



2018年11月19日

JCR ファーマ株式会社
2019年3月期 中間決算説明会 主な質疑応答（要約）

Q1. JR-141をはじめとするグローバルでの製品導出について、前回5月の決算説明会では、今年度下期に契約金収入を見込んでいるとの事だったが、タイミングはこれに変わりはないか。また、ライセンス契約の締結が来期になった場合、今期の業績予想への影響はないのか。

A1. グローバルでの製品導出のライセンス契約が来期になったとしても、今期の業績予想を達成できると考える。JR-141は、日本では現在臨床第Ⅲ相試験、ブラジルでは臨床第Ⅱ相試験を行っており、来年2月頃には日本およびブラジルの試験の速報結果が出てくる予定である。今期中に急いで契約を締結するのではなく、臨床試験の結果を踏まえ十分検討し決定したい。また、長期的・継続的に収益を得る様な契約を目指している。

Q2. グローバルでの製品導出について、それほど急がないとの事だが、欧米での臨床開発にどのような影響を与え得るのか。

A2. 現在、様々な企業と協議を行っているが、どの企業を選択するのが当社にとって最適かについては、経済的条件も含めて様々な要素から検討しているため、多少時間がかかっている。ただし、契約締結の時期によって、欧米での臨床試験スケジュールに影響を及ぼす事はない。

Q3. JR-141の臨床試験について、来年2月頃に速報結果が出るとの事だが、ブラジルは半年間、日本は1年の観察期間だと思うが、こういった結果がわかるのか。

A3. 日本では6ヶ月の段階で被験者の評価を行うため、来年2月頃には一部の被験者の6ヶ月の結果が出ると思う。ただし、それらの結果を公表するかは未定である。

Q4. 将来的に米国等で販売機能を持つという考えはあるのか。

A4. パートナーを組む必要があると考えているが、現在、JCRが開発しているライソゾーム病15疾患の中でも、患者数が世界で100~200名と非常に稀な疾患（フコシドーシス、マンノシドーシスなど）に関しては、JCR単独でグローバルに販売する事も可能であると考えます。

Q5. グローバルでの製品導出が決定した場合、欧米で臨床試験を開始すると思うが、その際の製造はどこで行うのか。

A5. 初めは、神戸の西神地区の自社工場で製造を行う予定である。また、来年度には神戸に第二治験薬製造センターの建設着工を予定しており、グローバル試験で使用する治験薬の製造は、これらの施設で対応可能である。ただし、日本は地震による災害が多いため、グローバル展開に向けて、海外に

も拠点も持つ必要がある考え、2022年頃の稼働を目指してルクセンブルク大公国での工場建設も進めている。

Q6. JR-162 (J-Brain Cargo 適用ポンペ病治療酵素製剤) の開発の優先順位について、JR-441 (血液脳関門通過型サンフィリッポ症候群 A 型治療酵素製剤) の後になる理由は、現在開発中の企業が多く競合状況によるものか。それとも技術的な理由か。

A6. 競争が激しいということはあるが、それは他の品目も同様である。JR-162 の開発は進めていないわけではない。既存のポンペ病治療酵素製剤は薬剤の投与量が 20mg/kg で、他のライソゾーム病と比べて 10~20 倍の投与量である。多い投与量に対応するには大量に製造する必要があり、非臨床段階での毒性試験でも大量のサンプルが必要となる。こういった点を加味して開発の優先順位を決めている。JR-162 はよく効く薬だと考えており、現在他社が開発しているものは第二世代と呼ばれている物だが、JR-162 は第三世代であると認識している。現在の競合状況は、第二世代のもので開発が進んでいる中で、JR-162 には少し時間的猶予があると考えている。JCR では JR-162 以外の開発も進めている中で全てを並行して進行させる事は難しいので、優先順位を付けて開発に取り組んでいる。

Q7. 遺伝子治療に関して、他社と同じレベルでの技術確立なのか、それとも他社に対して差別化し高度な技術を確立できそうなのか、どのくらいのレベルで研究開発が進んでいるのか。

A7. 遺伝子治療は、今後、アデノ随伴ウイルス (AAV) とレンチウイルスのどちらかになっていくと考えている。JCR は現在 AAV に注力しているが、様々な企業が新しい AAV についての研究を進めている。事業化に直接的に関係してくるのは AAV の製造で、各企業にとってハードルが高いところである。これを解決しないと AAV の事業化は難しい。JCR は他社よりも蛋白や細胞治療に関するノウハウを蓄積し、長けているので、JCR の独自技術を使い、製造のボトルネックを打破できるのではないかと思う。JCR は、より性能を伸ばした AAV を作ることも研究しているが、まずは、製造に関する技術の研究を重点的に行っている。

Q8. 遺伝子治療の製造技術の確立は、アカデミア等と共同研究を行っているのか。

A8. 製造技術の研究については、JCR だけで行っている。

Q9. JCR の取組んでいる遺伝子治療技術は、J-Brain Cargo のような新たな独自技術になると理解しているが、外部発表を行える段階までできているのか。

A9. はっきりとした時期は明言できないが、近い将来、JCR の遺伝子治療に関する考え方や戦略をお伝えしたいと考えている。

Q10. 現在開発を進めている遺伝子治療技術が確立した際には、グローバル展開を視野に入れたアライアンスを積極的に行っていくのか。

A10. 遺伝子治療の開発そのものが目的ではなく、現在の治療手段では解決できず遺伝子治療でしか

治療できない疾患をベースに遺伝子治療の開発を行っていく。適応として大きなところから開発を進めていく考えはない。J-Brain Cargo も同じであるが、疾患ベースでの開発を行っている。

Q11. 遺伝子治療を研究できる人材は、蛋白や細胞治療を行っている人ができるのか。それともスペシャリストを採用するのか。また、製造設備は現状のまま対応できるのか。

A11. JCR は、社内の研究者をスペシャリストに育てることを得意としているため、もともと遺伝子治療を行っていない研究者についても既にスペシャリストだと認識している。製造面については、ウイルスということもあり、これを細胞医薬や蛋白を扱っている既存の設備に持ち込むことは出来ない。よって今後新たに製造施設を設置する必要があるが、その際のレイアウトやノウハウは細胞や蛋白でこれまで培ってきたものを活用できると考えている。

Q12. 蛋白や細胞治療、そして遺伝子治療に関しても自社技術を持っている会社は少ないと思うが、これらの治療手段があった際に、JCR 自社内で行っていく事と他社と共同で行っていく事の方について教えて欲しい。

A12. JCR にはものづくりに関してのノウハウがあるため、ものづくりは自社で行った方が良いと思う。希少疾患であればあるほど臨床開発はグローバルで行う必要がある。その場合には、より豊富な経験があり、ノウハウを持っている他社とパートナーを組めたらベストだと考えている。現在、細胞治療に関しても患者数の多い疾患は帝人株式会社と共同開発を行っており、J-Brain Cargo も同様であり、遺伝子治療についても同じ戦略で進めていくと思う。

Q13. ファブリー病治療酵素製剤の市場規模 240 億円は、先発品 2 剤を合わせた市場規模か。また、11 月の薬価収載を目指しているのか。本製剤は公費助成の対象になると思うが、先発品からの切り替えが進むのか、協業する株式会社メディパルホールディングスとはどのような訴求点をもって市場に参入していくのか。

A13. 市場規模 240 億円というのは先発品 2 剤合わせた市場規模であり、11 月の薬価収載を予定している。また、本剤の公費助成はあるが、ファブリー病の治療薬は一人当たり年間約 1,000 万円かかる場合もある。病院によっては 1 年間の病院全体の薬剤費が決められている場合もあるため、経済的な面での訴求ができるのではないかと考えている。

Q14. グロウジェクトの売上が伸びている理由は何か。

A14. 従前 JCR は、成長ホルモン製剤市場において基幹病院より開業医のシェアが高い。ここ数年基幹病院への営業活動を積極的に行ってきた結果、売上が伸びている。

Q15. JR-142 (持続型成長ホルモン製剤) について、現在競合他社でも臨床第Ⅲ相試験を行っている中で、JCR は持続型製剤を守りのプロジェクトとして認識しているのか、それとも積極的に進めていくのか、開発についての考え方を教えて欲しい。また、持続型は成人では普及する可能性があるが、小児となると毎日投与型に戻ってくるのか。

A15. 将来、持続型製剤をメインで販売していくことは考えていない。持続型を投与した場合、投与開始後1～2年目は身長は伸びるだろうが、その後伸びが鈍化してくる可能性があり、毎日投与の方が長期間での投与を考えると身長は伸びる可能性があると考えている。持続型の利点もあるが、毎日投与が重要な製剤であると思う。初めに持続型を投与していたとしても、身長の伸びが鈍化すれば毎日投与型に切替える可能性があると考えている。

Q16. テムセル HS 注の投与患者数について、先日開催された株式会社メディopalホールディングスの第2四半期決算説明会資料でも大体十数例/月となり投与患者数が増加している様だが、10月以降も患者登録数が伸長しているという理解で良いか。

A16. 10月以降も伸長している。それは造血幹細胞移植を行っている病院の大部分においてカバーをしてきたことによるものである。

【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 2019年3月期中間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。