

JCRファーマ株式会社
2019年3月期 決算説明会 主な質疑応答（要約）

Q1. JR-141に関して、昨年の決算説明会の際には2018年度中に契約を決めたいという事だったが、まだ決まっていない。なぜ遅れているのか

A1. 自社で出来る範囲については、日本およびブラジルで十分進捗できたと考える。臨床試験が進んでいる程、価値は上がるためそんなに急がなくてもよいと思い、今年度中の契約締結で良いと考える。

Q2. 今年度中にJR-141の交渉が纏まるということだが、ほぼ合意が出来ている状況なのか。今年度中に纏まるという根拠は何か。また、今期の契約金収入計画にはどのように反映されているのか。

A2. 臨床試験が進捗しているため、急いで交渉を纏める必要はないとして、これまで数社と交渉をしてきた。これから本格的に交渉を始めていく。ある程度デューデリジェンスも終わっている部分もあり、最終的な話し合いを始めている段階である。今期の契約金収入計画にはイニシャルペイメントを織り込んでいる。

Q3. JR-141の契約金収入に関し、デューデリジェンスは終わっているが交渉先として数社が残っている状態で、金額はわからないのではないのか。

A3. 当社が想定している金額はある。複数の会社と交渉としているが、秋頃にははっきりするだろうと考えている。

Q4. JR-141のブラジルの治験スケジュールが前回公表した予定より少し遅れたようだが、何か事情があるのか。また、何名のエントリーか。

A4. エントリー完了が当初の予定より1,2か月ずれた。ブラジルの臨床試験では3つの年齢層を設定しており、8歳以上のグループについてエントリーが完了後、安全性を評価してから次の年齢層と進めていたことが原因である。エントリースケジュールのずれは今後の承認申請の予定などには影響しない。目標症例数18名のところ、最終的に20名がエントリーされた。

Q5. JR-141に関し、可能ならば現在実施されている臨床試験で得られたデータを教えてほしい。

A5. ブラジルでの臨床試験はオープン試験であるため個別のデータは順次取得しているが、今回はデータの公開は控える。ブラジルでの臨床試験は2月に被験者のエントリーを完了しており、6カ月の投与ののうち中間解析をおこなうため、データについて説明できるのは次回の決算説明会を開催する11月と考える。学会発表は計画的に行っていく。

Q6. JR-141 に関し、認知障害の改善があれば差別化できるとの事だが、米国での開発の際、FDA との交渉案件となった時、この点は提携協議の話の中で大きな課題となるか？

A6. 今準備を進めている。FDA との交渉を通じてグローバル試験の内容を決めていくが、FDA から中枢神経症状の改善を主要な評価として求められる可能性はある。

Q7. 遺伝子治療は 2021 年度の臨床入りを目指すということだが、ライソゾーム病で膜タンパクにアプローチするものから始めるのか。その場合は、同じようなアプローチをしている競合との差別化はどうかはかっていくのか。

A7. 最初にライソゾーム病の膜タンパクにアプローチするというのはその通りである。ライソゾーム病は数十種類あり、患者数には地域差がある。日本・アジアに多い疾患もあれば、ヨーロッパに多い疾患もあり、ヨーロッパの企業がアジアに多い疾患から取組み始めることはないだろうと考えたことが理由の一つ。このあたりは競合との差別化になると考えている。

Q8. ライソゾーム病リスト (p.10) の中で、膜タンパクに由来する疾患はどれか？また、サイエンティフィックな事実として、どういう疾患があるのか教えてほしい。

A8. リストは全て酵素での開発を予定しており、この中には膜タンパクに由来する疾患はない。JCR が現在研究開発している膜タンパクの疾患は別にある。一般論として、膜タンパクで最も患者さんが多いのはニーマンピック C。日本でも研究されており、患者さんもたくさんおられる。その他、アイセル病や、ムコ多糖症 C 型などたくさんある。

Q9. AAV には特許が絡むと思うが、特許使用料を支払って進めるのか？それとも特許の抵触を避けるのか？

A9. 使用する AAV のセロタイプにより大きく変わる。最も使われているセロタイプは 8 と 9 だが、それらがメインとなる特許は近い将来有効期限が切れる。その周辺特許については、ターゲット疾患や使い方がある程度確定しないと先行特許がどれほど影響するかは不明である。一方、これだけ多くの企業が取組んでいることを考えても、抵触しない手段はあると考えているし、メイン特許が切れるタイミングも把握している。また、JCR の開発のタイミングを考えても大きな問題にならないと考える。

Q10. 酵素補充療法で解決できる課題であれば遺伝子治療があっても酵素補充療法が良く、できないものが遺伝子治療という考えで良いか？

A10. そのような進め方。遺伝子治療は、他社との差別化が必要であり色々と考えながらやっていく必要がある。酵素補充療法の方が安全性もあり、10 年以上のエビデンスの蓄積があるため一番の確実路線である。遺伝子治療は 1 度投与すると終了というのが最大のメリットだが、それに伴う危険性はたくさんある。1 度投与すれば後戻りができない、何か問題が生じた際はもうどうしようもないとい

うことで、誰にでも投与できるものではない。最初から遺伝子治療をやるというリスクなことはおそらくおさくなくと考える。酵素製品が非常に重要で、酵素があつての遺伝子治療という考え方である。

Q11. 遺伝子治療のビジネス化という意味で、自社で進めていくのか他社に導出するのか、今後の方向性は？

A11. 明確なものはないが、酵素と膜タンパクの棲み分けができ、JCRの酵素製剤と重複しない遺伝子治療であれば導出しても良い。ただそうでないケースも十分考えられる。酵素でも効きにくい疾患、効きの悪い酵素があり、そういう場合は遺伝子治療の方が効くかもしれないが、それはやってみなければわからない。その時に我々が開発した酵素にAAVが乗ってくるとなると、やはり自分たちでやりたいと思う。ケースバイケースである。

Q12. 遺伝子治療の臨床試験に必要なボリュームは確保できるというが、スケールアップで商業化という課題は乗り越えているのか。3~4年後に新しいプラントを立てるための数十、数百億円規模の設備投資があると考えなくてよいか。

A12. JCRが研究開発をおこなっている対象疾患は日本で数十人、世界で数百人、多くて数千人。全員に一斉投与はありえず、順番に投与となる。またJCRが対象とする希少疾患は子どもが多い。投与量も体重によって増減するため、あまり多くはならない。数字は公表していないが、我々の製造法ででているタイターを考えると治験薬は簡単にでき、また商業生産でも十分耐えきる製造法である。何万人分の薬を作る場合はそれ位の設備投資が必要かもしれないが、JCRが対象とする希少疾患の人数分のAAVならばあまり多くの投資なしに作れると考えている。

Q13. 今後、JCR独自のJ-Brain Cargo®を使用するのか、ペプチドリーム株式会社と共同研究を行ったキャリアペプチドを使用するのか、ある程度モダリティ別に分類できるのであれば教えて欲しい。

A13. 試行錯誤が必要なものもあり、簡単な振り分けは難しい。低分子化合物に対し、抗体ベースであるJ-Brain Cargo®より、合成可能なキャリアペプチドを選択するだろうというのは一般論として言えること。ただし、実際にはやってみないとわからず、in vitro もしくは in vivo のモデルで確認していく作業が必要だと考えており、一概には言えない。

Q14. キャリアペプチドとJCR独自のJ-Brain Cargo®はどちらの方が使う割合が高いのか。

A14. 自社開発品目の酵素もしくはタンパクに関しては、融合タンパクとして作成可能であるため、従来の抗体ベースのJ-Brain Cargo®が良いと考える。ただし、作成してみても難しければ、キャリアペプチドを使うこともあり得る。まずJCRの持つJ-Brain Cargo®を使用し、難しければキャリアペプチドを使うという考え方。ただそれはタンパクベースに限ったことであり、その他のものがベースであればまた違った考え方となる。

Q15. サンフィリップ症候群A型は既に他社が遺伝子治療をやっているが、JR-441の差別化は？

A15. 他社のプロジェクトはもちろん注視している。AAV は不確実性がかなり残っており、製造はもちろん、毒性という点では投与量を上げれば非常に問題が出てくる可能性がある。JR-141 は CSF のヘパラン硫酸値だけでなく、実際の認知機能が良くなるかが、人に効くかどうかの確認ポイントであって、そこが差別化できるのであれば、BBB を通過しなければ効かないという結論となる。人の経過なのでと 1,2 年待ってみないとわからない。

Q16. 海外の J-Brain Cargo® 関連製品は自社で販売していく考えは今も変わらないか？

A16. 選択肢としてはあるが、まだ何も決めておらず、ライセンス先によって変わると思う。

Q17. 今期の契約金で JR-141 の製品導出に関するイニシャルペイメントを見込んでいるとのことだが、グローバルでの導出か、米国欧州で分ける予定なのか。また JR-141 の導出だけを見込んでいるのか。それとも他の製品のパッケージ導出が前提か。

A17. 個別の内訳は開示できない。基本的にはパッケージを見越しているが相手先との交渉で決めていく段階である。

Q18. 今後の中長期的な研究開発費を考える上で、今後さらに増加するように思うが、どのように見込んでいるか？

A18. 2020 年 3 月期の増加率は非常に大きい。2021 年 3 月期において同様の増加率になるとは予想しておらず、場合によっては、若干の低下も見込まれるかと思う。複数のプロジェクトの進捗を考えた場合、2020 年 3 月期は従来に比べても多額であり、中長期的にも複数のプロジェクトが非常に集中した状態である。ただし、今後低下傾向ではなく、プロジェクトが複数進捗するためには増加はやむを得ないと考えている。

Q19. 研究開発費の今期予想が前期比 20 億円増となっているが、JR-141 のグローバル提携の内容次第によって減る可能性があるのか？

A19. 契約の内容次第で研究開発費が減る可能性はあると思う。

Q20. グロウジェクト®の数量が 2018 年 3 月期比 11%増加したが、数量が増加した要因は？

A20. グロウジェクト®は増収が続いている。もともと JCR は開業医のマーケットでシェアが非常に高く、病院シェアが低いという事で、数年前からプロモーション・マーケティング戦略を練り直し、強みのある開業医はより伸ばしつつ、病院のプロモーションを戦略的に行ってきた。短期的な毎期の施策がその当期の数字に表れるというよりも、病院の場合 2、3 年前からプロモーションをしてきたことが徐々に浸透して相乗効果的に市場への浸透が図られたのではないかと考えている。また、改良を重ねた新型の電動式注入器が差別化にもなっていることが非常に大きいと思う。

Q.21 グロウジェクト®の病院マーケットの拡大余地はまだ残っていると捉えてよいのか？

A.21 まだまだ余地は十分にあると考えている。

Q22. エポエチンアルファ BS 注「JCR」の販売が、コ・プロモーションからキッセイ薬品工業株式会社単独販売となっているが、それによる利益・コストへの影響を教えてください。

A22. コ・プロモーションに関する収入はあったが、収益に与える影響はさほど大きくなかった。そのため、コ・プロモーションでなくなっても当社の収益には大きな影響はないと考えている。

Q23. アガルシダーゼ ベータ BS 点滴静注「JCR」は今期予想 9 億円となっているが、市場の状況を教えてください。また、患者の皆さん、担当医師にとって BS に切り替えるメリットは何か？

A23. 今期の売上目標は達成可能と考えている。本製品には完全無血清培養や国産製品といった製品の訴求性があり、医療経済的なメリットもあると考えている。戦略としては BS ではあるが J C R にとって初めてのライソゾーム病領域への参入のため、今後の足掛かりとしてじっくり処方医・医療関係者の間に浸透させて、日本におけるライソゾーム病領域へのプレゼンスを高めることに重点を置いている。売上は徐々に伸長していくものだと考えている。メリットについて、日本では医療費補助により患者さんの負担が無い場合が多い。医療経済的なメリットは医療機関がメインになると考えている。

【注意事項】

本資料に記載の内容は、フェアディスクロージャの観点から、J C R ファーマ株式会社 2019 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。