



2018年6月7日

**JCR ファーマ株式会社**  
**2018年3月期 決算説明会 主な質疑応答（要約）**

**Q1.** ライソゾーム病の薬剤開発における他社との差別化について、分析技術やノックアウトマウス（以下、「KO マウス」）の話があったが、KO マウスを持っている事は他社より有利なのか。

**A1.** 薬剤の効果を判定するには、KO マウスを使用して基質減少効果を評価するのがベストであり、その測定系などの確立も併せて必要となる。また、KO マウスの作製や解析には相当な時間を要する場合がある。ライソゾーム病は希少疾患であり、基質測定法が一般的でないケースが多いため、自社で一から測定系を構築する必要がある。当社は元々ライソゾーム病の研究基盤があり、そのような測定系構築のノウハウがある。さらに KO マウスを既に 12 種作製済みである。BBB 通過技術をライソゾーム病に応用しようとしている企業は他にもあるが、当社が最もライソゾーム病における経験値が高く、他社より有利であると考えている。

**Q2.** JCR は分析技術の面で優れているということか。

**A2.** 分析技術のみというわけではない。当社の戦略として、研究の初期段階から KO マウスを用いた実験を行い、薬剤のスクリーニングやその後の開発計画を立てている。それには KO マウスに加えて薬剤や基質を高感度に測定する技術が必要で、それをベースに基礎的な研究開発が進んでいる。脳への移行性のみでは無く、脳を含めた各臓器での薬効が重要で、その実験結果により開発スピードや判断ポイントが変わってくるため、KO マウスを必要になってから作製するのではなく、スタート地点から使用できることが重要である。

**Q3.** J-Brain Cargo のグローバル展開について、ライセンス活動は具体的になっているのか。また、今期中にパートナーを決められる可能性はあるのか。

**A3.** 既に数社から問合せが来ているが、当社の希望としては、今後の海外での臨床試験と販売を行ってもらい、製品名に「JCR」という名前を残すことができる相手先を考えている。パートナー先に関しては、それぞれのメリットデメリットを考えながら検討を行っており、できれば今期中に決めたい。

**Q4.** JR-051（ファブリー病治療酵素製剤）は今期承認、上市の予定だと思うが、今期の業績予想に反映されているか。

**A4.** 売上予想の「その他」の中に含んでいる。ただし、「その他」の前期比増加額の全額ではない。

**Q5.** 米国での開発タイムラインについて、FDA（アメリカ食品医薬品局）への協議はこれから始まるとのことだが、具体的なスケジュールは決まっているのか。また、開発タイムラインが固まることがパートナーリング決定の条件になるのか。

A5. 現在、JCR USA, Inc.と連携しながら FDA との協議準備を進めている。今後開始するブラジルでの第 II 相試験の試験期間は 26 週間（6 か月）であり、開始後約 1 年でデータが得られると予想している。ブラジルでの第 II 相試験データと、日本で開始する第 III 相試験データを用いて FDA と協議し、次相の臨床試験デザインを決定したい。パートナーリングについては並行して検討中である。

Q6. テムセル HS 注の今期の売上予想（18.6 億円）について、昨年下期から取扱い可能施設を拡大した結果、昨年下期だけで売上が 9.5 億円ある。これを単純に 2 倍にしても今期 19 億円超となり、普及の進捗を含めると予想はもう少し上にしても良いのではないかと思っている。まだ普及途中であり、今後も取扱い施設数は増えていくと認識しているのか。

A6. テムセル HS 注については、昨年 10 月に取扱い可能施設数を拡大したが、適応疾患である GVHD（移植片対宿主病）は発生の予測が非常に難しいため、売上予想は保守的な数値としている。テムセルの取扱い施設について引き続き手続きを進めているが、再生医療等製品を初めて取扱う医療機関ではインフラ整備に時間がかかる。準備が整い、スムーズな治療が進展することにより、テムセル HS 注の売上予想の数値は達成可能と考えている。

Q7. JR-141（血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤）に関して、ブラジルでの第 II 相試験は 26 週であるのに対して、日本での第 III 相試験は 52 週で試験期間が長い。また投与量は日本での第 I/II 相試験と比較して、ブラジルでの第 II 相試験は高用量で治験を行うようだが、日本での第 III 相試験での投与量はどのぐらいになるのか。また、バイオマーカーだけで承認を期待していると思うが、何か条件があるのか。

もし、ブラジルにおける 26 週経過の結果が非常に良かった場合、日本で 52 週まで見る必要があるのか。

A7. 日本での第 III 相試験デザインは概ね固まり、治験届のレビューを待っている状況である（6 月 1 日に治験届受理済）。デザインの概要は、用量が 2mg/kg、試験期間が 52 週間（1 年間）、主要評価項目は脳脊髄中のへパラン硫酸のバイオマーカーであり、医薬品医療機器総合機構（PMDA）と合意済み。へパラン硫酸の減少率に加えて、副次的評価項目として様々な臨床の認知機能も評価した上で、総合的に判断する。

PMDA より、第 III 相試験における 52 週間の評価データを申請資料として提出するよう求められているため、ブラジルでの試験結果が非常に良好であった場合でも、試験期間が大きく変わることはない。

Q8. 今期の契約金収入予想（27.5 億円）の中に、J-Brain Cargo の新たなライセンスは含まれるのか。

A8. 一部計画に織込んでいます。J-Brain Cargo を利用したライソゾーム病の展開として、1 疾患毎にライセンス契約を締結するのは非常に煩雑になるので、当社が取り組んでいる各種ライソゾーム病の全てにつき、話を進めていきたいと考えています。

Q9. 製品の原価率について、グロウジェクトは液状製剤への切り替えの進捗で原価率が改善したとのことだが、原価率改善が一巡する目途はいつ頃の予定か。また、テムセル HS 注は、前期は数量増により原価が下がったとのことだが、まだ原価改善の余地があるのか。

A9. グロウジェクトの液状製剤への切り替えについては、2017年1月の発売から1年強で、凍結乾燥製剤が約70%、液状製剤が約30%となった。当期は、概ね50%ずつになるのではないかと考えている。液状製剤への切り替えは、概ね予想通りの進捗である。

テムセル HS 注の原価率は製造数量の影響を大きく受けるため、数量の増加により、さらに原価率の改善が期待される。ただし、前期は、数量増加の影響に加え、生産部門の様々な努力により原価率は20%弱改善した。今後、前期と同レベルでの原価率改善は難しいと思うが、引き続き販売数量増加に伴う原価率改善は期待できる。

Q10. ライソゾーム病全てのライセンスを考えており、「JCR」の名前が残るようにというコメントに対して、全てをパートナー先へ渡す事は考えていないと思うが、主導権をある程度パートナーへ渡すのは仕方ないと考えているのか。また、JR-141 だけ単独で交渉することはないのか。

A10. 当社が全てグローバルで臨床試験を行える力はないので、資金面や人の面もある程度サポートをしてもらえるようなパートナーと組んでいきたい。また、JR-141 だけ単独で交渉するのは、かえって困難を伴うと思う。相手も多品目の開発を希望するだろうし、ハンター症候群 (JR-141) とハーラー症候群 (JR-171) を異なるパートナーと開発することや、1疾患毎に契約するのは効率的ではない。

Q11. 5月18日にニュースリリースされたグロウジェクトの効能追加である SHOX 異常症は、どのような疾患で、患者はどのぐらいなのか。また、成長ホルモン市場でどのくらい満たされていないニーズなのか。

A11. SHOX は発達過程で成長に関わる遺伝子 Short Stature Homeobox Containing Gene の略で、SHOX 異常症は低身長が主な症状である。低身長の原因となる特発性低身長 (ISS) と呼ばれる疾患の一部は SHOX 遺伝子の異常が原因とされている。患者数の推定は難しいが、100万人出生として、治療対象は約500人/年と推定される。低身長の原因が明確で成長ホルモン治療が可能であるため、当社は成長ホルモン事業の一環として適応拡大を決定した。

Q12. 来年度 (2019年度) が中期経営計画の最終年度であるが、営業利益 50億円の目標に対して、今期予想は43億円と目標に近い数値を予想している。現段階で、この目標数値の達成確度についての考えを聞かせて欲しい。

A12. 公表している目標数値は上回りたいとは思っている。今期 JR-051 が上市予定で、今期の売上への寄与は若干だが、来期は通期で寄与してくる。また現在開発中の品目も順調に進捗している点から、来期の売上への寄与が期待できる。グロウジェクト、エポエチンアルファ BS 注 JCR およびテムセル HS 注の販売も順調に進展しており、目標数値を達成できると考えている。

Q13. JR-141 の評価項目について、ヘパラン硫酸が治験の評価項目となる有力なバイオマーカーになるという話で、100%完璧ではないというコメントもあったと思うが、ヘパラン硫酸に変わるような別のバイオマーカーの候補は見つかっているのか。

A13. ヘパラン硫酸が直接中枢神経に悪影響を及ぼしているのではなく、それがある物質に働いて、別の物質が蓄積し、それが神経細胞に悪影響を及ぼしていることが既に報告されている。他のバイオマーカーを測定することも一つの選択肢だが、測定系を再構築するのは非常に大変な作業である。測定しても、ヘパラン硫酸と同じ挙動を示すのであれば、測定する意義は薄れ、バイオマーカーである以上の何ものでもない可能性がある。当社は現時点で、ヘパラン硫酸は酵素が欠損して蓄積する直接的なものであり、ヘパラン硫酸を測定するのが妥当であると考えている。

**【注意事項】**

本資料に記載の内容は、フェアディスクローズの観点から、JCR ファーマ株式会社 2018 年 3 月期決算説明会の質疑をもとに、当社の文責により趣旨を要約（順序不同・補足・補正）したものであり、その情報の正確性・完全性を保証するものではなく、今後予告なく変更される可能性があります。なお、本資料に記載されている業績見通しや将来予測などに関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績は経済情勢等、様々な不確定要因により、これらの予測数値と異なる場合があります。