



## **JCRファーマ株式会社**

2026年3月期第2四半期決算説明会

2025年10月30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]	2026 年 3 月期第 2 四半期決算説明会
[決算期]	2026 年 3 月期 第 2 四半期
[日程]	2025 年 10 月 30 日
[ページ数]	26
[時間]	15:15 – 16:08 (合計：53 分、登壇：28 分、質疑応答：25 分)
[開催場所]	インターネット配信
[会場面積]	
[出席人数]	
[登壇者]	5 名 代表取締役会長兼社長 芦田 信 (以下、芦田信) 取締役 専務執行役員 営業本部長 芦田 透 (以下、芦田透)

---

### サポート

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



取締役 専務執行役員 研究本部長

藺田 啓之（以下、藺田）

上席執行役員 経営戦略本部長

伊藤 洋（以下、伊藤）

上席執行役員 開発本部長

JCR Europe B.V. General Manager, JCR USA Inc. General Manager

アン・ベシエ（以下、ベシエ）

**[アナリスト名]\***

（敬称略）

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

野村証券

前田 晃太

UBS証券

酒井 文義

ジェフリーズ証券

山木田 雅

\*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

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasias.com



## 登壇

---

**司会**：ただいまより、JCRファーマ株式会社 2026 年 3 月期第 2 四半期決算を開催いたします。

本日のプレゼンテーションおよび質疑応答は後日、弊社公式ホームページにて動画およびスクリプト配信いたします。

説明会の開始前にご視聴の皆様にお断り申し上げます。本日の説明会におきまして、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並びに不確実性を伴っていることをあらかじめご了承ください。また、本日の説明および使用する資料は、株主、投資家や報道関係者の皆様への当社事業の情報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。

それでは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。取締役専務執行役員営業本部長、芦田透。取締役専務執行役員研究本部長、藺田啓之。上席執行役員開発本部長、アン・ベシエ。最後に上席執行役員経営戦略本部長、伊藤洋。以上 5 名でございます。

本日使用する資料は、弊社ホームページに 10 月 30 日 14 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。

本説明会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 分の予定です。

それでは、会長の芦田よりご挨拶をさせていただいた後、プレゼンテーションを行ってまいります。芦田会長よろしく願いいたします。

**芦田信**：皆さん、よろしくお願いいたします。第 2 四半期の決算は売上も堅調に推移し、前期の赤字から正常な状態に戻ってまいりました。契約金も 50 億円を達成することができました。

我々、J-Brain Cargo、AAV による技術導出についても非常に多くの会社の方々から引き合いがあり、いくつか決まってきております。また、将来の安定収益の増加を見込んで既存製品の新たな展開として、アガルシダーゼ ベータ BS について、日本での許可を使える 9 カ国に対して申請作業を行っております。後ほど、我々の技術については藺田からお話をしますが、これについても非常に新しい技術であると思っております。

---

### サポート

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



また、既存の JR-141 の開発については順調に進んでおり、導出交渉も順調に進んでおります。今後ともよろしくお願いたします。

## 連結決算概要

Life is Rare 

(単位：百万円)

連結	2025年3月期		2026年3月期			
	Q2累計	Q2累計	前年同期比		年間進捗率	
			増減額	増減率		
売上高	16,657	<b>21,362</b>	+4,705	+28.2%	56.5%	
売上原価	4,330	<b>4,323</b>	△6	△0.1%	52.7%	
売上総利益	12,326	<b>17,038</b>	+4,711	+38.2%	57.6%	
販売費及び一般管理費	13,066	<b>14,659</b>	+1,593	+12.2%	54.3%	
販売・一般管理費	6,489	<b>6,824</b>	+334	+5.2%	56.9%	
研究開発費	6,576	<b>7,835</b>	+1,258	+19.1%	52.2%	
営業利益	△739	<b>2,379</b>	+3,118	-	-	
営業外収益	134	<b>353</b>	+218	+162.5%	-	
営業外費用	1,016	<b>370</b>	△646	△63.6%	-	
経常利益	△1,621	<b>2,362</b>	+3,983	-	-	
特別利益	1,065	<b>209</b>	△855	△80.3%	-	
特別損失	0	<b>31</b>	+30	+15,975.2%	-	
税引前中間純利益	△556	<b>2,541</b>	+3,097	-	-	
法人税等	134	<b>830</b>	+695	+515.1%	-	
親会社株主に帰属する中間純利益	△691	<b>1,710</b>	+2,401	-	-	
(ご参考) 共同開発先による負担控除前の研究開発費	7,314	<b>8,226</b>	+912	+12.5%	48.1%	

### 連結決算概要に関する補足説明

- 売上高は契約金収入が大きく増加し、前年同期比で28%増となりました
- 売上原価率（契約金除く）は工場の稼働率が低下したことにより若干上昇しました
- 販売・一般管理費の増加は、主に共同販促先等への手数料が売上増に伴って増加したことによるものです
- 研究開発費の増加は主に海外の臨床開発の進展によるものです
- 営業外収益の増加は主に為替差益の増加、営業外費用の減少は主に為替差損、持分法による投資損失の減少によるものです
- 当年度の特別利益は投資有価証券の売却益です

対売上高	2025年3月期 Q2累計	2026年3月期 Q2累計	増減
売上原価率	26.0%	<b>20.2%</b>	△5.8%
売上原価率 (契約金除く)	25.3%	<b>26.3%</b>	+1.0%
研究開発費率	39.5%	<b>36.7%</b>	△2.8%
営業利益率	△4.4%	<b>11.1%</b>	+15.5%

3

伊藤：それでは伊藤より、第2四半期の中間期の連結業績についてご説明を申し上げます。次のスライドをお願いします。

こちらが決算全体の姿です。売上高 213 億 6,200 万円、営業利益が 23 億 7,900 万円ということでございまして、前年同期に比べまして増収増益。先ほど芦田からもお話ありましたように黒字の決算となりましたということでございます。

## サポート

日本 050-5212-7790  
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

(単位：百万円)

連結	2025年3月期	2026年3月期			
	Q2累計	Q2累計	前年同期比		年間進捗率
			増減額	増減率	
グロウジェクト®	9,401	<b>8,915</b>	△486	△5.2%	50.1%
イズカーゴ®※	2,845	<b>3,354</b>	+508	+17.9%	52.4%
テムセル®HS注	1,521	<b>1,582</b>	+61	+4.0%	58.6%
腎性貧血治療薬	1,764	<b>1,580</b>	△184	△10.4%	51.0%
エポエチンアルファ BS注「JCR」	962	<b>296</b>	△666	△69.2%	37.0%
ダルベポエチン アルファ BS注「JCR」	801	<b>1,283</b>	+482	+60.2%	55.8%
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	714	<b>426</b>	△288	△40.3%	38.7%
医薬品合計	16,246	<b>15,858</b>	△388	△2.4%	51.0%
契約金収入	15	<b>5,015</b>	+4,999	+31,895.0%	91.2%
その他※	395	<b>489</b>	+94	+23.9%	-
売上高合計	16,657	<b>21,362</b>	+4,705	+28.2%	56.5%

※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

## 売上高内訳に関する補足説明

- グロウジェクト®、イズカーゴ®、テムセル®HS注はいずれも当社予算に比して堅調に推移しています
- グロウジェクト®は、販売数量は前年同期と同水準でしたが、薬価改定の影響で前年同期比マイナスとなりました
- 腎性貧血治療薬は、販売先であるキッセイ薬品工業株式会社への供給計画に準じた売上高となりました
- アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」は、販売先である住友ファーマ株式会社への供給計画に準じた売上高となりました
- 契約金収入は契約一時金や既存の契約におけるマイルストーン達成によるものです
- その他の増加はNPSプログラムの売上増によるものです

4

ではこの詳細に入ります前に、次のページで各製品の売上高についてご説明したいと思います。

まず一番上のグロウジェクト、その次のイズカーゴ、その下のテムセル。この3製品につきましては弊社が実際に営業活動を行っているものでございますが、いずれも当社の予算比で堅調に推移をしております。

まず一番上のグロウジェクトです。89億1,500万円の売上ということでございまして、年間進捗率も50%を超えております。対前年では若干のマイナスということでございますが、数量ベースでは前年とほぼ同じ数量を売り上げております。薬価改定の影響でマイナスになっているということでございます。

次にイズカーゴです。売上は33億5,400万円。前年同期に比しまして5億円のプラスで、18%のプラスということでございます。

次にテムセルは15億8,200万円ということで、前年同期比でプラスの6,100万円です。こちらは予算に対して進捗は非常に良いという状況でございます。

その下のエポエチンアルファ、あるいはダルベポエチン アルファは、キッセイ薬品工業に販売をしていただいておりますけれども、そちらとの供給計画に準じた売上高ということでございます。

エポエチンアルファにつきましては前年同期比で非常に大きなマイナスということになっておりますが、こちらはもともと予算立てが前年に対して半分以下の売上ということで、けしてエポエチン

## サポート

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

アルファの売上がそこまで下がるということではなくて、キッセイ薬品工業の在庫調整の影響とお考えいただければと思います。

また、ダルベポエチン アルファにつきましては12億8,300万円の売上で、4億8,200万円のプラスということでございます。前年に対して非常に大きなプラスとなっておりますが、こちらもキッセイ薬品工業の在庫の変動等を勘案した供給計画ということになっておりますので、売上自体はほぼ堅調に推移しているという状態だと思えます。

続きまして、アガルシダーゼベータは4億2,600万円の売上で、前年に対して2億8,800万円のマイナスということでございます。こちらもここまで住友ファーマの売上が減るということではございません、売上自体は順調に推移をしていると聞いております。ですからこちらも在庫調整等の影響ということをご理解いただければと思います。

以上、医薬品合計の売上は158億5,800万円。前年に比べますとマイナスの3億8,800万円ということでした。

その下の契約金収入が50億1,500万円ということで、前年に対しましては大きな増加ということでございます。既にプレスリリースをしておりますように、アレクシオンファーマとの間での遺伝子治療の技術導出、あるいは既に過去に契約をしました共同研究のプログラムの中でマイルストーンの達成、アキュメン・ファーマシューティカルズへのJ-Brain Cargoの技術導出、メディパルホールディングスとの間での国内共同開発、海外の導出契約ということで契約金収入をいただいております。

その他も9,400万円のプラスとなっておりますけれども、こちらはイズカーゴのNPSプログラムの売上増によるものということでございます。

売上合計では213億円で、前年に対しまして47億円のプラスということでございます。

では一つ戻っていただいて、決算の中身についてご説明いたします。

売上高は213億6,200万と今申し上げたとおりでございます。売上原価は43億2,300万ということでございます。右下の表の2段目の売上原価率（契約金除く）というところをご覧くださいますと、前年に比べまして原価率1%上昇しまして26.3%でございます。こちらは右の説明のところにも書いておりますように、工場の稼働率が低下をしたということによるものです。

売上総利益は差し引きしまして170億円ということで、前年同期比で47億円のプラス。販売費および一般管理費は146億5,900万円ということで、全体では15億9,300万のプラスでございます。

---

## サポート

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

そのうち販売・一般管理費が68億2,400万円で、前年同期に比べて3億3,000万円プラスでございますが、こちらの主因は共同販売先等への手数料が売上増に伴って増加をしたということでございます。研究開発費は78億3,500万円、前年同期比で12億5,800万円のプラスです。こちらについてはこのあと説明がありますけれども、主に海外の臨床開発の進展によるものでございます。

営業利益は23億7,900万円で、前年同期比で31億円のプラスということです。営業外収益は3億5,300万でございますが、主に為替差益の増加によるところでございます。また、その下の営業外費用が3億7,000万円ということで、前年同期に比べて6億4,000万マイナスしておりますけれども、これは今回、為替差損の計上はなかったということ。あと、持分法による投資損失の減少ということが減少の要因でございます。

経常利益は23億6,200万円。特別利益は株式の売却によるものでございます。一番下、当期の中間の純利益としては17億1,000万円でございます。前年同期に比べ24億円のプラスということでございました。

## 財務状態（連結）

Life is Rare 

(単位：百万円)

	2025年 3月末	2025年 9月末	増減 ・ 主な増減項目		2025年 3月末	2025年 9月末	増減 ・ 主な増減項目
流動資産	51,056	55,833	<b>+4,776</b> ・ 現金及び預金 +2,425 ・ 売掛金及び契約資産 +1,409 ・ 棚卸資産 +1,655	流動負債	43,988	47,508	<b>+3,520</b> ・ 短期借入金 +2,400 ・ 買掛金 +462
				固定負債	13,431	13,028	△402
				負債合計	57,420	60,537	+3,117
固定資産	53,798	53,221	△576	純資産合計	47,435	48,517	<b>+1,082</b> ・ 配当の支払 △1,220 ・ 中間純利益 +1,710
合計	104,855	109,055	4,199	合計	104,855	109,055	4,199

### 財務状態に関する補足説明

- ・ 棚卸資産の増加は、開発を行っている各プロジェクトの治験薬の在庫増加等によるものです
- ・ 短期借入金の増加は、運転資金の増加によるものです

	2025年 3月末	2025年 9月末
自己資本比率	44.8%	44.1%

5

次のページをお願いします。こちらはバランスシートでございます。総資産は1,090億5,500万円で、3月末に比べて41億9,900万円のプラスということでございます。右側の下の純資産合計は485億円で、自己資本比率は44.1%でございました。

## サポート

日本 050-5212-7790  
 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

7

流動資産は 558 億円で、47 億円増加をしています。現預金の増加が 24 億円、売掛金の増加が 14 億円、棚卸資産の増加が 16 億円ということでございます。固定資産は 532 億円で、マイナスの 5 億 7,600 万円。こちらは主に減価償却によるものでございます。

右側にいきまして、流動負債 475 億円で 35 億円のプラスということでございますが、短期借入金が増加して 24 億円増加しております。こちらは主に運転資金の増加によるものです。買掛金の増加は 4 億 6,000 万。固定負債は 130 億円で、負債合計は 605 億円で 31 億円の増加ということでございます。

一つ言い忘れましたが、棚卸資産が増加しておりますが、こちらは開発の各プロジェクトの治験薬の在庫増加等によるものでございます。

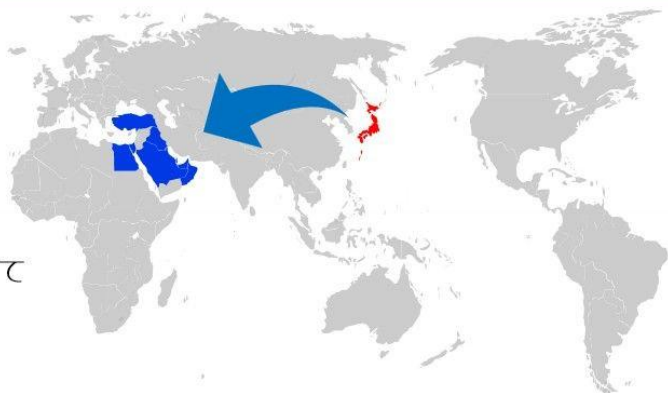
## 既承認製剤の海外展開

Life is Rare 

### アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」

- ・ ファブリー病治療酵素製剤のバイオ後続品
- ・ 2018年より日本国内で販売中

中東・トルコ・北アフリカの9カ国\*に関して  
Menagen Pharmaceutical Industries LLCと  
独占的な開発・販売権の許諾契約を締結



日本での製造販売承認を活用し  
契約地域での製造販売承認申請および販売活動をMenagen社が実施

\* サウジアラビア王国、アラブ首長国連邦、オマーン国、クウェート国、カタール国、バーレーン王国、トルコ共和国、イラク共和国、エジプト・アラブ共和国

6

次のページをお願いします。会長の芦田からも紹介がございましたけれども、アガルシダーゼ ベータ BS について中東・トルコ・北アフリカの 9 カ国に対して、メナジェンというところと独占的な開発・販売権の許諾契約を締結しております。

アガルシダーゼ ベータはファブリー病のバイオ後続品で、2018 年より日本国内で販売をしているものでございます。こちらは日本での製造販売承認を活用し、これらの 9 カ国で承認を取って、メナジェンが販売活動を行うということでございまして、収益基盤の安定化ということが我々の課題だと捉えているということは前から申し上げてきたところでございますが、そのための一つの方策としてこのような新しい動きをしたということでございます。

## サポート

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

 **SCRIPTS**  
Asia's Meetings, Globally

私からの説明は以上でございます。どうもありがとうございました。

## 開発パイプライン

開発番号	適応症	開発段階				備考
		前臨床	Phase 1	Phase 2	Phase 3	
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-142	骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症	Ph3（日本）				・ 患者登録は順調に進行中
JR-171	ムコ多糖症I型（ハーラー症候群 等）	Global Ph1/2 completed				・ 導出に向けて交渉中
JR-441	ムコ多糖症IIIA型（サンフィリッポ症候群A型）	Ph1/2（ドイツ）				<Ph1/2> ・ 当初予定していた投与群での1年間の臨床データを取得 <Ph1> ・ 目標症例数の登録完了
		Ph1（日本）				
JR-446	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリッポ症候群B型）	Ph1/2（日本）				・ 最初の cohorts の患者登録を完了 ・ メディバルホールディングスに導出
JR-471	フコシドーシス					・ メディバルホールディングスに導出
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）					・ メディバルホールディングスに導出

8

ベシエ\*：皆様こんにちは。そして今日のご参加いただきましてありがとうございます。アン・ベシエと申します。開発品目の進捗についてご説明させていただきます。

まず MPS（ムコ多糖症）II 型を対象とした JR-141 に関してでありますけれども、グローバルフェーズ 3 が 7 月に登録を完了いたしまして計画どおり進んでおります。そして規制当局とのやり取りも進んでおりまして、2027 年度に承認を得るべく進捗をしております。

そして成長ホルモン分泌不全性の低身長を対象とした JR-142 でございます。患者登録は以前お示しした通り順調に進捗しております。

そしてハーラー症候群の JR-171 はフェーズ 1/2 を完了したところでございます。パートナーリング活動は現在進捗中でございます。

JR-441、これは MPS IIIA のアセットでありますけれども、ドイツでの試験が順調に行われております。フェーズ 1/2 のスタディは、当初予定されていた投与群での 1 年間の臨床データを取得しました。そしてフェーズ 1 を日本で始めております。患者さんの登録は完了しております。

JR-446 でありますけれども、メディバルホールディングスとパートナーリングをしているアセットであります。MPS III B を対象としておりますけれども、予定どおり進捗しております。最初の cohorts のリクルートメントが完了いたしております。

## サポート

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

そして現在臨床段階にあるこれらのアセットに加え、JR-471、これはフコシドースを対象とするものであり、メディカルホールディングに導出してしております。前臨床段階です。

そしてJR-479 というのは GM2 を対象としたものでありまして、こちらもメディカルホールディングとパートナーングをしております。

こういった化合物を臨床試験段階にできるだけ早く移行させていきたいと考えております。以上です、ありがとうございました。

## AAVによる遺伝子治療の課題

Life is Rare 



### 目的組織への送達が困難

- 中枢神経系、筋組織、軟骨、等
- 血液脳関門がAAVの通過を阻む<sup>1</sup>



### 副作用の懸念

- 高用量のAAV投与による、肝障害、血栓性微小血管症、神経毒性などの副作用の可能性<sup>2</sup>
- 臨床試験において肝障害による死亡例あり<sup>2-4</sup>



### AAVベクターの大量生産

- 製造工程が複雑で高度な技術が必要<sup>5</sup>
- 品質管理が極めて重要



### 中和抗体による薬効の減弱

- 自然感染により、治療前から中和抗体を有する場合あり<sup>6</sup>



### 超高額の薬価

- 医療費増加への影響<sup>7</sup>

1. Daci R, et al., *Int J Mol Sci*. 2024; 25(2): 1050. 2. Wang JH, et al., *Signal Transduct Target Ther*. 2024; 9(1): 78. 3. Duan D. *Mol Ther*. 2023; 31(11): 3123-3126. 4. *Nat Biotechnol*. 2020; 38(8): 910.  
5. Jiang Z, et al., *Trends Biotechnol*. 2023; 41(10): 1268-1281. 6. Weber T. *Front Immunol*. 2021; 12: 658399. 7. Kliegman M, et al., *Nature*. 2024; 634(8033): 307-314.

**藺田**：皆さんこんにちは。藺田でございます。それではここからは私より遺伝子治療プラットフォームで、JCR 独自の遺伝子治療技術、JUST-AAV 技術の進展について紹介したいと思います。

これまでも説明してきたと思いますけれども、今使われている AAV は非常にプロミッシングな治療ツールだと認識はされていますが、それでもまだ多くの課題を抱えて、更なる改良が必要な治療ツールだと考えています。

当社ではそこに長年取り組んできておりまして、ここに書いてある問題点のうち上の二つ、目的組織への送達効率を上げた AAV、そして副作用の懸念を減少させた AAV。こういったものを作ってきました。

## サポート

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

# JUST-AAV



AAV: アデノ随伴ウイルス

## JCR

JCRによる

## U

Ultimate destination of organ  
標的の臓器に輸送し

## S

Safeguarding against off-target delivery  
標的外の臓器への輸送を防止する

## T

Transformative technology  
革新的な技術

ex. 脳・筋

**目的とする組織・臓器への指向性を有し、かつ  
特定の組織・臓器への移行性を低減したAAV**

ex. 肝臓

11

それがこの JUST-AAV です。JUST というのはここに書いてある文言の頭文字を取って JUST ということになっていますが、目的の組織に指向性を上げて、そして行ってほしくない組織、ここでは肝臓がメインですけれども、への移行性を低減したもの。それを我々独自の技術として JUST-AAV と名付けています。

## 脳指向型JUST-AAV : 脳への導入効率の評価



### サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptasia.com

これが脳指向型のものです。脳により行くように細工をした AAV の、サルでのデータを示しています。縦軸はメッセンジャーRNA の発現レベル。そして横軸は脳の各部位です。それぞれの部位でどれくらい発現効率が上がっているのか。

ここでは一般的によく使われている AAV9 で、セロタイプ 9 との比較としたデータを示しています。AAV9 を 1 としたときに、メッセンジャーRNA の発現率が何倍向上しているかといったデータになります。ここで示しているとおりに、各部位で数十倍から 100 倍以上の発現の向上が認められています。

## 特定の組織に対する AAV 集積回避の評価

Life is Rare 



The 32nd Annual Congress of the European Society of Gene and Cell Therapy (ESGCT2025)

脳指向型 JUST-AAV: n=2, AAV9: n=1  
GOI: H2B-HA, 2.7E13 VG/kg, 4 weeks after admin 13

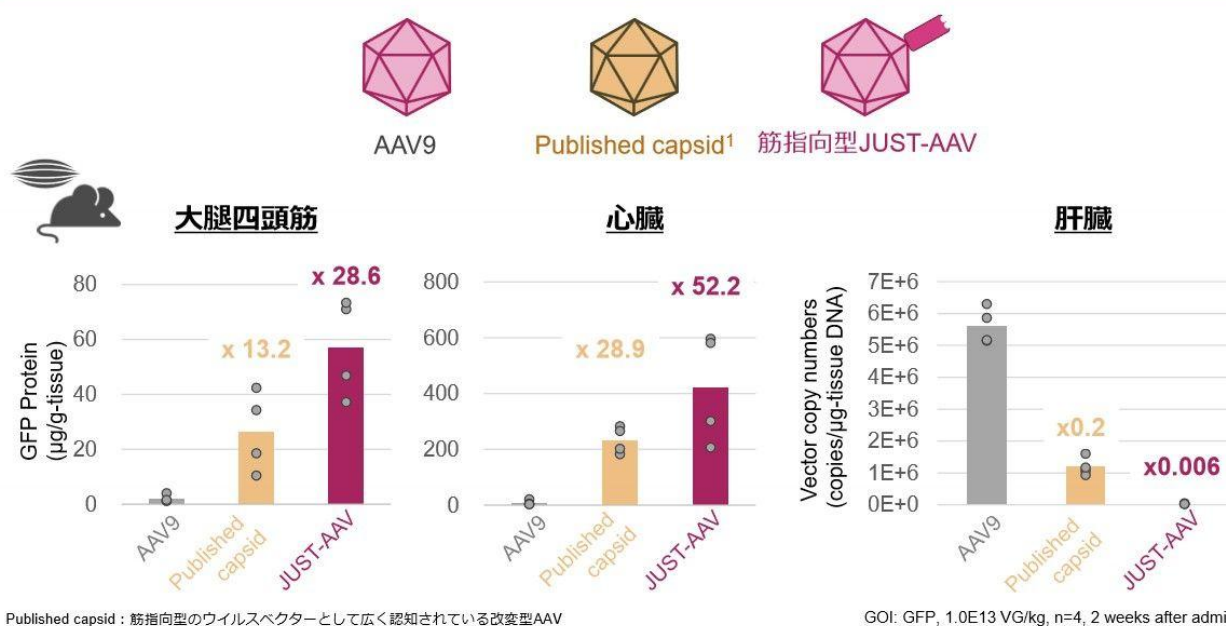
こちらの図は安全性のほうです。行ってほしくない臓器に対して、どれくらいディストリビューションが下げられたのかということを示しています。こちらも AAV9 との比較。灰色のバーが AAV9、それに対して緑色のバーが JUST-AAV で、どれくらいディストリビューションが減っているのかということを示しています。

これはサルのデータです。左側が肝臓で、右側が後根神経節のデータになります。こちらも見ただけで一目瞭然ですが、肝臓でもう 99% 以上のリダクションが見えていますし、後根神経節においても大きくディストリビューションを下げることに成功しています。

## サポート

日本 050-5212-7790  
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



次に脳以外の組織ですね。今回のケースでは筋組織、筋肉についてのデータを示していますが、我々の JUST-AAV のアドバンテージは、AAV に対してデザインができるということだと考えています。そのデザインの一つが脳の指向性であったり、肝臓に行きにくくしたり、またそういったものをミックスしたりという、そこら辺が我々のアドバンテージだと考えていて、それにプラス、筋指向性の AAV の開発にも成功しましたということを示しています。

これはマウスのデータになります。左二つが筋肉ですね。大腿四頭筋と心筋。右側が肝臓のデータになります。このケースでも一般的に使われている AAV9 との比較で示しています。黄色の真ん中の Published capsid って書いてあるものは、一般的に筋指向性が高いと発表されている、よく知られた AAV、これを一つのマイルストーンとして横並びで比較をしています。それと比べて、我々が作った筋指向型の JUST-AAV というものがどれくらい優れているのかということを検証したデータになります。

こちらのグラフも、このバーの高いほうがその組織によく行っているという見方になるので、左側の大腿四頭筋と真ん中の心筋を見ていただくと、AAV9 は 1 なのでほとんどバーはありませんが、それと比べると大腿四頭筋と心臓で 28 倍、52 倍と、非常に高い移行性、発現量が見えています。

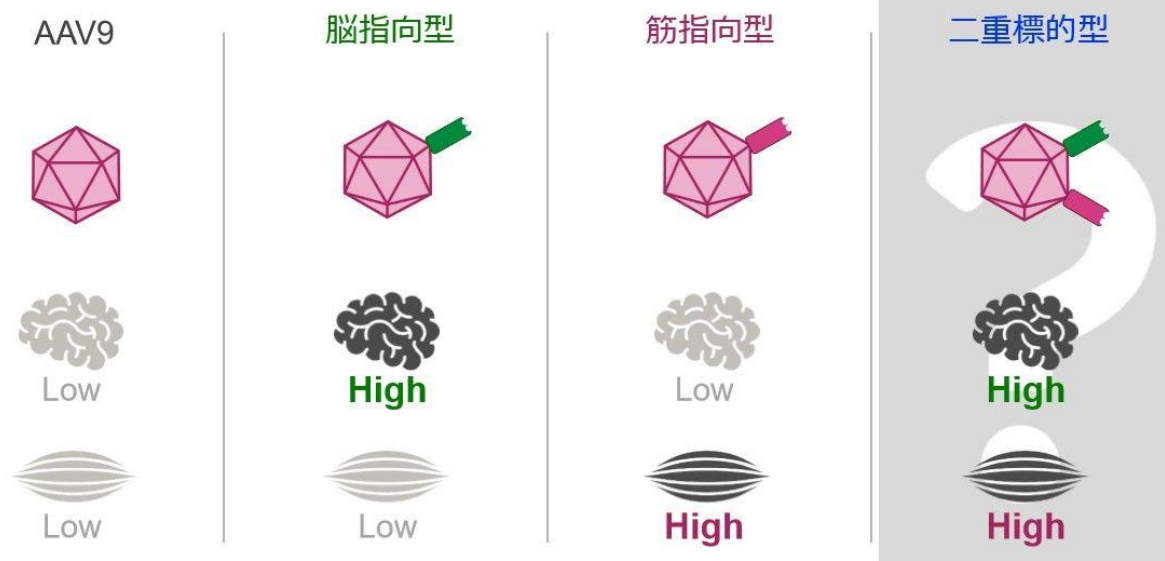
また真ん中、黄色の Published capsid に比べても、我々の筋指向型 JUST-AAV のほうが高い発現量を示していることが見ていただけるかと思います。

## サポート

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

一方で安全性の観点です。肝臓のデータを見ていただいても、JUST-AAV の肝移行性は極めて低い  
 ですので、筋肉への移行性を高めて肝臓への移行性を大きく減らしているということで、まさしく  
 今、臨床で問題になっているニーズにミートするような、新たな AAV が作成できたのではないかと  
 考えています。

## 有用性向上を目指したバインダーの併用



15

次に、先ほど言ったようにデザインブルかどうかというところで、脳指向型と筋指向型、これを足  
 した場合に両方に標的できるのかということを確認しました。

### サポート

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



The 32nd Annual Congress of the European Society of Gene and Cell Therapy (ESGCT2025)

Barcode study (AAV pool was injected)  
5.0E12 VG/kg iv per each AAV, n=1, 2 weeks after admin 16

これはマウスのデータになります。ここでは AAV9 と脳指向型のもの、そして筋指向型のもの、その両方の指向性を兼ね備えたもの、この四つを比較しています。

ここで見ている組織は左から、脳、大腿四頭筋、心臓ということになります。まず左が CNS の組織で、右二つが筋組織だと見てもらえたらいいかなと思います。ちょっと見方が難しいですけども、バーの色で見分けていただければと思います。

ここでも AAV9 と比べています。緑色のバーは脳指向性の AAV ですので脳にはよく行っています。筋肉では AAV9 と比べて大体同じレベル。つまり脳には行くけれども筋肉にはあまり行ってないということです。

次にピンク色のバー。これは筋指向性ですので脳では AAV9 と同レベルですが、筋肉、心臓においては非常に高いディストリビューションを示している。

青色のバーがこの二つを掛け合わせたものです。二重標的型です。これに関しては、脳においても筋肉においても高い移行性を示しているということで、これは我々が狙ったとおりのことが実現できているということになります。

この我々の JUST-AAV というのは、組織をターゲットできるタグ、バインダー、そういったものを別途作成して、それを我々のシステムに乗せることで AAV の表面にディスプレイをして、そのディスプレイしたタグによって組織指向性を持たせますので、今回の二重標的化がそうですが、そ

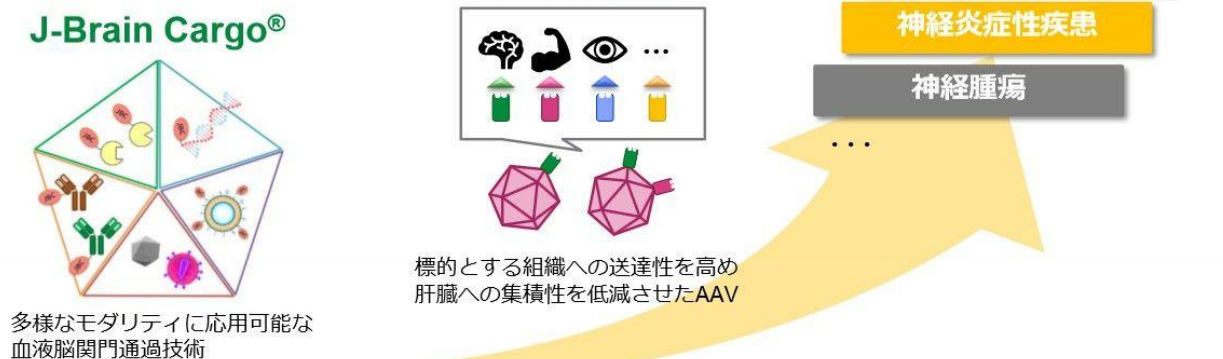
サポート

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

のタグを入れ替える、もしくはタグの種類を足すといったことで、どの組織に何を運びたいのかをデザインができるということが一番の強みだと思います。

## 独自の技術で未来を拓く

### 基盤技術のライセンスアウトを拡充し、 希少疾病にとどまらず画期的な治療薬を創製する



17

色々なモダリティに対して J-Brain Cargo を適用して脳に届けるという、そういったことをこれまで進めてきました。そのモダリティの中の 하나가 AAV で、その AAV に対してこれまで注力をして、そして JUST-AAV という技術を作ってきました。

この JUST-AAV で今お示したように、脳以外の組織にもターゲットできる技術を作って、つまり J-Brain Cargo、これは脳にターゲットする技術ですが、それを応用することで脳以外の組織にターゲットする技術を作って、それと我々がもともと持っていた AAV の技術と掛け合わせることで、脳以外の組織にも効率的に届ける遺伝子治療のツール、そして同じツールで違ったモダリティにも、今後使用していくことができると考えています。つまり、複数のモダリティに対して複数のターゲットシステム、これらを掛け合わせることで多くの疾患領域をカバーできるのではないかと考えています。

こういった色々なことができるのはもちろんいいんですけれども、我々1社でカバーできる疾患領域、そういったものは限られていますので、この技術を応用して、いろんな他社さん、会社さんとのコラボレーションしながら、この技術がゴールドスタンダードとなるように広めていきたいと思っています。以上です。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  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

## 質疑応答

---

**司会 [M]**：それではこれより質疑応答に移ります。最初にアナリストの皆様、その後にメディアの皆様からのご質問をお受けいたします。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、何か挙手を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。橋口様、お願いいたします。

**橋口 [Q]**：大和証券、橋口です。よろしく申し上げます。芦田会長の冒頭のお話の中で、JR-141の導出の交渉が順調に進んでいるというお話があったかと思えます。現時点の進捗がどの程度で、御社としてはどういったタイミングで合意を目指されているのかっていうのを教えていただけないでしょうか。

既にフェーズ3試験が進捗していて、販売は少し先だと思えますので、あまり急ぐ必要もないのかなとも思っています。一方で、どちらかというところ JR-171 のほうが、次に進むという意味では早く決める必要があるようにも思うんですけど、JR-171 の導出交渉の状況については先ほどお話がなかったと思えます。こちらの状況もあわせてアップデートいただければと思えます。

**伊藤 [A]**：では伊藤からご回答申し上げます。最初の JR-141 の導出についてでございますけども、こちらは話し合いを進めているというところでございます。ただ、今の時点ではいつ頃これが契約に至るのかとか、そういったことについてはお話しするにはまだ時期早尚かなと思っておりますが、できるだけ早く良い知らせをお届けできるようにしたいと考えております。

次に JR-171 でございますが、これも交渉自体はいくつかの会社とは話をしております、興味を持っていただいている会社はございます。ただ、これについては前回はそうだったんですけども、特に今回改めて何か申し上げるようなものはないというのが現状でございます。以上でございます。

**橋口 [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を村岡様、お願いいたします。

**村岡 [Q]**：モルガン・スタンレー、村岡です。業績ですけれども、今回契約金をほぼほぼ達成して、営業利益も年間計画 26 億円をほぼ達成して、このままいくとサードクォーター・フォースクォーターはどう考えればいいんですかって話で。ブレイクイーブン、ブレイクイーブンでいかないと年間の利益達成が難しいんですが、契約金がほぼほぼ残りが少ないとなると、サードクォータ

---

### サポート

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

一・フォースクォーターは赤字の蓋然性が高いと思うんですが。サードクォーター・フォースクォーターをどう僕らが考えるべきなのかガイドしていただくと助かります。

**伊藤 [A]**：伊藤からお答えいたします。それにつきましては、おっしゃるように契約金収入も予算55億円ですので、50億円ということで順調に進捗しているということでございます。

営業利益につきましてもおっしゃるとおりでございます。今、第3四半期・第4四半期具体的にどうなるかということは申し上げることはできませんけれども、通期の目標について今回特に修正をしているということはないので、この達成に向けて着々と進めていくということかと思えます。

ただ一方、製品の売上につきましては、上期は堅調に推移しておりますので、こちら下期に同じような進捗を示せば、利益につきましても上方に持っていくことができるのではないかと考えています。

**村岡 [Q]**：ありがとうございます。契約金、対予算という意味ではあと5億円残ってはいらっしゃるんですが、この残り5億円の部分っていうのはかなり読んでいる数字だった、確かそういう構成で作っていたと思うんですが、そういう理解でよろしいでしょうか。できればどのタイミングでサードクォーターなのか、フォースクォーターなのか、教えていただくと助かるんですが。

**伊藤 [A]**：契約金につきましては前回あるいは前々回の説明会でも申し上げましたように、我々として計上できるだろうと、固い見込みだということで予算を作っております。

そういう意味では、ちょっと今、タイミングがいつということも申し上げることはできませんけれども、あと半年のうちに契約金収入を達成したいと考えています。

**村岡 [Q]**：ありがとうございます。すみません、JUST-AAVを1個だけちょっと。僕、勉強不足すぎるんですけど、これ、脳に届ける場合、筋肉に届ける場合、このタグの部分ってトランスフェリンじゃなくて全然違うモレキュール使うんですか。それともトランスフェリンに工夫を加えるんでしょうか。すみません、全く基礎的なことが分かってない質問ですが。

**藺田 [A]**：ありがとうございます、藺田です。私からお答えします。学会でこの間発表したところで、勉強不足でもないと思います。

CNSへのターゲットはトランスフェリン受容体で十分なのですが、筋へのターゲットはまだ公表していないのですが、新たなターゲットを見いだしまして、それを今使っております。以上が回答になります。

---

## サポート

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

**村岡 [Q]**：分かりました。これは特許を調べたら分かりますか。

**藺田 [A]**：はい。特許がオープンになった段階ではもちろんそこに書いていますが、まだオープンになってないと思います。

**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を前田様お願いいたします。

**前田 [Q]**：お世話になっております、野村證券の前田です。まず1点目が、サンバイオとの契約の状況について伺いたいですけれども。今は製造委受託契約を結んだ状態ですかね、まだ本契約ではなかったと記憶しているんですけれども、この話が進展するタイミングについて現時点でどうお考えなのか教えてください。

**伊藤 [A]**：こちらについても伊藤よりご回答いたします。サンバイオさんとの間では、試製造の契約を結びまして、今それにつきまして我々のところでしっかりと製造できるかどうかということを確認して進めているという状況でございます。

これがうまくいくということになりましたら、商用生産の委受託の契約を結んで具体的に製造すると。ただ、その場合には、サンバイオさんにとりましては製造場所の追加ということになりますので、一変申請が必要になるということございまして、まだその商用生産の契約がいつになるかということは今、現段階では申し上げることはできませんが、試製造の契約につきまして、それを着々と進めている状況ということでございます。

**前田 [Q]**：分かりました、ありがとうございます。もう1点が、バイオシミラーについてです。直近中医協でバイオ先行品に対してもG1・G2ルールを適用するという話がちょっと出てきているかなと思うんですけれども、御社のバイオシミラーの数量、あるいは価格に与える影響っていうのを、今後どういう形で出てくると考えるのか。現時点でのお考えを伺えればと思います。

**伊藤 [A]**：私からお答えいたします。今、我々に対してどのような影響があるかは即答できない状態ですが、我々のバイオシミラーに対して直近、状況の変化があるとすれば、この薬価の話ではありませんけれども、中外製薬さんがエポジンの（一部の規格について）製造を中止されるという発表をされまして、その影響がどう出るかということでございます。我々のエポエチンアルファのほうも需要が高まるのではないかなというような想定もできますし、また、ダルベポエチンアルファにも影響があるのではないかと考えているというところでございます。

**前田 [M]**：ありがとうございます。私からは以上です。

---

## サポート

日本 050-5212-7790  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.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を酒井様、お願いいたします。

**酒井 [Q]**：UBS の酒井です。契約金のところでしつこくて申し訳ないんですがクリアにしたいんですけども。

このアレクシオンとの契約金、アップフロントは今期、既に予算化されていたということで、これが入金というか計上されたというのがこの第2クォーターまでの推移だと思います。そうすると今後、第3・第4クォーターでどうなるかっていうのはおっしゃらないと思うんですけども、少なくともJR-171と、それからアキュメンとJ-Brain Cargoのライセンスオプション契約っていうのを結んでいると思います。この部分についてはオプション契約がいつ施行されるかっていうところにもよると思いますが、JR-171を含めて今期の予算にはもう入っていないという理解でよろしいんですね。

**伊藤 [A]**：今のご質問につきましても伊藤からご回答申し上げます。JR-171については今回、予算には入っておりません。またアキュメンとのオプション契約で、これが行使された場合にどうなるかということですが、これにつきましても今期の予算には含めておりません。

**酒井 [Q]**：オプション契約ということで開示されているわけですが、そうするとこれがいつ施行されるかということでいくと、時間軸みたいなものをある程度設定されているんですか。

**伊藤 [A]**：はい。それについて今回言及することはできませんけれども、想定はしております。

**酒井 [Q]**：分かりました。その上で予算化してないというお答えですね。

**伊藤 [A]**：そうです。

**酒井 [M]**：分かりました、どうも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を、山木田様お願いいたします。

**山木田 [Q]**：ジェフリーズ証券の山木田でございます。まず1点目、イズカーゴについてです。投与累計の症例数は今回、クォーター・オン・クォーターで横ばいだったかと思いますが、去年、投与時間の短縮があってそこから加速していきだろろうという話があって、その影響っていうのは一旦一巡したと見てもいいんでしょうか。

**芦田透 [A]**：ご質問ありがとうございます。投与時間の短縮については一巡というか、今期も投与時間の短縮の影響というのは非常にプラスに現れていると考えております。

---

## サポート

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



上期につきましては、新規で診断がついた患者様が2例、それから他剤からの切り替えの症例が4例ということで、6例が上期で投与されておりますので、非常に順調に推移していると考えております。

**山木田 [Q]**：分かりました、ありがとうございます。1Q 増えたところからセカンドクォーターで横ばいだった要因は何かありますか。

**芦田透 [A]**：そちらにつきましては、既存の投与いただいている患者さんをしっかりとフォローしていくことと、若干上期に我々の想定よりも患者さんの投与が早かったというところはございますので、しっかりと今期の予算、見通しを完了させていきたいと考えております。

**山木田 [Q]**：分かりました、ありがとうございます。2点目、研究開発費についてです。海外の臨床試験の進捗で増えている、想定線どおりということだったとは思いますが、何かこれ一時要因って入っていますでしょうか。要は3Q・4Qに入らないもの。例えば在庫がちょっと増えたとさっきおっしゃっていましたが、一時的にあの製造費用がかかったであったり、そういった要因があれば教えてください。

**伊藤 [A]**：ご質問ありがとうございます。研究開発費につきましてのご質問でございますけど、今おっしゃったような一時的に増えた要因というようなことは上期にはありませんでした。

**山木田 [M]**：分かりました、ありがとうございます。私からは以上です。

**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を、前田様よろしく願いたします。

**前田 [Q]**：2回目当てていただいてありがとうございます。JUST-AAV のところで、筋細胞に届けるようなそういったターゲットを新たに見つけられたということなんですけれども、これは心筋とそれ以外の筋肉っていうのを分けて送達することは可能なんですか。

**藪田 [A]**：藪田がお答えします。現時点ではこれを分けることはできないです。分けたいというニーズのもとにやれば、分けられるようなターゲットを探すことは可能かなと思いますが、現時点では心筋も含めた筋へのターゲット技術ということで作ってきましたので、現時点で今日お話したのものに関しては、心筋に関しても骨格筋に関しても同レベルで分布していくというデータになっています。

**前田 [Q]**：なるほど。実際、ライセンス交渉をする相手が求める条件っていうのは、別に心臓特異的でなくてもいいという形なんですか。

---

## サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasias.com

**藺田 [A]**：それはケースバイケースですね。心筋に届けたいというニーズがもちろんあります。ただそのときに、骨格筋には行ってほしくないということがあれば、心筋オンリーのものというのを目指す必要があるかなと思います。心筋に行きたいというケースはもちろんあるのですが、骨格筋には行ってほしくない、心筋だけに行ってほしいというのはあまり今のところないかなと思っています。

**前田 [M]**：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した。では、メディアの皆様も含めましてご参加の皆様、ご質問いかがでしょうか。それでは横田様、よろしくお願いいたします。

**横田 [Q]**：神戸新聞、横田と申します。よろしくお願いいたします。芦田会長に2点お伺いいたします。1点は、高市政権が誕生いたしまして、積極財政の政策であったり、あと緩和的な金融政策というところが特に掲げられています。この辺りの、御社の事業にも影響する部分があれば教えてください。

2点目は、最近また日経平均の株価が非常に上がっているんですけども、何かその辺りの関連で、株主還元策で何かお考えになっているようなことがありましたらよろしくお願いいたします。

**芦田信 [A]**：高市政権ができて、まだよく方向が分かりませんので、今どんな政策が出てくるかというのを見ておるところです。それと株価については我々の株について言うと、なかなか動きが悪くて、もう少し我々の JR-141、先ほど出ました JR-171、それから他社との協業というか我々の技術を使ったものが契約できてくると、株価に大変インパクトがあるんじゃないかなと思っています。

**横田 [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を山地様、よろしくお願いいたします。

**山地 [Q]**：ありがとうございます、日経バイオテクの山地と申します。JUST-AAV についてお伺いします。二重標的型の JUST-AAV なんですけども、資料の 17 ページのところで、ライソゾーム病や神経変性疾患に向けてこれから実用化されていくご意向だとは存じているんですけども。実際に複数の臓器に遺伝子を送達できるというのは必要なのでしょうか。医薬品の薬効をもっと高めることができるのかというのがちょっと不思議なんですけれども。二重にする意義というのを一度ご説明いただけますでしょうか。

---

## サポート

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



**藺田 [A]**：藺田から説明したいと思います。これは疾患によりけりですね。例えば今回、我々がお示した二重特異性は、脳を含めた CNS と筋肉です。普通に考えると脳と筋肉なので、神経筋領域の疾患、そこであれば神経系と筋肉と両方にターゲットして、そこに遺伝子を届けることによって、足りないものを増やしたり多すぎるものを減らしたりと。こういったことをすることで、疾患が治る可能性があるかないかという話になりますが、こういった疾患はたくさんあります。

脳だけをターゲットすれば治る疾患、もしくは筋だけを治せば治る疾患、もちろんありますけれども、意外と神経と筋肉ってというのはつながっていますので、どちらもターゲットすることで有効な治療法ができる可能性は大いにありますし、二重特異型にすることでカバーできる疾患領域が大きく広がると考えています。

お話ししたように、今回はまず脳と筋肉のところをお示しましたけれども、こういったデザイン性があるというのが今日お示したかったことですし、そこに我々のアドバンテージがあると考えています。

それを使える疾患がどれなのかという質問に対して、これに対してはこの疾患でというような、そういった説明を具体的なマウスモデル等を使って、今後説明していければ、より理解していただけるのかなと思います。実際には研究レベルではそういったことのトライアルもしていますので、どこかで今ご質問いただいたことに対して、実際にこういった例があってこれぐらい良くなるんですよというようなものをお示していけるといいなと思います。

**山地 [Q]**：ありがとうございます、もう 1 点追加でお伺いしたいんですけれども、この bispecific の JUST-AAV を用いてこれから御社で、例えば新しく開発されたい標的の疾患などございますでしょうか。

**藺田 [A]**：もちろんあります。ただ、そこは我々の戦略的なところでもありますので、今ここでこの疾患ですと申し上げることはできませんが、外部と一緒にコラボレーションしてやるべき疾患、もしくは我々が取り組むべき疾患、そういったものをきっちりに見極めてやっていきたいというふうに思っていますし、ご質問に対してはイエスです。もちろんありますという答えになります。

**山地 [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。その他ご質問はいかがでしょうか。ご質問がないようでしたら、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 2026 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。

---

## サポート

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



[了]

---

### 脚注

1. 音声不明瞭な箇所については[音声不明瞭]と記載
2. 会話は[Q]は質問、[A]は回答、[M]はそのどちらでもない場合を示す
3. 本トランスクリプトは企業の同時通訳音源を書き起こした内容を含む
4. \*は企業の同時通訳の書き起こしを示す

---

### サポート

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