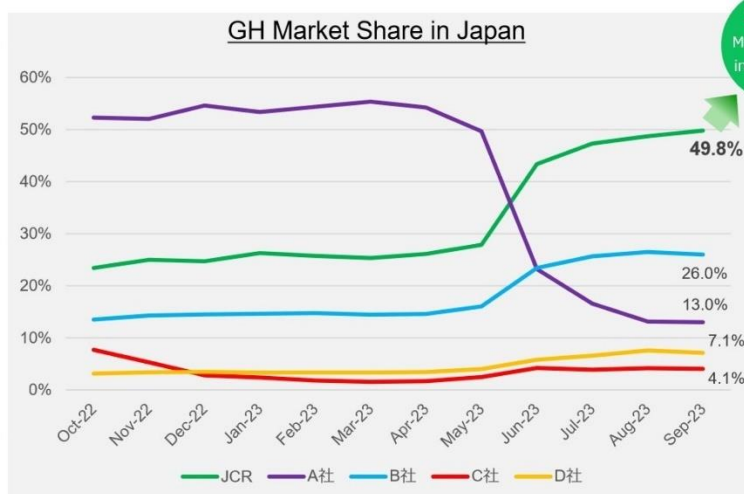
まず、国内主力製品の売上の動向でございます。先ほどご説明のありましたとおり、主力製品の好調な売上が大幅な増益増収に大きく寄与しております。特に上から三つの自社でプロモーションを行っておりますグロウジェクト、イズカーゴ、テムセルにつきまして、特に増収増益に大きく寄与できたものと考えております。

こちらの3製剤につきましては、今年度より各製剤ごとの専任のMR体制をとっており、専門性を高め、集中的にプロモーションが行われ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@scriptasia.com

2023年5月以降、グロウジェクト®の需要が急激に増加。
唯一のGH国産メーカーとして、急速増産対応。GHが必要な患者の皆さんへの安定供給を達成。



>50%
Market share
in the future

FY2023上半期グロウジェクト®実績*

- 出荷本数 前年同期比 約1.6倍
- 新患症例数 前年同期比 約1.8倍
- 切替症例数 前年同期比 90倍以上

*JCR社内分析

Copyright © 2023 IQVIA.
JPM(2022年10月~2023年9月)を基に自社分析/無断転載禁止

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

FY2023_2Q_15

次に、まず成長ホルモン市場の動向につきましてご説明をさせていただきます。2023年5月以降、他社の供給問題もございまして、グロウジェクトの需要が急激に増加しております。われわれは唯一のGH（Growth Hormone：成長ホルモン）の国産メーカーとして、製剤また投与デバイスの急ぎ増産の対応をさせていただきました。これによりまして、グロウジェクトが必要な患者の皆さんへ安定供給を達成することができたと考えております。

そのような結果、このグラフにあります、こちらは薬価ベースのシェア、単月のシェアの推移になっておりますが、直近で約5割のマーケットシェアを獲得できているという状況でございます。

また、右のところに上半期のグロウジェクト実績としまして、出荷本数につきましては、前年同期比で約1.6倍、新規の患者さんの症例数につきましては1.8倍、他社製剤からの切り替えの症例数につきましては約90倍以上という大幅な増加を達成することができております。

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

国内GH市場*



出典：Copyright © 2023 IQVIA. JPM 2023年9月MATをもとに作成（*市場定義はJCRファーマ株式会社による） 無断転載禁止

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

FY2023_2Q_16

病院市場特性

- 体重当たり投与量の多い疾患群
(SGA、ターナー、SHOX) の診断機会
- 地域医療に影響力のあるKOLの存在
- 医薬品管理の「一増一減ルール」の原則
による医薬品採用の難しさ

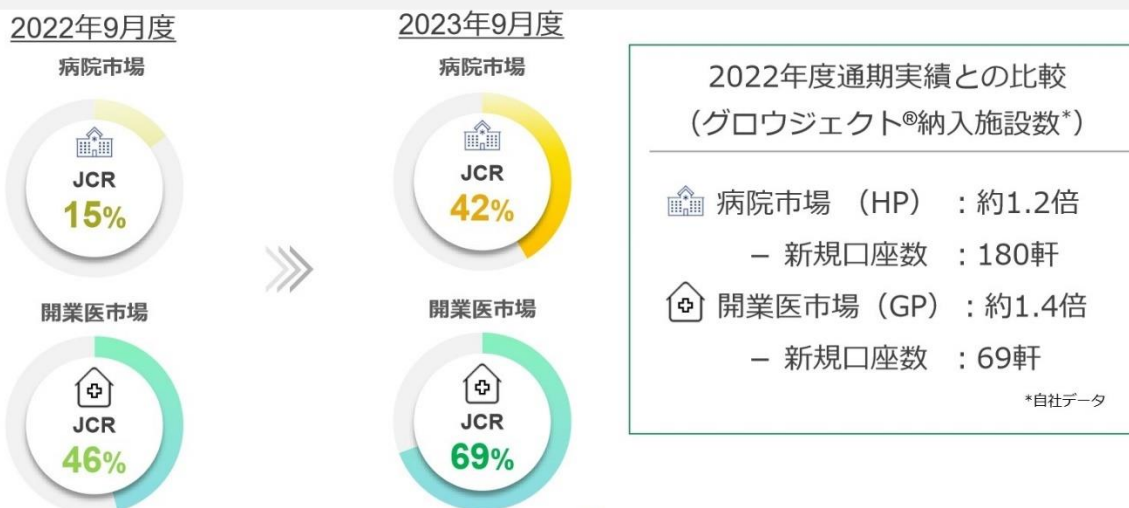
こちらは国内のGH市場の状況というスライドになっております。まず、左側の国内GH市場、こちらは薬価ベースで見たGH市場ですが、約640億円の市場、その中で病院の市場、また病院を含めた薬局市場を含めて約5割以上、6割以上が病院市場が大きなマーケットとなっております。それから、残りが約3割弱が開業医市場という形になっております。

われわれはこれまで、この病院市場への開拓が課題であったんですけども、この病院市場の特性としまして、専門医のKOL (Key Opinion Leader) の非常に多い病院、体重あたりの投与量の多い、こういった専門のSGA、ターナー、SHOXなどの診断機会が比較的病院市場では多いということ。それから地域医療に影響力のあるKOLのドクターが非常に多いというところ。また、採用に当たっては、病院によって一増一減ルールなどによって比較的総体的に医薬品の採用が非常に難しいという特性がございました。

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@scriptsasia.com

長年の課題であった病院市場で大きく伸長



シェア：Copyright © 2023 IQVIA, JPM (2023年9月/2022年9月)をもとに作成 (市場定義はJCRファーマ株式会社による) 無断転載禁止
 Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

FY2023_2Q_17

そのような中で、今上半期においては、グロウジェクトの需要増に当たって、われわれの長年の課題であった病院市場で大きくシェアを伸ばすことができました。

こちらの左側の表が、昨年の9月の市場別のグロウジェクトのシェアになっております。われわれ開業医市場では、もう約半数のシェアをいただいておりますが、今年度9月におきましては、今上半期におきましては、病院市場、開業医市場ともに大幅にシェアを伸ばすことを達成いたしました。

右の表ですけれども、病院市場、具体的には新規でお取引をいただいた、処方いただいた施設、病院の数が約1.2倍、具体的には180件ほど、開業医市場においては約1.4倍、新規の口座数としては69件という、新たな医療機関とのお取引をさせていただけたということになっております。

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@scriptsasias.com

安定供給

- 50%以上のシェア維持に必要な生産数量を確保する体制を構築済み
- GHトップシェアメーカーとして安定供給を継続し、市場からの信頼を高める

デバイス戦略

2つのデバイスで
患者と医療従事者のニーズに応える



GroWjector[®]L

- 注射操作をフルサポート
- お楽しみ機能による治療コンプライアンスの上昇



GroWjector[®]Duo

- 簡易操作モードを実装し、よりスムーズなデバイス切替え
- 処方時の注射指導時間の短縮

新規患者の処方獲得・既存患者の治療継続を実現する

それでは、さらなるシェア拡大に向けてということで、われわれは、まずは安定供給、そしてデバイス戦略、この二つの戦略でさらにシェアを伸ばしていきたいと考えております。

何より、このトップシェアの維持に必要な生産数量を確保する体制を、われわれはもう構築しております。この安定供給をできるトップシェアメーカーとして、市場からの信頼をさらに高めていきたいと思っております。

それから、デバイス戦略でありますけれども、国内のGHメーカーの中で唯一、電動式の注入器という大きな特徴を持ったデバイスをわれわれは持っております。こちらにつきましては、次のスライドでご説明を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

その時々のお患者さんのニーズ/ライフスタイルに合った電動式注入器を提供可能

- 電動式注入器の主な特長：
一定スピードによる薬液注入、投与量の事前設定・自動計算、薬剤交換時の投与量の自動調整、注射履歴の記録など



① 低身長に対する治療
幼児期～学童期を通して思春期まで治療を継続する。患者の年齢が小さい時は主に保護者が注射を行い、年齢が上がるにつれ患者本人が注射を行うようになる。

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

FY2023_2Q_19

こちらは、われわれの電動式注入器、グロウジェクターシリーズの説明スライドになっております。

ご存じのとおり、成長ホルモン治療は在宅で自己注射を行うということになります。われわれは、患者さんや親御さんが注射の針を刺すというような心理的負担をいかに軽減していくかということで、デバイスの開発をこれまでも PHC 株式会社様と一緒にやってきました。

左側が主力のグロウジェクターLでございます。そして、本年9月より新たに、右側のグロウジェクターDuoというデバイスを新たに選択肢に加えさせていただきました。それぞれターゲットとする層としましては、これまでのグロウジェクターLにつきましては、小さいお子様から使っていただく、そしてグロウジェクターDuoにつきましては、これまでの機能をシンプルに、さらに操作もシンプルなものをつくり、どちらかということと小学校の高学年から保護者の方、それから大人の方向けのターゲットということで、二つの選択肢で患者さんの負担軽減、医療従事者、コ・メディカルの皆様の負担軽減を可能にしていると考えております。

この二つのデバイスをいかにこれまでの患者さんだけでなく、新たな患者さんの負担を軽減できるものと考えており、これにより、さらにシェアを下期伸ばし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



2023年4月以降の営業体制

- ▶ 製品別MRの配置
 - ▶ 住友ファーマ株式会社とのコ・プロモーション
- アプローチ力・情報収集力を強化し、
今期の売上を加速する**

国内想定市場 (JCR調べ)

- ▶ 治療対象者：約170人
- ▶ 年間治療費：7,000~8,000万円/人(30kg想定)

- ① 酵素補充療法 (ERT)
酵素を体外から点滴などで補う治療法。生涯続ける。
- ② イズカーゴ[®]用法および用量
1回体重1kgあたり2.0 mgを週1回、点滴静注する。

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

FY2023_2Q_20

次に、こちらがイズカーゴの販売状況になっております。こちらの累積症例数、投与症例数ともに予想どおり、われわれの予算どおりの進捗を順調に推移していると考えております。

先ほど申しましたとおり、本年4月より営業体制を製品別のMR体制に変更いたしまして、また住友ファーマ株式会社様とのコ・プロモーションによりまして、面の面でもかなり拡大をし、情報収集力も強化できており、今期の売上、特にこれから下期も売上を加速させていけ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



対象患者発生率 (JCR調べ)

急性GVHDの発症：造血幹細胞移植患者の約30%

ステロイドによる初期反応なし：急性GVHD発症者の約35%

テムセル®投与対象者

テムセル®を取り巻く状況

- ▶ 全国の対象施設9割以上に納品可能
- ▶ 株式会社メディセオの協力のもと、発注から納品までをさらに迅速化(3日→2日)。診断からの早期投与をより可能とし、より多くの患者さんの生命に貢献。
- ▶ 予防・治療環境の変化：現段階での影響は限定的。
 - 2023年7月24日付：シクロホスファミド水和物「造血幹細胞移植におけるGVHDの抑制」に対し保険適用
 - 2023年8月23日付：ルキシソリチニブリン酸塩「造血幹細胞移植後のGVHD(ステロイド剤の投与で効果不十分な場合)」の適応追加

① 日本における造血細胞移植件数(自家移植を除く)
(一般社団法人日本造血細胞移植データセンター全国調査報告書より)

2019年度：3,753件
2020年度：3,903件
2021年度：3,734件

こちらは、テムセルの販売状況についてご説明させていただきます。テムセルにつきましても、今期、順調に推移しております。

テムセルは、急性GVHDの発症の患者さんのうちの、ステロイドの初期反応のない患者さんのうちの35%ほどがテムセルの投与対象者になると考えておりました、これまで安全性と有効性のバランスの面では、もう確固たるポジショニングができていると考えております。特に消化管症状におけるGVHDにおいては、テムセルがファーストチョイスになっていると考えております。

また、全国の対象の医療機関のうち、もう9割以上に納品が可能な体制を構築しており、本年におきましては株式会社メディセオ様との協力のもと、発注から納品までのリードタイムを1日短縮し、診断から早期投与をより可能とする、より多くの患者さんへの貢献ができているということで、KOLの先生方からも、このリードタイムの短縮につきましては感謝のお言葉もいただいております。

また本年、急性GVHDの臨床現場におきましては、予防や治療環境の変化というものがございますが、現段階でのテムセルに対する影響は限定的と考えております。

以上、私より、主力製品の販売状況につきましてご説明を申し上げます。

司会：続きまして、シュミットより、「さらなる成長に向けた取り組み 開発」についてご説明いたします。

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

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（ハンター症候群）	Global Ph3				・ ~2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定
JR-171	ムコ多糖症I型（ハーラー症候群 等）	Global Ph1/2 完了				・ 2024年度 Ph3試験
JR-441	ムコ多糖症IIIA型（サンフィリップ症候群A型）	★ Global Ph1/2				★ 2024年上半期 LPI
JR-446	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリップ症候群B型）					・ 2024年度 Ph1/2試験
JR-479	GM2ガングリオシドーシス（サンドホフ病、テイ・サックス病）					・ ~2025年度 Ph1試験
JR-471	フコシドーシス					検討中
JR-162	ボンベ病					検討中
JR-443	ムコ多糖症VII型（スライ症候群）					検討中
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症	国内 Ph2 解析完了				★ Ph3試験開始を2024年度に設定（治験薬製造スケジュールの調整のため）
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症	国内 Ph1/2 解析完了				★ Ph3試験実施について再検討（Ph1/2の結果によるもの）

シュミット*：ありがとうございます。では、次のスライドですが、R&Dのパイプラインの概要となります。

こちらは臨床開発に入っているもの、または臨床開発に今後参入するものとなります。もちろん、最も重要なプログラムはJR-141、これはグローバル Phase III試験が武田薬品とともに進んでおります。

また二つ目、JR-171であります。直近で52週のデータをグローバル Phase I/IIの試験に関して公表しました。非常に背中を押されるような良い結果が出ております。

J-Brain Cargo 技術がMPS II型のみならず、MPS I型でも効くということが分かりました。非常に良い結果が出ております。

また、非常に誇りを持って申し上げられるのが、JR-441のPhase I/IIの試験がドイツで開始いたしました。実は先月投与を開始しております。また、後ほどのスライドでMPS III型に関してもお話をしていきたいと思っております。また、MPS IIIB、JR-446のパートナー関係に関しても、メディパル社でありますけれども、こちらに関しても後ほど具体的にお話をしたいと思います。

そして、この中で触れるべきなのが、JR-142のPhase IIの解析完了ということです。こちらは成長ホルモン不全症というところですが、こちらにも加速をしていける材料になります。また、適応症の拡大の試験をJR-031で実施しております。こちらは新生児低酸素性虚血性脳症を適応としておりますが、こちらに関しても、具体的に後ほどのスライドで述べ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

推定市場規模100億ドルを超えるLSD分野で
JCRは業界をリードする17以上のパイプラインを有している

承認	JR-141 日本 MPS II (ハンター症候群)			
臨床試験	JR-141 グローバル MPS II (ハンター症候群)	JR-171 グローバル MPS I (ハーラー症候群等)	JR-441 グローバル MPS IIIA (サンフィリッポ症候群A型)	
治験届提出前	JR-162 ポンペ病		JR-446 MPS IIIB (サンフィリッポ症候群B型)	JR-479 GM2ガングリオシドーシス
製法検討	JR-443 MPS VII (スライ症候群)		JR-471 フコシドーシス クラッペ病	JR-194 バッテン病 乳児型 (CLN1)
動物モデルの薬効確認	ニーマンピック病 ゴーシェ病	バッテン病 遅発乳児型 (CLN2) α-マンノシドーシス	GM1ガングリオシドーシス	異染性白質シストロフィー
基礎研究			ガラクトシアリドーシス	
	標準治療あり		標準治療なし	

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

FY2023_2Q_24

前に示したのは、全部ポートフォリオを示したというわけではありません。こちらを見ていただきたいと思います。こちらがLSD (Lysosomal Storage Disease: ライソゾーム病) パイプラインの全体像を示しています。これはJ-Brain Cargoを適用したものであるということになります。

このテクノロジーによって、まさに業界をリードするようなLSDにおけますポートフォリオが可能になるということになります。そして、10ビリオンドルもの市場に私たちは参入していているということが分かるわけです。

そして、今、スタンダードケアがあるものとそうでないものがあるということでもあります。そして私たちは、まさにゲームチェンジングなイノベーションを起こすことができると考えています。LSDの病気に関しまして、これはデリバリーの面で本当に改善をすることができます。筋肉であるとか、あるいは脊髄などもそうですけれども、臓器の中で、この通過型ということが、この技術として多くの可能性をもたらすということでもあります。

また、LSDの中でも全くスタンダードケアがないものがあるわけです。まさにここにこそゲームチェンジングが起こるということになると思います。

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@scriptsasias.com



MPS III型の治療

- 承認されている標準治療法はない。
- 中枢神経症状は、BBB通過型の治療法のみで対処が可能。
- 組み換え酵素の製造が特に難しい。

MPS III A,B型の患者数予測

	日本	世界
MPS IIIA	10人未満	1,000~2,000人
MPS IIIB	約20人	500~1,000人

MPS III A,B型の市場 (JCR調べ)

疾患	年間収益予測
MPS IIIA	約600億円
MPS IIIB	約250億円

- 治療法がないため、未診断の潜在患者がいる可能性。
- 新薬が待ち望まれており、開発を行いやすい状況がそろっている。
- FDAよりMPS III型治療薬の開発効率促進のためのガイダンス発出 (2020年2月)

次のスライドをお願いします。ここで少し詳細にお話をしたいと思います。MPS III型であります。今開発中です。MPSは症状により7あるいは11に分類できます。その中でMPS III型であるSanfilippo syndromeは最も多くの分類を含みます。タイプAとタイプBは発症頻度が高いものの、タイプCとタイプDは発症頻度がかなり低いものになります。

MPS III型、Sanfilippo syndromeを分けるのはCNSが関与した疾患であるかないかということです。ここで成功するためには、開発者としてこのBBB (Blood Brain Barrier: 血液脳関門)を通過することができるセラピーを持ち出すということ、そして薬剤をつくっていく中で、こういった技術を駆使した薬剤を持っていかねばならないということになります。

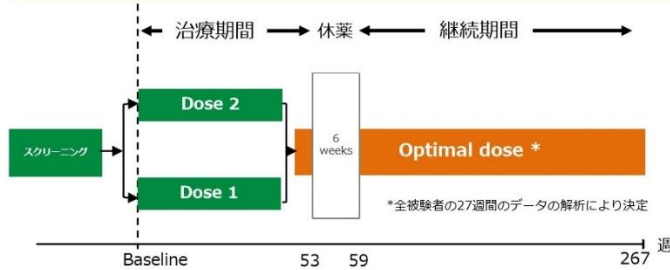
その中で、J-Brain Cargoを持っている、この技術を持った私たちこそ、この二つのハードルを乗り越えることができる企業ということになります。MPSの分野で専門家となるには、この技術が必要ということになります。

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

2023年7月～：グローバル臨床第I/II相試験（JR-441-101試験）を開始

JR-441-101試験 概要



概要	
評価項目	安全性、至適投与量、探索的有効性
組み入れ被験者	12例（病態、年齢1歳以上18歳以下）
Clinical Trials.gov Identifier	NCT06095388

これまでの実績と今後のマイルストーン

- 2022年1月
欧州委員会よりオーファンドラッグ指定
- 2023年7月
ドイツ連邦共和国における試験開始承認
- 2023年10月
第1例目となる被験者への投与開始
- 2024年度上半期
組み入れ最終被験者への投与開始
- 2025年度下半期
データ（1年）の解析完了

市場予想（JCR調べ）

- 患者数
日本：10人未満
世界：1,000～2,000人
- 想定市場
600億円以上

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

FY2023_2Q_26

次のスライドをお願いいたします。こちらで示しておりますのが全体像です。グローバルの第I/II相試験、これは最初の患者さんに投与を今年始めました。臨床試験のデザインですが、フィールドのエキスパートの先生方とともにデザインをいたしましたし、また親御さん、すなわち SanfilippoのA型の症状を持っている患者さんの親御さんとも連携して決定しました。安全性、それからベストドーズ、至適投与量もそうですけれども、そして有効性と同時に、最も意味のある評価項目、すなわち患者さんの最もセンシティブな、例えばドラッグインターフェレンスに関わる評価項目を考慮に入れて、そして一番高いレベルでの成功を得たいと感じました。

先ほど申し上げましたように、最初の患者さんが今年投与開始されまして、そして2024年度の上半期には組み入れ最終被験者への投与開始、そして2025年度下半期には、このデータの解析が完了すると考えています。

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@scriptasia.com

	日本	海外	JR-446 ステータス
契約内容	共同開発・商業化契約	事業化についての実施許諾契約	
ライセンスホルダー	JCR (メディパルHDと共同開発)	メディパルHD (必要に応じ業務委託可能)	<ul style="list-style-type: none"> ➤ 分子デザイン確立済み ➤ 十分な非臨床データを取得済み ➤ 2024年度上半期臨床入り
推定患者数	約20人	500~1,000人	
市場規模	10-20億円	約250億円	

- 日本国内にも治験対象患者が見込まれる
- 診断イニシアチブの少ない本疾患において、疾患啓発・患者発掘が必要

**両社が持つリソース・強みの発揮によって協業の成果を早期に達成することが可能
各国の早期承認・迅速審査の制度・指定を活用し、1日でも早い上市を目指す**

①メディパルHDとのパートナーシップ

2022年10月より超希少疾病用医薬品開発のグローバル事業化の協業を開始。JR-471 (フコシドーシス治療薬) を導出。

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

FY2023_2Q_27

また別のアセットに目を向けたいと思います。まだまだアンメット・メディカル・ニーズが高い分野への候補として JR-446 があります。MPS III B への治療薬です。この III A、III B ですが、この MPS III A の例えばエンドポイント、そして非常にセンシティブな患者さんに対してもそうですけれども、また MPS III B 型につきましても、メディパルの連携を得まして、日本においては共同開発、そしてまた商業化の連携、そして日本以外の海外におきましては実業化、事業化については実施許諾契約を得るということになります。

一つのメリットですが、これは当局が非常に協力的であるという面があります。そして、この承認に関しましても非常に前向きであるということ。そういった意味では、この日本において JCR、そしてメディパルが協力をし、そして日本であれ、また海外であれ、連携を持ってやっていくということが非常に求められます。

そして日本、アメリカ、そしてブラジル、南アメリカ、なるべく早く、それぞれのリソース、強みの発揮によって協業の成果を達成するということが可能になると考えています。

IND に関してもそうです。非常にデータを見る限りここまで大変有望ですし、この化合物を見ても、発現の状況を見ましても、非常に前向きに考えられるモレキュールであったということ。それをもってして 2024 年度の上半期に治験をスタートすることができるということを大変うれしく思っています。

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@scriptasia.com

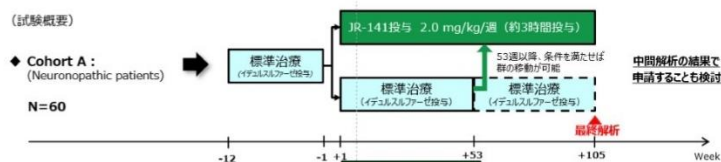
日本でも治験の対象患者が見込まれております。そして、この薬剤が早期のスクリーニング、そしてまた疾患啓発といったことが、この診断イニシアチブの少ない、診断施設の少ない本疾患においては必要ということになります。

JR-141(pabinafusp alfa: BBB通過型MPS II型治療薬)

Reach Beyond, Together
一緒に、その先へ



グローバル臨床第III相試験 (JR-141-GS31試験) : STARLIGHT試験 概要



● 2024年度第1四半期
中間解析に必要な症例数の
登録完了見込み

現在の状況

- 患者リクルート継続中
- 実施施設数 (2023年10月末時点)
 - 米国: 5施設
 - 欧州: 10施設
 - ブラジル: 2施設
 - 米国・欧州・ラテンアメリカ・アジアに施設拡大予定

これまでの実績

- 2018年10月: オーフアンドラッグ指定 (米国)
- 2019年2月: オーフアンドラッグ指定 (欧州)
- 2021年2月: ファストトラック指定 (米国)
- 2021年10月: PRIME指定 (欧州)
- 2022年2月: JR-141-GS31 第1例目被験者への投与開始

概要	
目的	<ul style="list-style-type: none"> ・ 既存ERTと比較し、JR-141が中枢神経系の徴候および症状に対して有効であること ・ 既存ERTと比較し、JR-141が身体的徴候および症状に対して同等の抑制を示すこと
評価項目	<ul style="list-style-type: none"> ・ CSF中HS濃度、中枢神経症状 (認知) ・ 全身症状 (肝脾容積、6分間歩行試験)
Clinical Trails.gov Identifier	NCT04573023

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

FY2023_Q2_28

次のスライドをお願いします。JR-141 についてです。登録も非常にうまく進んでいます。17 の施設、ヨーロッパ、アメリカ、ブラジル等においてであります。そしてさらに施設の登録を拡大していく予定であります。2024 年度の第 1 四半期に中間データの解析が可能な症例数のエンロールの完了 (登録の完了) ができると考えています。

本試験には二つの目的があり、そのためのコーホートを設定しています。まず最初に、JR-141 が中枢神経系の徴候、症状に対して、既存の ERT と比較して有効であるということと同時に、さらに示したいと考えておりますのは、身体的な徴候、そして症状に対して同等の抑制を既存 ERT と比較して示すということになります。

サポート

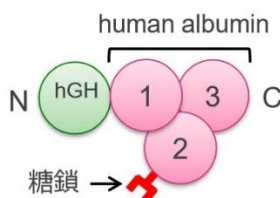
日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



第II相試験にてJR-142の成長促進効果を確認。2024年度の第III相試験開始予定

JR-142分子

改変型アルブミン融合GH



血中滞留性の向上のため、糖鎖を付加した改変型アルブミンとの融合タンパクを自社開発

臨床第II相試験 概要



対象	骨端線閉鎖を伴わない小児成長ホルモン分泌不全性低身長症
評価項目	<ul style="list-style-type: none"> PK/PD 成長促進効果の検討 安全性
試験詳細	jRCT(Identifier : jRCT2031200372)

①成長ホルモン
現在国内では1週間に6~7回投与型のdaily製剤(5社)、1週間に1回投与型の長時間作用型製剤(2社)が使用されている。

ここからはLSDとは離れまして、成長ホルモンに目を向けたいと思います。ここも私たちのストラテジーについて大変重要な、成長ホルモンフランチャイズを拡大していくという意味において大切なものです。

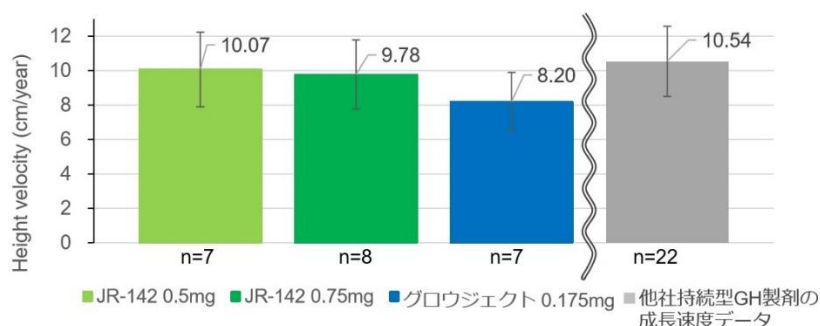
左をご覧ください。分子のデザインがあります。改変型アルブミン融合GHということですが、右ですが、ここには第II相試験の概要が示されています。JR-142の二つのドーズを比べますと、0.75と0.5mg/kg/週ですが、対象は小児成長ホルモン分泌不全症の子どもたちで、評価項目はPK/PD、成長促進効果、そして安全性となっています。

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

- 成長速度：JR-142と連日投与GH（グロウジェクト®）に群間差なし
- 有害事象：JR-142の2群で傾向に差はなし

Ph2試験結果：GH治療後の成長速度



参考：GH投与後の成長率一覧(社内データ、公表資料等より自社作成)

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

FY2023_2Q_30

今後の予定

- 2024年度下半期 Ph3試験の開始
- 2027年度 製造販売承認申請

長時間作用型GH製剤の国内市場

- 持続型GHシェア約18% (2023年9月単月：JCR調べ)

次のスライドをお願いします。アウトカムは非常に満足ができました。というのは、成長速度を見たときに、この比較をしたものがあります。グロウジェクトとJR-142の比較です。また、安全性プロファイル、有害事象に関しても、両方の群で同等でありました。そして、成長速度のデータ、他社のものも入れておりますが、この成長速度がJR-142持続型が他社の化合物の活性と同等であるということが分かります。

Phase III 試験は2024年度下半期に開始できると考えております。そして承認は2027年度に得られると予測しております。そしてまた国内市場におけるシェアは20%をわずかに下回りますけれども、持続型GHのシェアを得られ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

➤ JR-031HIE:テムセル適応拡大 新生児低酸素性虚血性脳症（HIE）

(詳細：[jRCT1080224818](#))

- 国内Ph I/II並びに18カ月間の観察試験の結果を踏まえ、今後の開発計画について検討中
 - 低体温療法単独群（7名）とテムセル+低体温療法群（6名）の比較試験
 - 両群とも65%以上の被験者で、投与18カ月後に治療が有効であることを確認した。ただし、群間差は認められなかった。
 - 安全性に関する問題は認められなかった。

➤ 医師主導治験への協力

- 「神経型ゴーシェ病患者を対象としたアンプロキソール塩酸塩（JT408T）を用いたシャペロン療法の有効性及び安全性を評価する第II/III相オープン試験」に対し、治験薬を提供

次のスライド、現在進行中の活動二つに関しても触れたいと思います。JCRで、こちらに関しても医薬品アクセスに関して拡大をしています。

一つ目がテムセル、こちらは新生児低酸素性虚血性脳症になります。こちらは、非常にアンメット・メディカル・ニーズが高い適応症になります。臨床試験が終了しております。そして、65%以上の反応率ということがその両群で得られています。安全性に関する問題もテムセルの治療で認められませんでした。

もう一つの活動としましては、JCRが医師主導治験に対して協力しております。Phase II/IIIオープン試験ということですが、アンプロキソール塩酸塩、これは他国で承認をされています。ありますが、シャペロン療法を対象としている患者は神経型ゴーシェ病になりますけれども、こちらは有効性、安全性を評価する試験現在解析中です。

以上が私の発表になります。ありがとうございました。

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@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。ご質問の順番が来ましたら、私より指名させていただきます。ミュートを解除の上、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。なお、ご質問は一问一答形式にて、お一人につき1回2問までとさせていただきますが、何回挙手いただいても構いません。

それでは、質疑応答を開始いたします。初めに、山口様、お願いいたします。

山口 [Q]：シティグループの山口です。よろしくお願いします。

一つ目は、グロースホルモンのところでご説明いただいたんですけども、まず、足元シェアは確かに上がっているのですが、そこは大変結構だと思うんですけど。一方で、市場そのものがかなりへこんでいるという部分があると思います。それに対して、御社としてはどう見ておられるのかということと、その市場が戻ってきた場合、すなわち御社のシェアがさらに上がるような局面においても、供給ができるような在庫があるのかどうか。

シェアというよりも実態のマーケットがへこんでいるという現象をどう見ておられるのかということと、御社の供給能力について、最初にお願いします。

芦田信 [M]：ありがとうございます。これについては、芦田専務、お願いします。

芦田透 [A]：私よりお答えさせていただきます。ご質問ありがとうございます。シェア、全体市場の動向につきましては、一つは、他社製剤との薬価差によって、薬価ベースの全体市場が縮小しているのは一因ではないかと考えております。

あと一部、患者さんの家庭内在庫であったり、院内在庫があるというところが要因ではないかと、この2点が要因ではないかとわれわれは考えております。

供給の能力のところにつきましては、全面的に供給が製剤各社とも再開している中で、われわれのほうでシェアを伸ばして今後行ったとしても、われわれは安定供給できる体制は整えているとお答えさせていただきます。

山口 [Q]：ありがとうございます。簡単で結構ですが、グロウジェクターDuoの評判はいかがでしょうか。

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@scriptsasias.com



芦田透 [A]：ありがとうございます。先ほど説明しましたとおり、何も縛りではないんですけれども、われわれの考え方、コンセプトとしては、これまで幼児期から成長ホルモン治療をしてきた患者さんでも、高学年になって、ああいったアプリであったり、お楽しみ機能が逆にちょっと可愛過ぎるとか、子どもっぽ過ぎるというような高学年の患者さんに、よりシンプルでスタイリッシュなものというコンセプトだったんですけれども。

われわれが今、私も含めて現場で同行している限り、われわれがターゲットとする患者さん、医療従事者の方だけではなく、全般的に非常にいい評判をいただいております。先日も新たにグロウジェクトを使っていただいた患者さんが、グロウジェクトにしたら、自分で注射ができるようになったというふうなうれしいお話も現場でいただいております。ありがとうございます。

山口 [Q]：ありがとうございます。二つ目で、ライセンスのところについては、内容とかタイミングについてはコメントいただかないという前提で話は進んでいるので、それはよいのですけれど、Q2までの実績で、結構進捗が良くて、その中心がメディカルからのライセンスフィーということになっていると思います。

外から見ていると、JR-171 がそろそろ出るんじゃないかなとか思っていたし、データの追加等々もあるんですけれど。本剤については、今期は導出は見込んでいない、または来期以降、導出活動はどうなっているのか。なかなか話しにくいところだと思いますが、できれば guess で構いませんので教えていただけますでしょうか。

芦田信 [M]：ありがとうございます。伊藤からお話をさせていただきます。

伊藤 [A]：ご質問ありがとうございます。JR-171 につきましては、これは鋭意導出に向けて、いろんな会社との話し合いを進めております。できるだけ早く、いいニュースをもたらすことができるようにしたいと思っております。

JR-171 の導出については現在そういった活動を続けていくということでございまして、その報告をさせていただきます。ありがとうございます。

山口 [M]：分かりました。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、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。

導出というか、契約金の件ですけれど。予算上は、あと 10 億円達成すれば達成ですが、あと 10 億円だとすると、それほど大きな話じゃなかったり、既存のアップデート、プログレス程度で終わ

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



っちゃうような、残り半年間がそれだけだとしたら、すみません、私の勝手な言葉ですけど、つまらないなと感じてしまうんですが。

現状の予算に入っている以上に、いくつか前倒しで、もしくは大きなものがこれから半年以内に進む可能性というのはどの程度期待してよろしいでしょうか。

芦田信 [M]：ありがとうございます。これについては伊藤から、よろしく申し上げます。

伊藤 [A]：ご質問ありがとうございます。予算上は10億円ということですが、これは前回の説明会のときにもお話ししたかと思いますが、今回、契約金の収入については、保守的にといえますか、固めに見積もっております。そういう意味で、あと10億円ですが、これについては予算達成に向けて粛々と進めていきたいと考えております。

また、それ以外のものについて、より大きなものの導出につきましては、これも先ほどのご質問とも関連いたしますけれども、交渉を進めておりまして、それによりまして、より上積みできればいいなどは考えておりますが、これもまたご報告できるときになりましたらご報告させていただきますので、よろしくお願いたします。

村岡 [Q]：ありがとうございます。上積みも十分に、これから半年の間にあるという理解でよろしいんですね。

伊藤 [A]：十分にと申し上げていかどうかは分かりませんが、それに向けて頑張っているというところがございます。上積みについて、早く報告できるように進めていきたいと思っております。

村岡 [Q]：ありがとうございます。もう1問、競合環境、ライソゾームディーズで。先日、協和キリンさんが ex vivo の遺伝子治療の Orchard さんを買収されたと思うんですが、結構狙っているフィールドが似ていて、彼らもムコ多糖症のところでは Phase I / II の段階で、近いうち Pivotal が始まるとか、データリードアウトがあるとかという話ですけど。

こういうところでも競合がいたかという発見が自分なりにもあったんですが、こういうタイプの、ex vivo のタイプの遺伝子治療と、御社の Enzyme Replacement Therapy との位置付け、競争関係、商業的ポテンシャル、どういうふうに整理すればいいか教えてください。

芦田信 [M]：ありがとうございます。Orchard との比較等について、園田からお答えします。

園田 [A]：ご質問ありがとうございます。Orchard の件、われわれもキリンさんが買収する前からウォッチしておりましたし、よく内容を存じ上げております。Orchard は、ご存じのとおり ex vivo の遺伝子治療で、あれば自家の遺伝子治療です。患者さんから細胞を取ってきて、それを加工

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



して患者さんに戻すという治療で、非常にそのモノづくりのところが煩雑で、大変な遺伝子治療になります。なので、患者さんたくさん処理したくても、なかなかそれが簡単にできるような治療法ではないと考えておりますし、実際、そこまでいっぺんに広がっていない、承認されているものも広がっていないというのも、それを表しているのかなと思っています。

専門の先生方とお話ししていると、ある一つの治療法が全てをカバーすると考えている先生はごく少数だと思います。多くの先生がいろんな選択肢を求められていますし、患者さんの状況に応じて酵素を使ったり、遺伝子治療、それには Orchard ももちろん含まれるかもしれませんが、そういったいろんな選択肢があったほうがいいと。

よくある話ですけれども、やはり一番使いやすいのは酵素補充療法だという話をよく聞きます。これは ready to go ですぐ投与ができますし、安全性が非常に高い、そしてこれまでいろんな疾患で、もう安全性と有効性が証明されているというところがありますので、酵素補充療法が恐らくファーストチョイスになって、その後、患者さんの状態に応じて遺伝子治療が選ばれるだろうと考えていますので。確かに競合他社であることは変わりありませんが、われわれが今目指している酵素補充療法で、そして CNS を含めた全身に届く酵素補充療法、ここを中心的にやっていくことに、われわれの方針に変わりはありません。

村岡 [Q]：ありがとうございます。御社も遺伝子治療というのはスコープの中に入っている話だと理解しているんですが、Orchard というのは買収する側として関心を持ったことってありますでしょうか。

芦田信 [A]：Orchard については、今まで買収をしようということは考えたことはありません。今、菌田が申しましたように、非常に処理が煩雑で、そして全員に、ユニバーサルに物をつくるということができないということから、この会社の買収は考えたことは今まで全くありません。

村岡 [M]：ありがとうございます。大変参考になりました。

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、酒井様、お願いいたします。

酒井 [Q]：すいません。UBS の酒井です。極めて幼稚な質問になっちゃうかもしれないですけど、8 ページのスライドで、2030 年代 1,000 億円企業と、中期ビジョンのときに KPI はないよといろいろ言われて、お考えになったこともあるんじゃないかと思いますが、取りあえず 1,000 億円までという数字を示されたんですが。

この三つのプラットフォームというんですか、国内売上と、それからライソゾームパイプラインの導出、プラットフォーム技術、これは J-Brain Cargo とおっしゃっていると思うんですけど。これ

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



がこんなにきれいに三つに、バランスよく伸びていくという想定なのでしょうか。それとも、これはあくまでも 1,000 億円が今回のインディケーティブというか、数字としてあって、その中をざっくり分けている程度だよということなのかどうか。その点と。

それから、それに合わせて、この 3 のプラットフォーム技術、導出によるライセンス収入ということですが。J-Brain Cargo のことであれば、これは結局導出する場合は、相手がこの J-Brain Cargo に載せられる化合物なり、何らかのプロジェクトを持っていないと、技術だけ導出しても宝の持ち腐れということになると思うんですけども。そういう意味では、導出するために御社は積極的に何かパートナーを探しに行く、ただ単に待っているだけではなくて、していると思うんですけども。

既にそういう意味で数社の候補なり、候補となる会社、プロジェクトというものが視野に入っているかどうか。アンジェリーニでしたか、が出したと思うんですけど、アレクシオンか、両方か、そのような話がこれから出てくるかどうか。まずこの点を教えてください。

芦田信 [M]：この点について、まず伊藤からお願いします。

伊藤 [A]：ご質問ありがとうございます。まず、8 ページ目の、この絵が三つきれいに分かれているけどというお話ですけども。酒井さんがおっしゃいましたように、まず、この 1,000 億円ということをお示ししたということがございます。

この中どうなるかにつきましては、ざっくりと言えばざっくりという面もございますが、考え方としましては、国内製品は開発テーブルに行けるのではないかと。LSD については、その前のページでタイムライン等もお示ししておりますけども、早めに収益化できるんじゃないかと。それよりも少し遅れる形で、3 番目のところが伸びてくるんじゃないか、こちらのほうが時間がかかると思っていますので、そのように考えております。

次のご質問の、プラットフォーム技術の導出によるライセンス収入ということですが、これにつきましては、先ほどお話もありましたように、既にアンジェリーニさん、あるいはアレクシオンさんとの技術導出の契約を結んでおります。そういった形でこれからも進めていきたいと思っております。導出活動はわれわれは進めております。

実際、現在もいくつかの会社さんとの協議を進めているところでございまして、こちらにつきましても実際に契約に至りましたらまたご発表させていただいて、お示ししたいと考えております。ありがとうございます。

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



酒井 [Q]：確認ですが、この部分というのは、あくまでも契約一時金なり、マイルストーンを見込んでおられるという、ロイヤリティとかそういったものについては違うところで計上するという、そういうお話でしょうか。

伊藤 [A]：いや、この考え方としましては、経常的に計上できる収益と考えておりますので、一時金というよりもロイヤリティ収入でこういった1,000億円をつくっていきたいと考えています。一時金につきましては、それが発生する場合には、その時々の上上によりますけれども、経常的なものにオンされる形で計上されると考えています。

酒井 [Q]：分かりました。そうすると、J-Brain Cargoによって何らかのものが製品化されていると、2030年までにはということですね。

伊藤 [A]：2030年代半ばということと考えておりますけれども、製品化されて、そこからのロイヤリティ収入を期待したいということでもあります。

酒井 [Q]：分かりました。それから、すいません、成長ホルモン市場のことですけれども。ノボの状況が私たちはよく見えない、少なくとも私はよく見えていないんですけれども。5mg製剤を再開したという話ですが、もともとあまり売れていなかったような話もありますし。特定の成人の市場だけだったというような見方もあるようですが。

ノボがいまだ全快していない中で、仮に戻ってきたときには、やはりまた御社からノボにスイッチする、リリーからもそうですかね、スイッチするという動きは多分ないだろうと。いったん切り替えたら、しかもそこで安定していたら、ずっとそこで治療を継続していくという、そういうマーケットだと理解しているんですが。

それによって、ですから御社の売上が継続的に右肩上がりが増えていくであろうと、シェアの獲得を含めてという前提で私たちは考えてよろしいんですかね。

芦田信 [M]：ありがとうございます。芦田専務、お願いします。

芦田透 [A]：ご質問ありがとうございます。まず、1点目のノボさんの供給の再開の状況につきましては、他社さんのお話でもありますので、いずれノボさんの情報を精査いただければとお答えさせていただきます。

一部もうプレスをされている医療従事者向けに公開されています情報によりますと、再開されている製剤もあると聞いておりますが、再開後ですけれども、ノボ社に限らず、他社製剤からグロウジェクト、本日のプレゼンテーションの資料にもございました、新たに今回、病院などは採用製剤がもういっぱい、なかなか新規製剤としてグロウジェクトを採用するきっかけがなかったといった

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



病院におきましても、今回、非常に混乱した中で逆にグロウジェクトで助けてもらったと言っていた
ただ病院、開業医の先生方が多いんですけれども。

そういったところで、新たにこの電動式のデバイスを初めてグロウジェクトで使っていただいた患者さん、また先生方、コ・メディカルの皆さんにつきましても、唯一の電動ですので、注射をする前にこのデバイスの各社説明というものが医療機関で、ドクターまたはコ・メディカルの皆様がこの注射の仕方を、電動式に限らずですけれども、説明を患者さんにする必要がございます。

この説明において、非常に思っていたよりも電動の説明も簡単で、特に Duo なんかはそう
し、患者さん自身も初めて電動式を使って、特にお子さんなんかアプリなどで非常に毎日の注射の負担、心理的負担が先ほど申しましたとおり、こんなデバイスがあったんだというような、新たに
使っていただいた患者さんから非常に好評を得ているということで。そこから医療従事者もそういったドクター、医療従事者の皆様も、そういった患者さんの声を初めて新たに聞いていただいているという中で。

今後、新たに診断される新規の患者さんにつきましても、これから下期、グロウジェクトが大きな
選択肢の一つとして、新たな市場で、シェアというか患者さんを伸ばしていけるとわれわれは考えております。

酒井 [M]：分かりました。どうもありがとうございます。取りあえず以上です。

芦田透 [M]：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、松原様、お願いいたします。

松原 [Q]：野村證券の松原と申します。ご説明いただきありがとうございます。

私もまず1点目はグロウジェクトについて教えてください。先ほどのお話で、新しい、ノボノル
ディスクが再開するとどうなるのかは答えできないってことだったので。御社のデバイス、まず
グロウジェクターLを自動投与のものを導入したときにシェアはどれぐらい変わっていったのかと
いうところと、Duoを用いることによって、これもシェアはどれぐらい獲得できるか、そういった
目線感をお願いできますでしょうか。

芦田信 [M]：ありがとうございます。芦田専務、お願いします。

芦田透 [M]：ご質問ありがとうございます。申し訳ございません、1点目のグロウジェクターLは
初代のグロウジェクターということですね。初めて電動式デバイスを市場に投入したときというこ
とですね。

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



松原 [M]：そうです。

芦田透 [A]：そのときの目標シェアというものは、今データを持ち合わせておりませんのでご回答を控えさせていただきたいと思います。申し訳ございません。

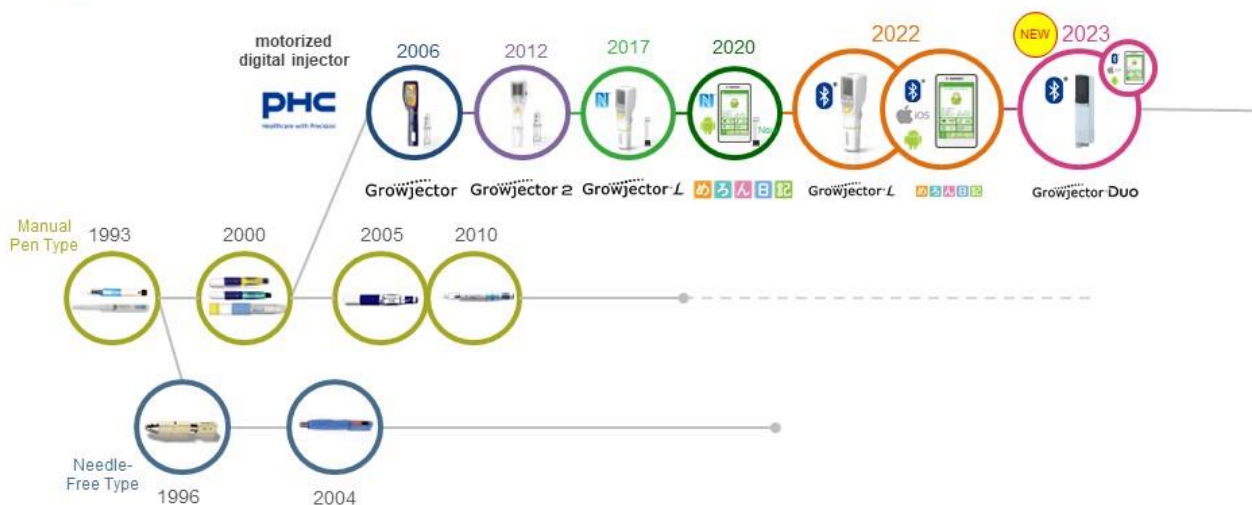
グロウジェクト®投与デバイスの歴史

Reach Beyond, Together
一緒に、その先へ



処方へのキーファクターとなるデバイスを、他社に類を見ないペースで改良。

- 唯一の国産メーカーとして、国内医療従事者／患者のニーズに応えるデバイス開発を継続。
- 国内唯一の電動式注入器を販売。



グロウジェクターLにつきましては、今回、先ほどのスライドのとおり、こちらはそうですね、今新たなスライドが出ておりますが、上がグロウジェクター、2006年に初代から始まりまして、2代目、3代目、それからアプリの追加、Bluetooth、iOS機能を付加してまいりました。現在、2023年、本年9月に新たに、さらに Duo ということでございます。

コンセプトとしましては、先ほどご説明させていただいたとおりですけれども、今年の供給の問題は、もちろんわれわれは想定しておりませんでしたので、このグロウジェクターDuoで、まずわれわれは病院市場、昨年まで非常に長年の課題であった、特に病院市場におきましては、このデバイスの説明時間というものが若干ハードルでもあったという部分をよりシンプルな機能にして、その部分につきましても新たな病院市場の開拓、また高学年のお子様へのターゲティングということで開発をしております。そのような形で、病院市場のシェアを Duo をもって伸ばしていこうというような戦略で開発をしたものであります。

お答えになっていないかも分かりませんが、そんな形で具体的な数字につきましては回答を差し控えさせていただきたいと思います。

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@scriptsasias.com



松原 [Q]：分かりました。ありがとうございます。2点目が、31 ページ目の HIE のところ見てい
るんですけども。標準療法と、あとテムセルの併用療法を見たときに、群間差はなかったというこ
とで。今後の開発の目線感、つまり治験を今後中止、開発を中止するのかというところを今見てい
らっしゃるのかというのと。そういったディシジョンはいつ決まるのか。これは来期見ておけばい
いのかというところをお願いできますでしょうか。

芦田信 [M]：ありがとうございます。藺田から状況を説明させていただきます。

藺田 [A]：ご質問ありがとうございます。テムセルの適応拡大、HIE についてのご質問ですけれど
も。今、コメントいただいたとおり、今回の結果をもって、さあ今後どうしようかというのを今考
えているところでございます。これがいつ、どんなタイミングで、どんなことをするのかというの
は、まだ決定しておりません。

今それを一緒にやっていただいた先生方を含めて相談をしているところですので、決まりました
ら、皆様にもお伝えできるタイミングでお知らせをしてみたいと思います。以上です。

松原 [M]：分かりました。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、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。今回の資料、目いっぱいいろん
な数値も出していただきまして、まずはありがとうございます。

私から、週1回投与の成長ホルモン製剤の件と、あとは CNS 領域の展開で、それぞれ1点ずつお
聞きしたいと思っています。

まず1点目が、週1回投与製剤のところですが、今回結果も出していただいてというところで、今
回、有効性のデータのみだと思うんですが、別に定性的でもいいので、他社との差別化点という
か、安全性的にもどうかという観点は、何かしらお話しいただくことはできたりしませんか。

芦田信 [M]：ありがとうございます。藺田からお答えいたします。

藺田 [A]：ご質問ありがとうございます。今回示させていただきましたこのデータ、これは実際の
有効性というか、伸び率を示しておりますが。ご質問は、安全性も含めてどうだと。他社さんと比
較してどうだというご質問かと思えます。

これに関しては、われわれは Phase I / II の試験結果を既に論文で公表しておりまして、その中に
いくつか安全性についてですとか、ディスカッションという形で、われわれの考えていることとい
う形で公表しております。

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



その中で、GH を打つと IGF-1 というものが出て、それが作用して身長を伸ばすということがあるんですが、IGF-1 がずっと出続けるというのもあまり良くないわけです。ずっと成長因子が出て、刺激を与え続けるということになりますので。なので、マイルドに IGF-1 を出して、刺激が起こるとというのが週 1 製剤で好ましいとわれわれは考えていて。

その観点では、他社さんの製剤はわれわれ自身が、head-to-head でやったわけではないので、ここは本当に文献値ですとか、情報からの比較ということになりますが、われわれが今持っているデータでは、そういった安全性のプロファイルにおいてもわれわれのものは非常に優れているだろうと考えております。

都築 [Q]：よく分かりました。ありがとうございます。あともう 1 点が、CNS 領域への展開の方向性というところを 7 ページで示していただいていると思います。これを今後、CNS 領域というときに、mAb で勝負するのか、Fab なのか、VHH なのか、いろんなところを書かれていますが、今足元の状況で考えると、これはどういう方向性が今足元のモダリティ的にはあり得そうなのかなと、それは全部横一線なのか、一つは頭出ているのか、この辺を議論させてください。

芦田信 [M]：ありがとうございます。これも 藺田からお答えいたします。

藺田 [A]：ご質問ありがとうございます。これは答えにくい質問だというのが正直な感想です。われわれは非常にインターナル、社内のデータというのは非常にいろいろなデータを取っております。この場で申し上げられるのは、合わせるもの、つまり頭に持っていきたい薬剤に応じて何がベストなのかが変わるといことです。なので、何においても Fab がベスト、VHH がベストということではない、そういったことが申し上げます。

ですので、一つ一つ、どれがベストなのか、また Fab でもどの Fab がいいのか。われわれは一つじゃなくていろんなものを持っていますし、その一つをまたチューニングしていくという技術もあるので。チューニングする前だと Fab よりも VHH が良かったけれども、チューニングした後は Fab のほうが良かったみたいなこともあります。

ですので、それは本当にケース・バイ・ケースで、一つずつ最適化していくこのスキームが一番重要だと考えているので。Fab なのか、VHH なのか、どれが一番なのかというようなものではなく、いろんなツールがあって、それプラス、チューニングする能力があって、それらがわれわれのアドバンテージだとお答え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



都築 [Q]：ありがとうございます。ちょっと追加で。そういう意味だと、その中で、VHH も Fab とかそういったところの最適化基準でいうと、同レベルぐらいまで至っていると、そんなイメージでいいですか。

藺田 [A]：はい。そのご理解で大丈夫です。

都築 [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、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 の川村です。まず、JR-141 について教えてください。確かサイトとかを増やして、今、組み入れがどんな状況かとか、Last Patient In の時期とか見通しが立ってきたとか、そもそもこのイベントも時間軸を確認したく、まずこの点を確認させてください。

芦田信 [M]：ありがとうございます。この件については、マティアス・シュミットにお願いします。

シュミット [A]*：計画としては、中間解析ですけれども、Cohort A の 60% のエンロールメントが達成したときにやろうと思っています。2024 年度のファーストハーフで中間データの解析が可能な症例数のエンロールの完了ができると思っています。

Last Patient In のタイミングですが、実はこの情報を競合は流したくないと思いますので、このことに関しては少し開示ができないというところをご理解いただければと思います。

川村 [Q]：分かりました。ありがとうございます。次は、6 ページの想定タイムラインと収益のスライドについてご質問させていただきます。

こちらはご開示いただき、ありがとうございます。今後の開発の考え方ですけれども、下に行けば行くほどグローバルで患者数ってどんどん減っていくと思うんですね。やっぱりグローバルで 1,000 人ぐらいいると、Phase III、ダブルブラインドでやらなきゃいけないのか、それとも Phase I / II でいけるのか、なかなか条件や単純な患者数だけで語れないのは重々承知ですけれども。時間軸を予想、イメージする上で、どう考えればいいのかヒントだけでも教えていただけないでしょうか。以上です。

芦田信 [M]：これについては、藺田さんお願いします。

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]：川村さん、ご質問ありがとうございます。非常にまた難しいご質問をいただいたなというのが正直な感想ですけれども、これも一つ一つ疾患に応じて開発戦略というのは変わっていくと思っています。

それは、先ほど川村さんが言われたとおりで、既に既承認薬があるのかどうかは、既承認薬がなくても、例えばですけど造血幹細胞移植が効くのかどうかですとか、いろんな条件が疾患によって異なりますので、その疾患ごとにどういった臨床試験でどういったデータを出せば承認に至るのか、ここはもちろんわれわれも考えますし、こういった超希少疾患領域に関しては患者会、もしくは当局とのすり合わせ、これは非常に重要だと思っています。

非常に超希少疾患の領域には、一般的な患者会というものがまだ結成されていないようなものもありますし、非常にアクティブにやられているところもあります。ですので、そういったいろいろなことを鑑みながら、一つ一つ戦略を今から立てていくというのが実際のところですし。実際にここに書いてある品目、コードが付いているものに関しては、そういったところで、こういうふうに出験をしていけばこうなるんじゃないだろうかという、われわれの中にストラテジーライクなものは既にありますが、今のところそれを公表する段階ではないということでお答えさせていただきたいと思います。

川村 [Q]：ありがとうございます。今のところで、例えば出験が始まる頃には、ここの知見をもって承認申請を狙うとか、そういう開示とか方向性って、ストラテジーご開示いただけると思っておいてよろしいでしょうか。

藺田 [A]：われわれの考えとしては、ある程度お話しできると思います。ただ、医薬品ですので、どうしてもそれを承認する承認しないというところは当局側にありますので、われわれとしては、こういったスケジュールでこういった臨床試験の内容で進めたいというようなことは、その時期がきましたらお知らせできると思います。

川村 [M]：分かりました。以上です。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、終了時刻が近づいてまいりましたので、ご質問はあと2名とさせていただきます。続いてのご質問、橋口様、お願いいたします。

橋口 [Q]：大和証券の橋口です。私がしようと思っていた質問を前の方がほとんど似たようなことをされて、しかも答えられないって言われちゃったので、今手を下ろそうと思っていたところだったんですけど。せっかくご指名いただいたので、もう少し違う聞き方でお尋ねさせていただこうと思います。かぶってしまって恐縮です。

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



6 ページにお示しいただいている表ですけれど、開発の着手から承認取得までが、あまり品目によってばらつきがないようになっていっているように感じます。私の理解では、MPS II 型は、比較的患者さんのばらつきが多い。ですので観察に結構時間がかかる。一方で MPS I 型はばらつきが小さいので、結構短い評価期間で、ある程度有効性を示す可能性がある。

一方、MPS III 型は、中枢神経症状がかなり肝になってくるので、その評価というのが必須になって、中枢神経症状というのは短期間の観察ではなかなか有効性が見れないので、結構臨床試験に時間がかかるのではないかと考えておったんですけれど。

今いろいろ申し上げた各剤の特徴を踏まえた計画に関して、どのように現時点で想定されていらっしゃるのか。あと、これまでの近年の経緯では、お示しいただいたタイムラインと結構実際ずれるということがしばしばあったんですけれど、今後想定とずれる可能性について、今回の予定というのはどのような策定のされ方をしているのか。比較的メインシナリオを取っているのか、保守的に見ているのか、アグレッシブで見ているのかという、そのニュアンスについても教えていただければと思います。

芦田信 [M]：ありがとうございます。これも 藺田からお答えします。

藺田 [A]：ご質問ありがとうございます。先ほどの質問と非常に似ていますので、なかなかそれプラスアルファでお答えするところがないなと思いましたが、非常にご理解いただいている点はそのとおりかと思えます。

ただ、その中でも他社さんが治験をされているプロトコルですとか、そういったものも今後われわれがやるタイミングでどうなっているのかと、他の治験がどういった結果を出ていたり、どういった内容で治験をしているのかということもいろいろ加味した上で、今計画していることから変わる可能性は十分ありますので、今ここで、どういったものだというのはなかなかお答えできないかなと思います。

あと、このタイムラインがどれだけの確度で、どういった理由でこうなっているんだというご質問ですけれども。これは、今申し上げたとおり、われわれの考えでいくとこれぐらいであろうというところを記載しているわけです。ですので、他社さんの製剤、またはわれわれのものこれから出てくる結果ですよね、そこによってこのタイムラインがずれていくこと、そして剤の中であまり変わらないと言われていましたけれども、それも今後の結果いかんによってはこのタイムラインがずれてくることは大いにあるだろうと思っております。

橋口 [M]：ありがとうございました。失礼いたしました。

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@scriptasia.com



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、久保田様、お願いいたします。

久保田 [Q]：日経バイオテックの久保田です。本日はありがとうございます。

一つは、先ほど都築さんからもご質問があった、J-Brain Cargo に関してですけれども。使い分けは物によっていろいろだということだったんですけども。先ほどの、物によってという評価軸は、基本、脳実質への送達率みたいな観点でという理解でよろしいでしょうか。

あともう1点だけ、J-Brain Cargo の今回の若干のスライドのところにエフェクターという、オレンジでエフェクターと書いてあるんですけど、これは酵素補充療法のように、酵素自体が薬効を発揮しなくても、何らかもう少し間接的なものも含めて、いろいろ付ける可能性があるのか。はたまたさらに言うと、低分子薬とかそういうものもリンカーでくっ付けるみたいなことも可能性として考えられているのか、その辺りを伺いたいです。

芦田透 [A]：ありがとうございます。藺田がお答えします。

藺田 [A]：ご質問ありがとうございます。使い分けのところでお話したのは、できる限り PK (Pharmacokinetics) ではなく PD (Pharmacodynamics) です。薬効で選んでいくのが一番いいと思っています。それはもうひとえに、今まだ今の技術をもってしても、PK でだけで PD を予測することは非常に難しいと思っていますし、疾患によっても、どれぐらい行けばどう効くんだというのはもう全く異なってきます。モダリティによっても全く異なってきます。サブセルラーレベルでどこに行けばいいんだとか、そういったところも物によりけりで全く違いますので。やはりベストなのは、薬効、PD で判断をしていくという回答になります。

あと、エフェクターというのはご理解のとおり、われわれの JR-141 であれば酵素ですし、それ以外のものに関しては薬効を発揮するものです。ですので、ここが核酸になったり、低分子になったりという、いろいろなものがありますし、われわれは既に J-Brain Cargo のところでお示ししている中には、酵素タンパクもありますし、抗体もあるし、核酸もあるし、リピッドナノパーティクルもあるしというような、そういった可能性を示していますし。実際にそれらは、われわれのラボで既に実証しているものということで挙げています。

ですので、エフェクターというこの書き方の中には、何でもコンジュゲーションできる、フュージョンできるものに関しては何でもありだという意味で、エフェクターとして書いております。

久保田 [Q]：ありがとうございます。そこに関してもう1点だけ最後に伺いたいですけれども。本日のスライドの3枚目に、バイオシミラーのリスクが低いライソゾーム病領域でというお話も書いていました。今、結構いろいろな製薬業界の方とお話ししている中で、遺伝子治療とか細胞療法

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



みたいなものは、いわゆるバイオシミラーをつくるのはなかなか難しいのではないかというお話がある一方で、抗体医薬は当然バイオシミラーが出てきています。

御社の J-Brain Cargo に関して言うと、この IgG タイプに、今のような酵素を付ける場合は、CHO でまとめて全てを発現させていると理解しているんですけども。また、VHH とか scFv も、大腸菌なり CHO 細胞なり、エフェクターにもよるんでしょうけど、1 個の細胞にまとめて遺伝子発現させられるという意味では、非常に抗体に近いのかなと理解しているんですけど。

この現状のタイプの酵素補充療法を付けたような、タンパクを付けるようなものに関しては、極めて製造方法が抗体薬的なので、バイオシミラーが出てくる可能性はあると考えておられるのかどうか。その辺りの可能性についてお考えを伺いたいんですが。

芦田信 [A]：われわれバイオシミラーが出にくいというのは、世界的に数百人の患者さんしかいない、こういう領域にバイオシミラーをつくって出てくるという会社はほとんどないんじゃないかなということで。ライソゾーム病の中でも、数千人から数百人、100 人、200 人というようなものまでありますので、非常に超希少疾病については出にくいんじゃないかなと思っております。

久保田 [Q]：なるほど。ということは、モダリティ側というよりは、マーケット側という、そういうことですか。

芦田信 [A]：はい。わざわざつくっても仕方がないというようなフィールドもあると思いますので、そういう意味で出にくいところもあると思っています。

藺田 [A]：今のご質問で、もう一つの軸で、モダリティ間ではどうなんだというご質問では、久保田さんのご理解のとおりだと思います。遺伝子治療、細胞医療のほうがバイオシミラーリスクは極めて低い、そしてタンパク医薬はある一定数ある。ある一定数あるんだけど、市場規模でわれわれはよりリスクは低いだろうと考えていると、こういうことになります。

久保田 [M]：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。恐れ入りますが、時間の都合上、以上で質疑応答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、2024 年 3 月期第 2 四半期決算説明会を終了いたします。皆様、本日はご参加いただき、誠にありがとうございました。

[了]

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



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、SCRIPTS Asia 株式会社（以下、「当社」という）は一切の瑕疵担保責任及び保証責任を負いません。

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、すべて利用者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利用者が被った損害、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

