



## **JCRファーマ株式会社**

2024年3月期決算説明会（プレゼンテーション・質疑応答）

2024年5月13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 4 四半期
[日程]	2024 年 5 月 13 日
[ページ数]	29
[時間]	14:30 – 15:30 (合計：60 分、登壇：28 分、質疑応答：32 分)
[開催場所]	インターネット配信
[会場面積]	
[出席人数]	
[登壇者]	6 名 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） 常務取締役 研究担当 研究本部長 藺田 啓之（以下、藺田）

---

### 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



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)

経営戦略本部 経理部長

太田 義博 (以下、太田)

JCR Europe B.V. ゼネラルマネージャー

アン・ベシェ (以下、ベシェ)

**[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

UBS 証券

酒井 文義

モルガン・スタンレーMUFG 証券

村岡 真一郎

みずほ証券

都築 伸弥

東京海上アセットマネジメント

水野 要

\*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：**よろしくお願いたします。

**司会：**常務取締役、研究本部長、藺田啓之。

**藺田：**よろしくお願いたします。

**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：**経営戦略本部、経理部長、太田義博。

**太田：**よろしくお願いたします。

**司会：**最後に、JCR Europe、ゼネラルマネージャー、アン・ベシエ。

---

### 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



ベシエ：よろしくお願いします。

司会：以上、6名でございます。

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13日、11時45分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約1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30分を予定しております。

それでは、これより決算概要および事業内容についてご説明いたします。本日は、会長の芦田よりごあいさつさせていただいた後、アン・ベシエより、開発品目の進捗について、藺田より、次なる技術革新について、最後に伊藤より、2024年3月期連結業績についてご説明いたします。

それではよろしくお願いいたします。

## Key Messages



### 23年度 主力製品の売上伸長により、増収増益

### 24年度 グローバル臨床開発を支える組織体制の強化と開発投資の拡大

- 臨床開発の人員を増強するとともに、JCR Europeを中心として日、米、ブラジルを一体として運営する体制を構築
- JR-141：グローバル第III相試験において中間解析に必要な登録を完了予定
- JR-441：第I/II相試験（23年10月投与開始）は順調に進捗
- JR-446：上期中に第I/II相試験を開始予定
- JR-171：導出に向けて交渉中

芦田信：芦田でございます。いつも大変お世話になっております。本日もよろしくお願い申し上げます。

決算の今日の説明は、臨床開発の状況、研究の新しい進捗状況、そして業績の内容ということでお話を順番に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@scriptsasias.com



24年3月期の売上は初めて400億円を超えました。そして営業利益は予想より少し下回りましたが、この理由は、われわれはグローバルに自分自身で臨床開発をできる体制をつくろうということで考えており、そのヨーロッパの拠点、アメリカの拠点、そしてブラジルの拠点を充実し、人を新しく導入して、自分自身で臨床開発をできるように、体制を整えるために必要な経費が発生し、少し予想の数字よりも低くなっております。

臨床開発につきましては、現在JR-141、JR-441という臨床開発を行っておりますが、ともに非常に順調に進んでおり、後ほどアン・ベシェから臨床の開発状況をお話しします。また、研究においても、われわれの希少疾病に使う今までのタンパク製剤を頭に入れるというものと、他に新しいものの研究を行っており、これがどういうものかを園田から説明させていただきます。

これからわれわれが希少疾病をやっていく上においては、日本だけの市場を見ていくのはなかなか発展性が難しいということで、グローバルに臨床試験をやっていって、そこで将来利益を得ていくことを考えていきたいということで、グローバル開発を中心に、実際にこれからやっていこうという体制を整えたわけです。

ここで、われわれは今、400億円の売上を上げたわけですが、将来に向かって700億円、1,000億円に売上を上げていけるようなものを、開発を、現在行っております、十分にそういう目標を達成できるであろうと確信をしております。JR-141、JR-441については、後ほどアン・ベシェが進捗状況をお話ししますが、非常に順調に進んでおります。

私のほうは、将来に向かって、今年は新しい若い人たちが経営に参画してやっていっていただく1年ということを考えて、来期に向けて新しい体制をつくっていこうと考えております。

ぜひ皆様、JCRを今後ともよろしくお願ひしたいと思っております。どうもありがとうございました。

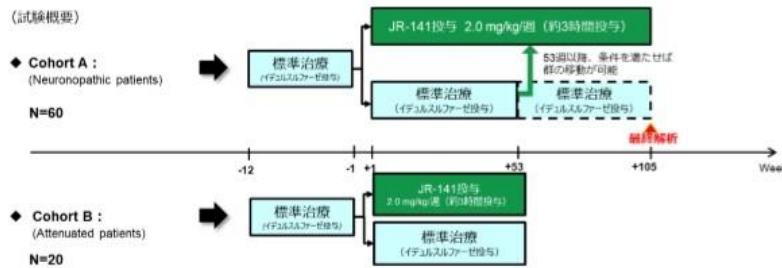
---

## 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



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



### 概要

目的	<ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> </ul>
評価項目	<ul style="list-style-type: none"> <li>CSF中HS濃度、中枢神経症状 (認知)</li> <li>全身症状 (肝脾容積、6分間歩行試験)</li> </ul>
Clinical Trials.gov Identifier	NCT04573023

## 現在の状況

- 患者リクルート継続中
- 実施施設数 (2024年4月末時点)
  - 米国: 5施設
  - 欧州: 12施設
  - 南米: 4施設
- 10カ国にて治験を実施中
  - 米国・欧州・ラテンアメリカに施設拡大予定

## 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
- 2022年12月 : Rare Pediatric Disease指定 (米国)

- Cohort Bについて20名の患者登録を完了**
- Cohort Aについてもリクルートが順調に進捗中

ベシエ\* : 芦田会長、ありがとうございます。それでは、JR-141 について、フェーズIIIに入っておりますので、そのお話をさせていただきたいと思っております。

以前にお話をしたように、二つの目的を達したいと、このフェーズIIIでは思っています。最初に、まず JR-141 が既存の ERT (酵素補充療法) と比較して、中枢神経系の兆候および症状に対して有効であるということ、それと同時に示したいと思っておりますのは、JR-141 が身体的な兆候および症状に対して同等の抑制を示すということ、この二つを目的としております。

現在のところ、今 21 のサイトが、米国、欧州そして南米において開いています。そしてもっと 2024 年にはこの施設の数を増やしたいと、そして、リクルートを加速していきたいと考えています。

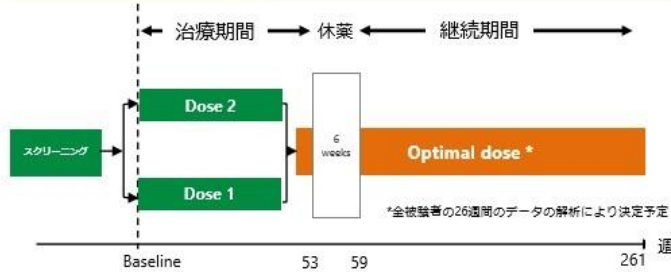
Cohort B のエンロールメントを完了したと報告できることを誇りに思います。この Cohort B は軽症型の患者さんのグループになります。そして今現在の予測として、Cohort A について中間解析に必要な患者さんのエンロールメントを今年上半期にできる予定で、患者のリクルートがしっかりと計画どおりに行っているということを申し上げたいと思っております。

## 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@scriptsasias.com

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

JR-441-101試験 概要



概要	
目的	安全性、至適投与量、探索的有効性
予定被験者数	12例（年齢1歳以上18歳以下）
Clinical Trials.gov	Identifier : <a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06095388">NCT06095388</a>

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
- 2023年12月  
FDAよりオーファンドラッグ指定
- 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

- 予定通りに試験が進行中
- 独立委員会による安全性評価を経て、小児患者のリクルートを開始

そして、JR-441、MPS IIIA の治療薬のお話をしたいと思います。

これはグローバル臨床の I / II 相の試験ということになります。これは KOL（Key Opinion Leader）の先生方との協力と同時に、私たちはやはりこの MPS IIIA 型の治療を必要としていらっしゃる患者さん、子どもさんと親御さんの協力のもと、安全性そしてファーマコダイナミクスをきっちり知るといこと、これは至適投与量をきっちり知るといことを目的としてこのトライアルが実施されておりますけれども、非常にうまくいっております。

そして LPI（Last Patient In）が 2024 年の上半期までに、2025 年末までには 1 年分データの解析が終了するということを目指しております。

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

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				<ul style="list-style-type: none"> <li>2024年度第1四半期 中間解析に必要な症例数の登録完了予定</li> <li>~2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定</li> </ul>
JR-171	ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群 等)	Global Ph1/2 完了				<ul style="list-style-type: none"> <li>継続試験が進行中</li> <li>導出に向けて交渉中</li> </ul>
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				<ul style="list-style-type: none"> <li>2024年度 Ph3試験</li> </ul>
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症	国内 Ph1/2 解析完了				<ul style="list-style-type: none"> <li>今後の開発計画検討中</li> </ul>
JR-441	ムコ多糖症IIIA型 (サンフィリップ症候群A型)	Global Ph1/2				<ul style="list-style-type: none"> <li>2024年度 上半期 LPI</li> <li>2025年度 下半期 データ (1年) の解析完了</li> </ul>
JR-446	ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリップ症候群B型)					<ul style="list-style-type: none"> <li>臨床試験開始準備中</li> <li>2024年度 上半期 Ph1/2試験 FPI</li> </ul>
JR-471	フコシドーシス					<ul style="list-style-type: none"> <li>検討中</li> </ul>

※上記表には、すでに臨床段階にあるもしくは臨床試験開始が近いプロジェクトを示した。

このスライドでは、R&D 開発のパイプラインが示されています。

つまり臨床段階にあるもしくは臨床試験開始が近いプライオリティが高いものということになります。一番重要なプログラム JR-141 でグローバルフェーズIII、一番上になります。

そして JR-171 が続きます。これは導出の交渉が進行中です。今、グローバルフェーズ I/II の 52 週間のデータが公開されています、そしてグローバルフェーズ I/II が完了ということになっています。

それから小児成長ホルモン分泌不全性低身長症、JR-142、フェーズIIIの試験が 2024 年下半期から開始するというので、申請が恐らく 2027 年に得ることができるとしております。

そして申し上げたいのは、テムセル、これは新生児低酸素性虚血性脳症を対象とした適応拡大試験 JR-031HIE あります。

また JR-441 に関しては、これもフェーズ I/II でうまく進んでおり、患者さんのエンロールメントにハードルはありません。

そして JR-446、こちらは、2024 年第 3 四半期にはフェーズ I/II 試験の FPI (First Patient In) ができると考えております。

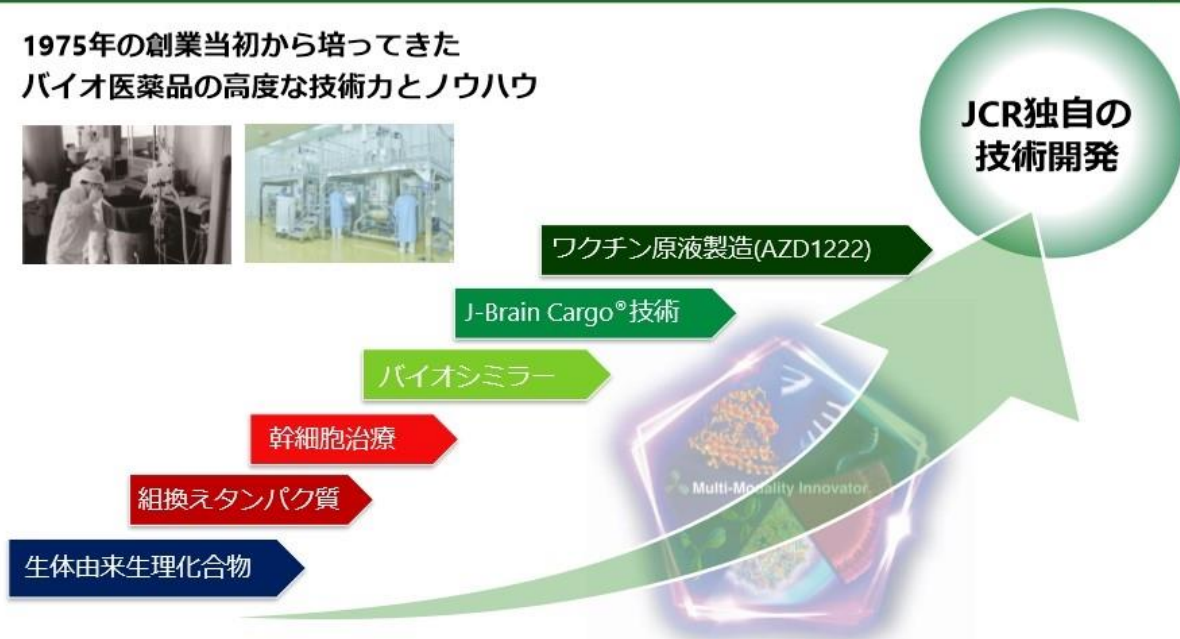
また、メディパルさんとの協力でもあります。

それでは、藺田さんにお話を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@scriptasia.com

1975年の創業当初から培ってきた  
バイオ医薬品の高度な技術力とノウハウ



Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

FY2023 4Q 7

菌田：では、ここからは菌田より、次なる技術革新についてお話いたします。

このスライドは当社の技術開発の歴史を示しております。われわれは1975年の創業以来、バイオ医薬品の研究開発、そして製造技術やノウハウを蓄積してきました。その結果として、組換えタンパク質医薬品に強みを持ち、バイオシミラー、そして細胞医薬品の開発をしてきましたし、その技術をベースに脳へのドラッグデリバリー技術であるJ-Brain Cargo 技術というのを確立してまいりました。

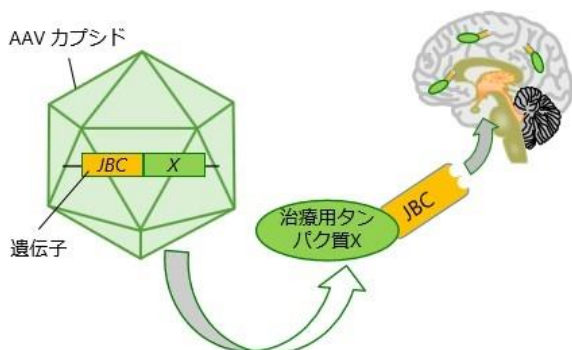
また、われわれは今、希少疾患に注力をしています。この希少疾患の治療薬開発にJ-Brain Cargo 技術を用いていますし、われわれがターゲットしていない領域、より広い領域に関しては、他社とのコラボレーションという形でさまざまな活動をしているわけです。

昨今、希少疾患においては、遺伝子治療というものがより試みられるようになってきております。われわれに関しても、この遺伝子治療技術というものに関しては長年取り組んできておりまして、われわれ独自の遺伝子治療の技術開発の構築を目指してきておりました。

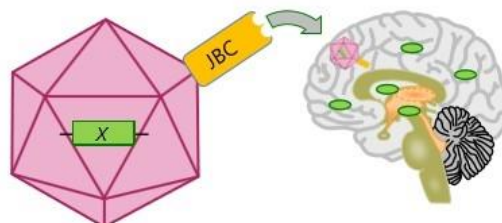
サポート

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

JBC融合タンパク質を発現する  
AAVによる治療



JBCを表面に修飾したAAVによる治療



- J-Brain Cargo®を利用したJCR独自の遺伝子治療技術
- 標的とする疾患の特性に応じて、治療戦略を選択することが可能

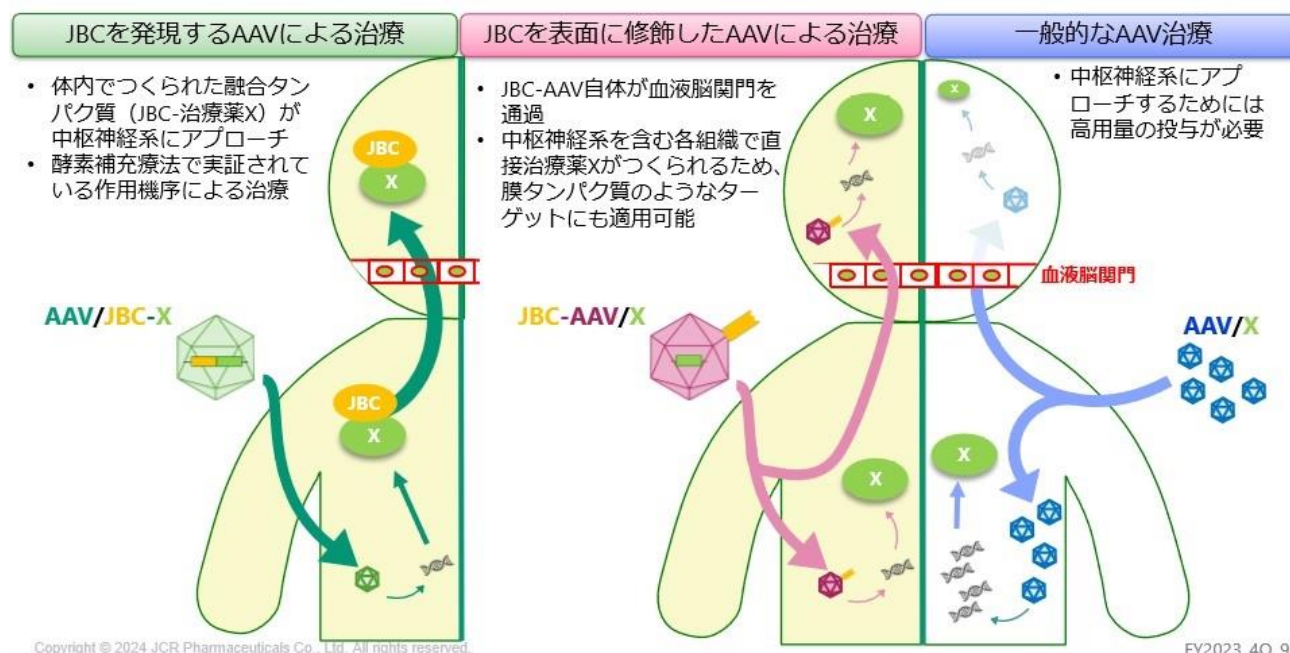
そこで、われわれが独自に持っている J-Brain Cargo 技術、これは皆さんご存じのとおり脳へのドラッグデリバリー技術です。そしてアデノ随伴ウイルス、AAV をベースとした遺伝子治療、このハイブリッド技術の確立を進めてきています。

ここには二つ示しています。われわれには二つの選択肢があると考えています。まず一つ目、これは左側になります。緑で示してあるものですが、これは AAV のカプシドの中に J-Brain Cargo と治療になる目的のタンパク質を一緒に含めたもの、これをつくって、これを投与すると。投与した後に、J-Brain Cargo と目的タンパク質が融合タンパクとして発現し、それが脳に届く、これが左側になります。

もう一つが右側、ピンク色で示してあるものですが、これは AAV そのものの表面に J-Brain Cargo の分子を付けて、AAV それ自体を脳に届けるというものです。ある疾患においては同じような効果を示す場合もありますが、ある疾患においてはどちらかが優位といった、そういったこともありますので、この 2 種類を持っているということに非常に強みがあると考えています。

## 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@scriptsasias.com



もう少し詳しく説明をしたいと思います。このスライドは、どのように投与して、投与した後にどのような分子がCNS、脳にデリバリーされるのかというものを示しています。先ほどと同じく、緑とピンクがわれわれの開発している2種類のもの、そして一番右側の青色が現在使われている一般的なAAVでの治療になります。それを模式的に示しています。

一番左、緑色のものになりますが、これは先ほども申しあげましたように、一般的なカプシドの中にJ-Brain Cargoとタンパク質を融合させた遺伝子を入れて、それを投与します。投与されたAAVが主に肝臓に感染し、そこで目的タンパク質を生産、そしてそれが血流に乗って頭に届く、そういったシステムになります。なので、これはわれわれが今行っている酵素補充療法、これを遺伝子治療に載せ替えたようなものになります。

真ん中のピンク色、これがもう一つの技術になります。これはAAVカプシドの表面にJ-Brain Cargo分子をくっつけたものになります。これは非常に技術的にはチャレンジングで難しいところだったんですけども、現在のところ、これはうまく成功して非常に良い結果を今得ております。

これを使いますと、AAVそのものが投与後、CNS、脳にデリバリーされ、そこで遺伝子を発現することができますので、外から入れても治療できなかったような治療ターゲット、例えば膜タンパク質ですとか、トランスポーターですとか、そういった遺伝子を実際に治療目的の細胞で発現させないと効果が見られなかったような疾患、こういった疾患にこの技術が適用できるだろうと考えています。

## 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

一番右のところ、これは説明する必要はないかもしれませんが、現在の AAV は少し CNS にデリバリーされると言われていますが、やはりその程度は非常に低いです。ですので、結果として大量の投与が必要になり、その大量投与によってサイドエフェクトが見られてしまって、ウィンドウが狭いと、非常になかなか使いにくいということになっています。

ここをどうにかしようということで、いろんな企業が開発をしているわけですが、われわれの技術も、今、行われている技術開発のトップランナーになれる技術だと考えています。

## 独自の技術が生み出すJCRの未来

Reach Beyond, Together  
一緒に、その先へ



Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

FY2023 4Q 10

ここまではわれわれの遺伝子治療の話をしてきましたが、われわれは他のモダリティ、遺伝子治療も含めて、タンパク質医薬、抗体医薬、そして核酸医薬、そして lipid nanoparticle、こういったものに J-Brain Cargo が適用可能であることはもう既に確認をしています。

そして J-Brain Cargo は脳へのドラッグデリバリー技術ですが、このベースを使うことで脳以外へのデリバリー、そしてそれらと多くのモダリティとの掛け算、こういったものが現実に行けると考えています。

われわれのターゲットは希少疾患です。希少疾患も脳以外にさまざまな臓器に症状が出る疾患がありますので、そういったものに関して、この多種類のモダリティ、そしていろいろな臓器へのターゲティング、こういった技術を使って、ライソゾームを超えた、ライソゾーム病以外の希少疾患に関しては、JCR 独自で開発を進めていくことができると考えています。

## 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@scriptsasia.com



一方で、もっと大きな疾患、患者さんが非常に多い疾患に関しては、われわれ単独でその臨床開発を進めていくことは非常に難しいですので、そこに関しては技術の導出、もしくは共同研究を通して、そういった疾患へのアプローチを考えています。ここは以前と方針については変わっていません。

なので、われわれはそのベースとなる技術、ここに特に注力をして今、研究開発をしているわけです。この技術を使ってさまざまな候補疾患、いろいろな疾患において画期的な治療薬を自社独自で、そしてまたいろんな会社さんとのコラボレーションの中で創製していきたいと考えています。

私からは以上です。

## 連結決算概要



(単位：百万円)

連結	2023年3月期	2024年3月期				年間達成率
	実績	実績	前年同期比		通期予想 (修正後)	
			増減額	増減率		
売上高	34,343	42,871	+8,528	+24.8%	45,400	94.4%
売上原価	8,886	11,620	+2,733	+30.8%	12,400	93.7%
売上総利益	25,456	31,251	+5,794	+22.8%	33,000	94.7%
販売費及び一般管理費	20,480	23,719	+3,238	+15.8%	22,500	105.4%
販売・一般管理費	11,678	12,484	+806	+6.9%	12,800	97.5%
研究開発費	8,802	11,234	+2,431	+27.6%	9,700	115.8%
営業利益	4,975	7,531	+2,556	+51.4%	10,500	71.7%
経常利益	5,418	7,264	+1,846	+34.1%	10,000	72.6%
親会社株主に帰属する当期純利益	3,772	5,507	+1,735	+46.0%	7,300	75.4%

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

FY2023 4Q 12

伊藤：では続きまして、私、伊藤より、24年3月期の連結業績および25年3月期の予想についてお話をさせていただきます。

まず、終わった期と前期との比較でございますが、先ほど会長の芦田が申し上げましたとおり、まず売上高につきましては、アストラゼネカ社のワクチン原液を生産した年を除きますと最高の売上ということで、428億円でございます。営業利益につきましては75億円で、いずれも前年同期比で増収増益という結果でございました。

## 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



(単位：百万円)

連結	2023年3月期		2024年3月期			
	実績	実績	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間達成率
			増減額	増減率		
グロウジェクト*	12,261	17,913	+5,652	+46.1%	19,500	91.9%
イズカーゴ。 ※	4,414	5,171	+757	+17.2%	5,200	99.4%
テムセル* H S 注	3,404	3,236	△ 168	△ 4.9%	3,300	98.1%
腎性貧血治療薬	4,696	4,652	△ 44	△ 0.9%	5,000	93.0%
EBSEチンアルファ B S 注「J C R」	2,710	1,994	△ 716	△ 26.4%	2,200	90.6%
タルボエチンアルファ B S 注「J C R」	1,986	2,658	+672	+33.8%	2,800	94.9%
アガルシダーゼベータ B S 点滴静注「J C R」	964	1,661	+697	+72.2%	1,400	118.6%
医薬品等合計	25,741	32,636	+6,895	+26.8%	34,400	94.9%
契約金収入	6,546	7,413	+867	+13.3%	8,100	91.5%
その他 ※	123	2,820	+2,697	+2192.7%	2,900	97.2%
A Z D 1 2 2 2 原液	1,931	—	△ 1,931	△ 100.0%	—	—
売上高合計	34,343	42,871	+8,528	+24.8%	45,400	94.4%

※イズカーゴの売上高のうちNPSプログラムによるものは「その他」に含む

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

FY2023 4Q 13

その売上の中身をまず見てみたいと思います。

ここでご覧いただけますように、この緑色のところが実績でございますが、まずグロウジェクトで大きく増収をしているということと、イズカーゴにつきましても好調でございました。

また、この期の特徴的なこととしましては、医薬品等合計の2段下でございますその他というところでございます。こちらは前年に比べまして26億9,700万円の大きな増加となっております。これは以前申し上げましたように、製造受託の案件があったからでございます。この売上増収への寄与というものも大きいものがございました。全体では85億円のプラスということでございます。

一つスライドを戻ってください。今申し上げたのは売上ということで。この売上の増収が大きかったことによりまして、研究開発費、先ほども説明がありましたけれども、24億円前期に対して増加をするということのみ込みまして、営業利益としましては25億円、前期に比べてプラスということで、75億円の営業利益を計上することができました。

また、通期の予想に対する比較で申しますと、売上、利益ともに残念ながら未達ということでございました。その内訳につきまして、まず売上から見ていきます。

売上が予想に対しまして、グロウジェクトで16億円のマイナスでございまして、また下にあります契約金収入、こちらで7億円のマイナスということで、全体では25億円マイナスした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

この結果、今の売上のマイナスと、あと販売費及び一般管理費のうち研究開発費、こちらが予想97億円でございましたが15億円プラスという結果となりまして、全体では30億円弱の営業利益のマイナスであったということでございます。

以上が終わった期の業績でございます。

## 【2025年3月期 予想】 連結決算概要



(単位：百万円)

連結	2024年3月期	2025年3月期		
	実績	予想	前年同期比	
			増減額	増減率
売上高	42,871	41,300	△ 1,571	△ 3.7%
売上原価	11,620	10,400	△ 1,220	△ 10.5%
売上総利益	31,251	30,900	△ 351	△ 1.1%
販売費及び一般管理費	23,719	25,500	+1,781	+7.5%
販売・一般管理費	12,484	12,500	+16	+ 0.1%
研究開発費	11,234	13,000	+1,766	+ 15.7%
営業利益	7,531	5,400	△ 2,131	△ 28.3%
経常利益	7,264	4,600	△ 2,664	△ 36.7%
親会社株主に帰属する当期純利益	5,507	3,700	△ 1,807	△ 32.8%

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

FY2023 4Q 14

それでは次に、この25年3月期の予想についてご説明申し上げます。売上につきましては413億円、営業利益54億円でございまして、売上、利益ともに終わった期に比べますと若干マイナス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



## 【2025年3月期 予想】 売上高内訳（連結）

(単位：百万円)

連結	2024年3月期		2025年3月期	
	実績	予想	対前年実績比	
			増減額	増減率
グロウジェクト <sup>®</sup>	17,913	18,300	+387	+2.2%
イズカーゴ <sup>®</sup> ※	5,171	5,700	+529	+10.2%
テムセル <sup>®</sup> H S 注	3,236	2,800	△ 436	△ 13.5%
腎性貧血治療薬	4,652	4,200	△ 452	△ 9.7%
エボエチンアルファ B S 注「J C R」	1,994	2,200	+206	+10.3%
ダルベポエチンアルファ B S 注「J C R」	2,658	2,000	△ 658	△ 24.8%
アガルシダーゼ ベータ B S 点滴静注「J C R」	1,661	1,100	△ 561	△ 33.8%
医薬品等合計	32,636	32,100	△ 536	△ 1.6%
契約金収入	7,413	8,100	+687	+9.3%
その他 ※	2,820	1,100	△ 1,720	△ 61.0%
売上高合計	42,871	41,300	△ 1,571	△ 3.7%

※イズカーゴの売上高のうちNPSプログラムによるものは「その他」に含む

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

FY2023 4Q 15

まず、売上の内訳から見ていきたいと思えます。

こちらで、この売上が15億円、前の期よりマイナスすると申し上げましたが、一番大きな要因は、一番下のその他というところにございまして。こちらが昨年度ございました受託生産が、今期については大きくその分がマイナスしますので、ここが17億円マイナスになっているところが売上の一番大きな理由でございまして。

一方、製品をご覧くださいますと、グロウジェクト、イズカーゴとも売上が伸長する予想となっております。また契約金収入につきましても、前年よりも若干のプラスということをご想定しております。

売上につきまして、今申し上げたとおりでございまして。加えまして、今の売上のマイナスに加えて、研究開発費です。こちらが17億円のプラスということで130億円ということでございまして、営業利益につきましては54億円の想定をしております。

### サポート

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

特に、グローバルな臨床開発への投資額が増加



今申し上げたような実績と予想の中身でございますが、特に冒頭、会長の芦田からも話がありましたように、研究開発投資について積極的に投資をしていこうということでございまして、その推移を表したのがこちらのスライドでございます。

2020年度、研究開発費は全体で53億6,000万円でございます。それが今年度130億円を想定しておりまして、人員的にもここに示しておりますように大きく増加をしているということでございます。ここ数年の22年度辺りから特徴的なことで申し上げますと、そこまでは研究開発費と申しましても、研究費が開発費を大きく上回る状況でございました。それが足元ほぼ同額となりまして、今期につきましては開発費のほうが研究費を上回るような状況になっております。

すみません、一つ申し上げることを忘れたことがございまして、二つスライドを戻っていただいて。こちらのスライドで研究開発費が大きく増えますので、営業利益がマイナスになりますと申し上げましたが、研究開発費を戻して、研究開発費控除前の営業利益をご覧くださいますと、25年3月期で184億円、130億円プラス54億円で184億円でございます。終わった期の数字としましては188億円で、そのベースで見ますとどちらの期もそれほど大きな変動のない業績ということが言えるのではないかと思います。

私からは以上でございます。どうも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、ご質問は一問一答形式にて、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]**：シティの山口です。ありがとうございます。

一つめの質問が、このスライドの9ページで、J-Brain Cargo の新しい技術を二つご紹介いただきました。特にこの真ん中の、表面に修飾した AAV の治療というところが新しく難しいというお話をされましたけれど。この技術を使って脳の治療を本格化させるようなパイプラインといったものが、緑のほうよりも赤いほうで、今後注力してやっていこうということをおっしゃりたかったのでしょうか。

左のほうですと普通の遺伝子治療的なものになるので、その辺の赤のところのインパクトというか、注目度合いというか、そういったところを教えていただければと思います。これが一つ目です。

**菌田 [A]**：菌田よりお答えしたいと思います。今、山口さんに言っていたとおり、この真ん中のものというのが、やはり適用範囲が一番広いと思っておりますし、酵素補充療法の代わりになる遺伝子治療ではカバーできない、従来、酵素補充療法では治療できなかった疾患もターゲットに含まれることとなりますので、適応範囲は非常に広いと思っております。

酵素補充療法というのは、その名のとおり酵素を補充して、ライソゾーム病だからこそできていたようなところがあります。これを遺伝子治療に代替するだけでは、やはりわれわれもそうですし、周りの皆さんに関しても恐らく物足りないと思うんですよね。

そうではなくて、この真ん中の治療技術、この AAV というのは何でも遺伝子を頭に持ち込めることとなりますので、ライソゾーム病だともったいないという言い方はちょっとおかしいかもしれませんが、ライソゾーム病ではない疾患、こういったものに積極的に使っていきたい、そういったものの治療法開発にどんどん使っていきたい。

---

### サポート

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

われわれはどうしても希少疾患をメインにすることになりますが、それ以外は他社とのコラボレーションをしながら、この技術をうまく広げていきたいと考えています。

**山口 [Q]**：ありがとうございます。一つだけ、例えばパーキンソン病も、この赤だで行けますか、理論的には。

**藪田 [A]**：そうですね。ただパーキンソンの場合は、どうしても部位が限られてきますし、局所で打つ場合と、こういったブロードに、CNS 全般に広がるもの、どちらがいいのか、それはどのターゲットを何で治すかということにも大きく依存してくるかと思いますが、回答としてはイエスです。

**山口 [Q]**：ありがとうございます。あと一言だけ。アルツハイマーはいかがでしょうか。これではなかなか難しいですか。

**藪田 [A]**：アルツハイマーもどういった分子を乗せるかということによるかと思いますが、一般的に A $\beta$  を捕捉するような分子をこれで頭に持っていくということは一般的に考えられますが、ご存じのとおり A $\beta$  抗体というのは一定の副反応が出ますので、そういったものがこの遺伝子治療に合うかどうか、これは今後、検証していく必要があると思います。

**山口 [Q]**：分かりました。ありがとうございます。二つ目が、今期個別の売りになりますが、成長ホルモンのところで、図表等々いろいろお示しいただきました。前期はかなり伸びたんですけど、最後、見立てよりは少し足りなかったのかなという状況だと思いますが。今期は増収を見ておられますけれど、また足りなくなるリスクはないのかどうか、相手のいる話ですけれども、ノボとの状況について、もうちょっと解説いただけますでしょうか。

**芦田透 [A]**：芦田でございます。ご質問ありがとうございます。前期のグロウジェクトの予算、若干未達の部分につきましては、こちらにつきましてはわれわれの想定していた時期よりも数カ月早く、ノボさんの供給が再開したということが最大の要因かなと思っております。

今期の予算ですけれども、前期プラスの予算で組んでおります。こちらにつきましては昨年 11 月の説明会でもお話しさせていただきましたとおり、昨年度に 200 以上、新規の医療機関の口座が増えておりますし、まずはそこからの新規の患者さんの獲得率を確実に上げていくこと。

それから、また前期につきましてはノボさんの供給制限にともなう影響が実際に数字に表れてきたのは 6 月以降でありますので、今期につきましては、販売本数自体は継続的に維持しておりますので、今期は 12 カ月、全て 1 年間、そういった恩恵が得られるというところで、この数字、予算を達成できるという形で今取り組んでいるところでございます。

---

## 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



**山口 [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。それでは続いてのご質問、橋口様、お願いいたします。

**橋口 [Q]**：大和証券の橋口と申します。よろしくお願いいたします。

一つ目が冒頭の芦田社長のお話の中で、自社開発体制を強化しているというお話があったと思います。今回のスライドのご説明でも、JR-171 については導出に向けた交渉中とあったと思います。今後どのようなパイプラインであれば、グローバルで自社開発されるのか、こういったものであれば他社と提携でやっていくのか。

今までも御社の方針、ある程度揺れ動いてきたと理解をされていて。直近では比較的、JR-141 のように市場が大きいものに関しては他社の力を借りるほうに傾いていたと理解をしておったんですけど。再びある程度自社でできる場所はやりたいという範囲が広がってきているのかなと感じたんですが、もう少し胸の内をご披露いただけませんかでしょうか。

**芦田信 [A]**：臨床開発体制をどのようにつくっていくかということで、われわれはいろいろ試行錯誤をされていて。やっと去年の中盤から、われわれでどのように臨床開発を組んでいけばいいかというのが分かってきて。われわれグローバルでの臨床試験のヘッドオフィスはヨーロッパのオランダに置いて、アメリカ、日本、ブラジル、この4カ所で、十分にわれわれの今のいわゆるライソゾーム病に対する臨床開発はできると。

ただ、販売を考えると、われわれで販売できるかどうかというのが非常に問題になりますので、その辺について、強い販売網を持っているものについては外に出すというようなことも考えながら、そこはいろいろ、われわれそれから相手と交渉をしながら考えていこうと考えております。

**橋口 [Q]**：ありがとうございます。2点目はJR-171の今後の展開についてです。前回の説明会では、24年度、フェーズIII試験とご説明があったと思いますが、今回は継続試験が進行中ということになっています。これは、これまでに得られているデータでは、まだフェーズIII試験には入れないということを示唆されているのでしょうか。

**芦田信 [M]**：アンさん、お願いします。

**ベシェ [A]\***：現時点でフェーズI、II試験で得られたデータ、および継続試験で得られるデータによって、フェーズIII試験のスタートをサポートしていくということになります。しかしながら今、提携関係に関してもその交渉をしていること、継続試験も完全には終了していませんので、両方の結果が必要になります。こちらの二つの活動を完了しなければ次のフェーズには進めない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



**橋口 [Q]**：つまりはそういう状況なので、今の段階ではいつとは明示しにくくなってきているということですね。

**伊藤 [A]**：橋口さん、ご質問ありがとうございます。JR-171 につきましては、導出交渉を今しておりまして、こちらをぜひ成功させたいと思っております。

こちらについては、フェーズIIIにつきましては導出先との協議でどのようにやっていくかということが決まってくると考えておりますし、またそちらを自社で進めるというよりも、導出先でやっていただけるということであれば、そのことによって逆に JR-141、先ほどもお話がありましたように、JR-141、JR-441、JR-446 といったパイプラインに自社の資源を集中して、そちらを加速し、上市への期間をできるだけ早くしていくというのが、今われわれが考えているところ、注力しているところとご理解いただきたいと思います。お願いいたします。

**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、酒井様、よろしくお願いいたします。

**酒井 [Q]**：UBS 証券の酒井です。まず、すみません、終わった期の第 4 クォーターが相当コストを使われたということもあるんですが、減速感を伴って未達になったということが少し気になるんですが。今、グロウジェクトについてお話がありましたけれども、何となく第 4 クォーター、コントロールが効いていなかったのではないのかなと、経費の使い方を含めてですけれども、その辺、私たちは今期を見る上で危惧する必要はないのかどうか、まずその辺のアシュアランスといえますか、確約を御社からいただきたいんですが、いかがでしょうか。

**伊藤 [A]**：それでは伊藤からご回答いたします。酒井様、ご質問ありがとうございます。第 4 クォーターの減速感ということでございますが、特に売上につきましては、先ほどグロウジェクトについてご質問いただいたようなことかと思えます。

また、経費につきましても、研究開発費、年度を通して見れば、先ほど申し上げましたようにプラスになっておりますけれども、それも含めて、それなりの利益を計上できたと考えております。特にわれわれとしましては第 4 クォーターで減速をしたですとか、経費を出し過ぎたですとか、そういったことを感じているわけではございません。

そういった観点から申し上げますと、今期につきましても売上を伸ばせるところ、特に製品について伸ばせるところは伸ばすということ。あと、研究開発についても、特に開発について、われわれは想定しているように進めること、それによって費用は増加しますけれども、体制の整備を伴いな

---

## 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



がら開発を進めるということで、先ほどの繰り返しになりますけれども、製品の上市に少しでも近づけるように進めていきたいということでございます。

その結果としまして、利益としましては減益を想定しておりますけれども、先ほど申しあげましたように、研究開発費を控除前の営業利益で考えていただければ、昨年も今期もそれほど変わりはないということで。そのような研究開発に資金を投じられるような状況になったことは、われわれとしては非常に重要なことだと考えております。

**酒井 [Q]**：分かりました。今、研究開発費の今期の計画のお話も出ましたけれども、予想の立て方として伺いたいんですが。まず、研究開発費の使い方です。今年かなり増やされるというお話をされていますけれども。開発費用のほうが研究費よりも増えていくということは会長もおっしゃいました。

特に重点的に投入するプロジェクト、多分 JR-141、それから JR-142 とか、そういうところになるのではないのかなとは思いますが。その辺で、特にここにという重点的なプロジェクトがあれば教えていただきたいです。

それから、JR-171 のお話を聞くと、交渉中またはフェーズ I、II ですか、現在試験が終わってから交渉が本格化というような印象を持ったのですが。結局のところ、そうすると今期の契約金収入の中には、この JR-171 のライセンスアウトフィー、契約一時金なるものは今見込んでいないと、現時点でですね。これはいつ達成できるかどうか分からないのでということだと思のですが、そういう理解でよろしいのかどうか、この 1 点を教えていただけますでしょうか。

**芦田信 [A]**：開発については、われわれが注力しようとしている開発品は JR-141、JR-441、それに JR-142、それと JR-446、これについては注力をしていきたいと思っております。

それから JR-171 の導出については、そんなに遅くない期間にわれわれは導出できると考えておりました、そんなに 1 年、2 年かかる話ではないと考えております。

**酒井 [Q]**：すみません、そうすると 1 年、2 年かかる話ではないけど、今期の予想の中には入れていないという、そういう理解でよろしいですね。

**伊藤 [A]**：酒井さん、伊藤でございます。契約金収入の中に JR-171 の導出にかかるものが含まれているかというご質問でございますが、今期の契約金収入の中には、JR-171 の導出に係るものについて見込んでおります。ただ、想定しているものを全額入れているわけではございませんで、それについては保守的といいますか、堅めに見積もって入れ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@scriptasia.com



それは先ほど芦田が申しあげましたように、それほどかからずに導出ができるのではないかと考えているということの裏返しということでご理解いただきたいと思います。

**酒井 [Q]**：しつこくてすみません。そうすると増加分ぐらいは見込んでいるということですか、今期の。

**伊藤 [A]**：どの程度の金額を見込んでいるかについては申しあげることはできません。ということでご理解いただきたいと思います。

**酒井 [M]**：分かりました。では、また何かあれば後からまいります。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、続いてのご質問、村岡様、よろしくお願いいたしますします。

**村岡 [Q]**：こんにちは。モルガン・スタンレー、村岡です。よろしくお願いいたしますします。

今の話の続きというか、今期の契約金予算にある程度 JR-171 のアップフロントが入っている、そこは理解しました。今期の R&D 費 130 億円は、JR-171 の負担が相当減る、フェーズⅢの負担は限りなくゼロになるぐらいで入っているのでしょうか。どのくらいパートナーリングで負担が減ることが予算の前提に入っているのかということと、パートナーリングが無事 171 が決まれば、来期、1 年後の期は R&D 費 130 億円よりはさすがに減ってくる可能性は考えてよろしいでしょうか。まず 1 点目、教えてください。

**伊藤 [A]**：村岡様、ご質問ありがとうございます。今期の研究開発費、開発費につきましては、JR-171 については、先ほど申しあげたような状況ですので、それを前提にした開発費を組んでいるということでございます。

来期以降どういう数字になるかにつきましては、これは導出が決まったという想定を置きました場合も、他のものの進捗がどのようになるかということも当然絡んできますので、今のところそれがどのようになるかということをお願いするのは差し控えさせていただきたいと思います。よろしくお願いいたしますします。

**村岡 [Q]**：ありがとうございます。ただそうは言っても、今いま御社の開発費用の額の大きい順で言えば、多分 2 番目、JR-141 の次が JR-171 だと思うんですね。ここが相当減れば来期以降かなり期間損益への R&D 費というのは軽くなるのではないかなと推測するのですが、この推測は楽観的ですか。

---

## 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



**芦田信 [A]**：確かに JR-171 の開発費は軽減されますが、われわれはアン・ベシェが話しました表に出ていたもの以外でも臨床開発に入る可能性のものがあります。それも同じようにかかってきますので。われわれは将来を考えると、ここでやはりいかに臨床開発費、そして研究費をかけるかというところで、5年、6年先の将来に非常にわれわれの会社の発展がかかっているということを考えると、われわれはできる範囲内で、できる限り将来への投資を今していかないといけないのではないかなと私は考えておまして。ぜひそういう投資ができる間に、将来に備えたいと思っております。

**村岡 [Q]**：分かりました。ありがとうございます。もう1問ですが、藺田さんの J-Brain Cargo をくっ付けた AAV の話ですが。すみません、僕が聞き落としたかもしれないんですけど。これって例の武田さんがやめた AAV への応用は、この緑側のほうだったんですか、赤側のほうだったのでしょうか。もし赤側の、御社がやりたい修飾した側だとすると、IP とか技術移転とかというのはどのようになっているのでしょうか。

**藺田 [A]**：今、これがどちらでしたというお答えはしにくいですが、IP ですか、そういったものは何ら問題ございません。JCR が全て IP、権利、そういったものを保有しております。どちらでもですね。緑も赤もどちらも JCR が保有しております。

**村岡 [Q]**：なるほど。じゃあ、御社の自由にといい方というか、ここは開発が進められる、何もリストラクションはないということですね。

**藺田 [A]**：そうです。われわれ独自でも進められますし、われわれが新しい提携先とパートナーリングすることも可能です。

**村岡 [Q]**：分かりました。ちなみにこれが臨床入りするとしたら何年後ぐらいですか。この赤いやつは。

**藺田 [A]**：これはわれわれが今、治験薬をつくれるのはタンパクです。タンパク医薬、そして細胞医薬、あとアストラゼネカさんの COVID ワクチンの受託製造の経験がありますので、ウイルスベクターの経験はもちろんあるんですが、あれはアデノウイルスベクターでした。

今回はアデノ随伴ウイルスベクターで、これの治験薬をつくるということになりますと、今ここで明確に何年というのを申し上げるのは難しいですが、一般論としては2~3年というのが一般的な回答かと思います。

**村岡 [Q]**：ありがとうございます。製造の話だけおっしゃったということは、もう物としては相当いいものが出来上がっていて、あとは製造して治験に下ろすだけという、そういうことですか。

---

## 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]**：それと、あとは対象疾患ですよね。ある程度われわれは疾患を絞って、モデルマウスの検証試験というものはやっていますが、やはり臨床試験に行く前にはそれがわれわれは本当に自分たちで臨床試験ができるのか、その臨床試験を仮にやることができるとしても、本当に承認を取れるだけのデータ、そういったスコアリングですとか、そういった疾患における知見があるのかどうかとか、あとはレジストリがあるのかですとか、そういったいろんなことを積み上げた上で疾患を選定していく必要があります。なので、それは今まさしくそれを行っている最中だということです。

**村岡 [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。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]**：お世話になっております。みずほ証券の都築と申します。ありがとうございます。

JR-141 ですが、武田の決算説明会資料からだと、パイプラインから抜けていて、ここが協議中ということだと思うのですが、こういった内容を含めて協議中なのか、可能な範囲のコメントをいただけたらうれしいなと思っています。まずこちらをお願いします。

**伊藤 [A]**：都築様、ご質問ありがとうございます。その件につきましては、われわれから申し上げられることとしましては、その提携については、プログラムについては協議中ですということしか申し上げることはできません。申し訳ございません。

**都築 [Q]**：これ少し心配なのが、仮に武田と終了した場合に、例えば競合薬は CSF（脳脊髄液）のヘパラン硫酸の濃度で迅速承認を目指すんだみたいな、そういった説明会のコールなどをしていますが、御社も武田がもしなくなった場合、そういったことも不都合なく行うことができるのか。ここの体制の面で海外の人員も強化されてもできる状態なのか、こういったところをまだ仮の話ではありますけどお答えいただけたらうれしいなと思いました。以上です。

**芦田信 [M]**：アンさん、お願いします。

**ベシェ [A]\***：われわれがどれだけ自信を持っているかですが、武田なくして、われわれのリソースでやっていけると考えております。弊社のプログラムですが、タイムライン、そして今後のシナリオに関しても、武田がなくても特に影響を受けていないと考えております。

**都築 [Q]**：分かりました。そういう意味では申請をして、先ほどお話があった販売のところというところを承認された後には探していく、そんなイメージということでしょうか。もし武田が仮になくなった場合ですが。

---

## 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



**伊藤 [A]**：そういった仮定のご質問については今お答えするのは適切ではないとは考えております。

**都築 [M]**：分かりました。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。少し時間が超過する可能性があります、次で最後のご質問とさせていただきます。水野様、お願いいたします。

**水野 [Q]**：東京海上アセットマネジメント、水野です。本日はどうもありがとうございます。

今の都築さんの質問のあったところで、Denali が言っている FDA との協議によって、ヘパラン硫酸のレベルでもって迅速承認が可能になるのではないかというディスカッションについて、御社はこれについてどのように考えておられるのか。御社も同じような形で、例えば Cohort B のデータがそろってくれば、申請、迅速承認をチャレンジできるのか、もしくは、いや、それは Denali が勝手に言っているだけで難しいでしょうということなのか、その辺についてのお考えはいかがでしょうか。

**芦田信 [M]**：アンさん、お願いします。

**ベシエ [A]\***：FDA は、もちろんワークショップを開いております。そしてバイオマーカーをやるということでやっていこうということで、しかし大きな違いがあるんです。ワークショップでバイオマーカーをサポートするという、そしてそれだけで排他的な承認を得るということはなかなか難しいということです。

私たちとしては当局との間のエンゲージメントということで協議をしております。そして、先ほど申し上げたプランでやっていこうと考えています。そして、これによって非常に競合的な、Denali とは違った位置というものを守ることができると思っています。

**水野 [Q]**：藺田さんの遺伝子治療のところで、モダリティが全然違うので同じ比較ができないのは重々承知の上で、レンチウイルスの体外型の遺伝子治療が脳に対してどうなのかということについてのご意見と、当然御社の仕組みのほうはるかに脳への伝達という意味では優れているだろうなと思うんですけれども、その辺の競合環境について、一番右の青とはまた別のタイプの遺伝子治療というのは、立ち位置としてはどのようにあるのかとお考えか、コメントいただけますか。

**藺田 [A]**：ありがとうございます。Orchard のことを念頭に置いた質問かなと思いますが。

Orchard が出しているデータ、もしくはそれ以外でも、Ex vivo のジーンセラピーで CNS（中枢神経系）への効果というもの、これは非臨床もそうですし、臨床もそうですし、いくつか出ているかと思えます。

---

## 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@scriptsasias.com



あれのデータから見ると、CNS に効いていないとは決して言えない。CNS に一定の効果があるとわれわれも認識をしています。ただ、どうしても Ex vivo の場合は、本当の希少疾患であればカバーできるかもしれませんが、やはりマニファクチャリングのところ、そしてディストリビューションのところ、ここが大きなネックになってくるだろうと思いますし、これは大方のコンセンサスであろうと思います。

ですので、やはり AAV、これが今後も主流になると考えていますし、先ほど申し上げましたとおり、ライソゾーム病以外はどうかということになった場合には、やはり AAV がそのまま頭に到達する治療法というのが Ex vivo に対しても大きな優位性を持つだろうと考えております。以上です。

**水野 [M]**：大変よく分かりました。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。恐れ入りますが、時間の都合上、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、2024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@scriptsasias.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

