



JCR ファーマ株式会社

2020年3月期第2四半期決算説明会

2019年11月6日

イベント概要

[企業名]	JCR ファーマ株式会社	
[イベント種類]	決算説明会	
[イベント名]	2020年3月期第2四半期決算説明会	
[決算期]	2019年度 第2四半期	
[日程]	2019年11月6日	
[ページ数]	37	
[時間]	9:00 - 10:08 (合計：68分、登壇：32分、質疑応答：36分)	
[開催場所]	100-0005 東京都千代田区丸の内 1-7-12 サピアタワー5階 ステーションコンファレンス東京	
[会場面積]	231 m ²	
[出席人数]	100名	
[登壇者]	6名	
	代表取締役会長兼社長	芦田 信 (以下、芦田 信)
	取締役経営戦略担当	芦田 透 (以下、芦田 透)
	執行役員管理本部長	葉口 明宏 (以下、葉口)
	執行役員研究企画本部長	菌田 啓之 (以下、菌田)
	開発本部長	谷澤 和紀 (以下、谷澤)
	管理本部 経理部長	太田 義博 (以下、太田)

[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
	モルガン・スタンレーMUFG証券	織田 翔平
	クレディ・スイス証券	酒井 文義
	みずほ証券	野村 広之進

*質疑応答の中で発言をしたアナリストの中で、SCRIPTS Asia が特定出来たものに限る

登壇

司会：お待たせいたしました。ただ今より、JCR ファーマ株式会社、2020年3月期第2四半期決算説明会を開催いたします。

それでは初めに、本日の出席者を紹介させていただきます。皆様方から向かって左手より、代表取締役会長兼社長、芦田信。

芦田 信：よろしくお願いいたします。

司会：執行役員研究企画本部長、藺田啓之。

藺田：おはようございます。藺田でございます。よろしくお願いいたします。

司会：取締役経営戦略担当、芦田透。

芦田 透：芦田です。よろしくお願いいたします。

司会：開発本部長、谷澤和紀。

谷澤：谷澤でございます。おはようございます。よろしくお願いいたします。

司会：後段、左手より、執行役員管理本部長、葉口明宏。

葉口：葉口でございます。よろしくお願いいたします。

司会：最後に、管理本部経理部長、太田義博でございます。

太田：太田でございます。よろしくお願いいたします。


司会：続きまして、お手元にお配りしております資料の確認をさせていただきます。資料2部とアンケート用紙の合計3点をお配りしております。なお、本日の資料は弊社ホームページに既に掲載しております。

次に、本日の説明会の流れについてご案内いたします。初めに葉口から決算について、次に谷澤から研究開発について、ご説明いたします。そして、最後に芦田からご挨拶をさせていただき、その後、皆様よりご質問をお受けいたしますので、よろしくお願いいたします。

本日は、本説明会の様子を弊社ホームページに掲載する目的で、動画撮影を行っております。あらかじめ、ご了承ください。

それでは、これより決算について、葉口からご説明をさせていただきますので、前方のスクリーンをご覧ください。

葉口：おはようございます。管理本部の葉口です。まず私から、2020年3月期第2四半期の決算概要につきまして、ご報告申し上げます。

 決算ハイライト (第2四半期)

**第2四半期公表予想を
売上高、各利益ともに上回る結果**

(単位：百万円)

	公表予想値 (2019/5/10)	第2四半期 実績	差異
売上高	10,900	11,236	+336 (+3.1%)
営業利益	640	998	+358 (+55.9%)
経常利益	630	981	+351 (+55.7%)
親会社株主に帰属 する四半期純利益	500	922	+422 (+84.4%)

第2四半期
実績
(2020年3月期)

- 主力3製品－グロウジェクト®、エポエチナルファBS注「JCR」、テムセル®HS注－は、いずれも当初予想比増収。特に、テムセル®HS注の伸長により売上高は当初予想で増収。
数量ベースでは、グロウジェクト®およびエポエチナルファBS注「JCR」は当初予想どおり、テムセル®HS注は49.3%当初予想比増加。
- 研究開発費は前期比で大幅に増加したが当初予想どおりであった。
増収効果および販売・一般管理費の抑制により、営業利益、経常利益および親会社株主に帰属する四半期純利益はいずれも当初予想より増益。

資料の1ページからご覧いただけます。ここでは売上高および利益につきまして、当初の公表予想値との比較を表示いたしております。売上高につきましては、当初予想に比べて3.1%増の112億3,000万円。内訳といたしましては、グロウジェクト、エポエチナルファBSおよびテムセルの3品目につきまして、いずれも当初の予想に比べて増収となりましたが、特にテムセルにつきまして、当初予想10億円に対して、結果15億円となりました。このテムセルの伸びによりまして、売上高全体では3億3,000万円の予想比増という結果です。

利益面におきましては、研究開発費は前期比で大幅に増加いたしました。これは当初の予想どおりでした。増益の要因としましては、増収の効果ならびに販売および一般管理費の増加が抑制できたことが大きかったと思います。その結果、営業利益・経常利益ともに当初予想に比べて55%の増益、四半期純利益につきましては84%の増益と、いずれも好調な数字となりました。

(単位：百万円)

連結	2019年3月期 4-9月	2020年3月期4-9月 A		2020年3月期	
			前年同期比	予想 B	対予想進捗率 A/B
売上高	10,275	11,236	9.3%	26,400	42.6%
売上原価	2,995	3,173	5.9%	7,300	43.5%
売上総利益	7,280	8,063	10.8%	19,100	42.2%
販売・一般管理費	3,510	3,809	8.5%	7,630	49.9%
研究開発費	1,824	3,255	78.4%	6,330	51.4%
営業利益	1,945	998	△48.7%	5,140	19.4%
経常利益	2,006	981	△51.1%	5,150	19.0%
親会社株主に帰属する 当期純利益	1,377	922	△33.0%	4,080	22.6%

【ご参考】

共同開発先による負担控除前の 研究開発費	2,407	3,539	47.0%	6,921	51.1%
-------------------------	-------	--------------	-------	-------	-------

続きまして、前年同期との比較をご覧ください。2ページをご覧ください。前年同期比で、売上高は9.3%の増収となりました。内訳につきましては、後ほどご覧ください。売上原価率が1ポイント改善しました結果、売上総利益は前年同期に比べて10.8%、7億8,000万円程度の増益となっております。

ただ、一方で、研究開発費が前期に比べまして14億円、78.4%増加しました結果、営業利益が48.7%、10億円弱の減益という結果となっております。経常利益、四半期純利益につきましても、同様の傾向です。この増収減益は、当初予想どおりの傾向でした。

続きまして、通期の損益の見込みですが、これは当初の予想を据え置いています。変更はございません。利益につきましては、先ほどご覧いただきましたとおり、第2四半期累計におきまして、営業利益・経常利益とも3億5,000万円程度、予想を上回る結果となっておりますが、現状、研究開発、特に研究面におきまして、可能な範囲でのスピードアップを図っております。そのため、来期で計画していた活動の一部を、当期前倒しで実施する計画の見直しも行ってございまして、この研究開発費、年間63億円の予想が上ぶれする可能性も出てきております。そのため、多少の余裕も含みまして、営業利益以下、利益につきましては修正を行っておりません。

以上、損益の概要につきまして、ご覧いただきました。

(単位：百万円)

品目	2019年3月期4-9月		2020年3月期4-9月 A			2020年3月期		参考 2020年3月期 予想 (修正前)
		構成比		構成比	前年同期比	予想 (修正後) B	対予想 進捗率 A/B	
グロウジェクト®	5,845	56.8%	6,235	55.5%	+6.7%	12,580	49.6%	12,580
エポエチナルファ BS注「JCR」	2,166	21.1%	2,272	20.3%	+4.9%	3,900	58.3%	3,410
テムセル®HS注	989	9.6%	1,527	13.6%	+54.3%	2,800	54.5%	2,050
アガルシダーゼ ベータ BS点滴注「JCR」	-	-	123	1.1%	-	450	27.3%	990
尿由来製品	27	0.3%	9	0.1%	△63.5%	1,000	0.9%	1,080
契約金収入	1,054	10.3%	1,002	8.9%	△4.9%	4,200	23.9%	4,200
その他	-	-	26	0.2%	-	1,400	1.9%	2,020
医薬品事業	10,083	98.1%	11,197	99.7%	+11.0%	26,330	42.5%	26,330
医療用 / 研究用 機器事業	192	1.9%	39	0.3%	△79.6%	70	55.7%	70
売上高合計	10,275	100%	11,236	100%	+9.3%	26,400	42.6%	26,400

続きまして、製品別の売上高につきまして、ご覧いただきます。3ページをご覧ください。まず、前年同期との比較ですが、グロウジェクトおよびエポエチナルファ BS につきましては、引き続き、順調に推移いたしました。結果としまして、グロウジェクト 6.7%、エポエチナルファ BS、4.9%、いずれも増収となっております。

テムセルにつきましては、先ほど申し上げたとおり、予想以上の伸長となりまして、前期比 5 億円強、54.3%の増収です。昨年秋に発売いたしましたアガルシダーゼベータ BS につきましては、この上期で 1 億 2,300 万円となっております。契約金収入につきましては、前期実績 10 億 5,000 万円に対して、当期 10 億円。おおむね、同水準で終わっております。

これらの結果、売上高合計としましては、前年同期に比べて 9.3%増の 112 億 3,000 万円という結果です。


次に、通期の予想につきましては、売上高合計の 264 億円は当初の予想の数値と同額です。ただ、製品別には多少の修正を加えておりますので、ご覧いただきます。まず、第 2 四半期累計の結果ならびに現状の動向を踏まえ、テムセルにつきましては、20 億円予想を 28 億円に上方修正、一方、アガルシダーゼベータ BS につきましては、9.9 億円予想を 4.5 億円に下方修正しております。

そのほか、この9月に承認取得いたしましたダルベポエチンアルファ BS につきましては、その他に含んで表示しております。これはネスプの AG の状況を踏まえて、その他合計で 20 億円予想を 14 億円に修正しております。

一方、エポエチンアルファ BS につきましては、34 億円予想を 39 億円に上方修正となっておりますので、ESA 製剤合計では、当初予想とほぼ同水準の見通しとしております。グロウジェクトと契約金収入は、当初の予想の数字を変更しておりません。以上のトータルで 264 億円。これも当初予想の数字そのままです。

以上、売上高の内訳につきましてご覧いただきました。

次のページには、製品別の売上高の推移をグラフ化しておりますので、またご参照いただければと思います。

 財務状態（連結）

(単位：百万円)

	2019年 3月末	2019年 9月末	主な増減		2019年 3月末	2019年 9月末	主な増減
流動資産	27,368	27,635	現預金 +2,176	流動負債	8,684	9,686	短期借入金 +1,350
			売上債権 △2,098				未払法人税等 △229
固定資産	15,147	17,990	たな卸資産 +858	固定負債	2,957	4,663	長期借入金 +1,850
			有価証券 △230				
			繰延税金資産 +363	負債合計	11,642	14,350	+2,707
			有形固定資産 +2,555	純資産合計	30,874	31,276	純利益 +922
			投資有価証券 △301				配当金 △525
合計	42,516	45,626	+3,109	合計	42,516	45,626	+3,109

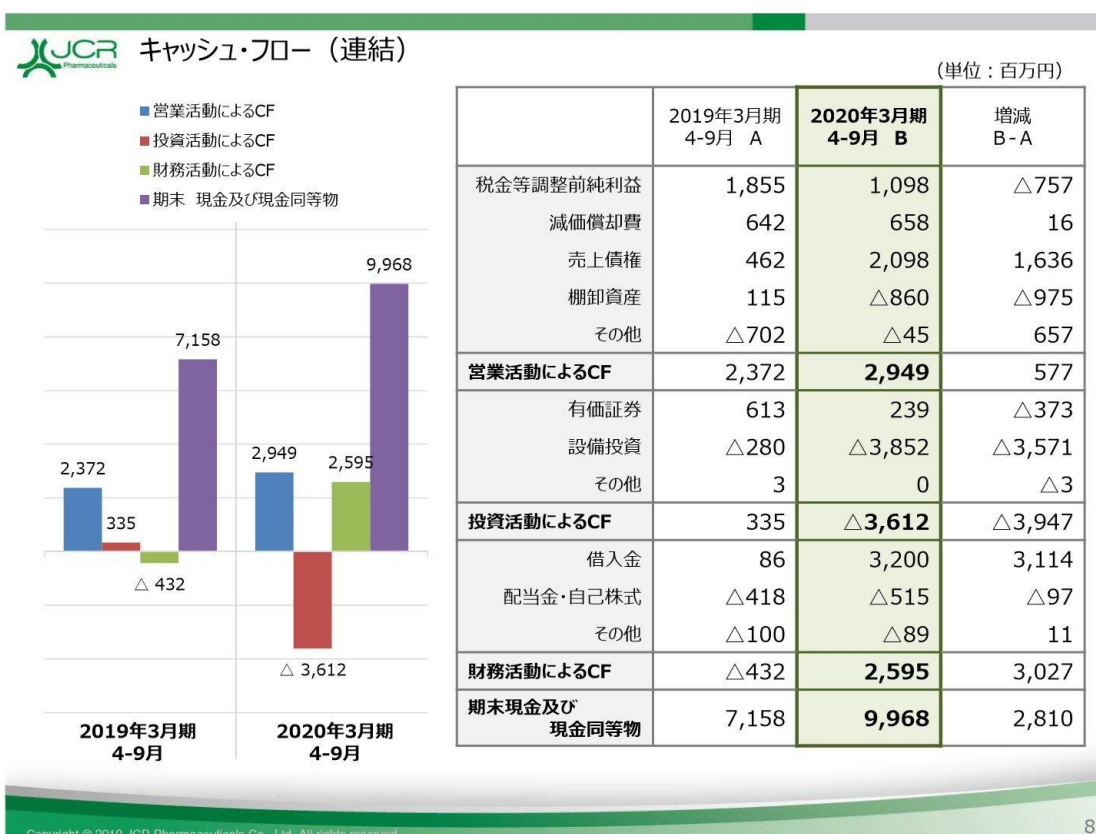
設備投資	1,517	3,376
------	-------	-------

自己資本比率	71.1%	66.9%
--------	-------	-------

1 ページ飛びまして、貸借対照表についてご覧いただきます。6 ページ、お願いいたします。資産合計で、前期末比で 31 億円、増加しております。この主なものは、有形固定資産の 25 億円の増加です。この 25 億円の大半が、本年 6 月にリリースしておりますが、研究施設増強のために既存の研究施設の近隣地に、土地および建物を新たに取得しました。その取得価格が約 23 億円ですの

で、この有形固定資産の増加の大半は、研究施設の増強です。この設備投資に対して、短期借入金、長期借入金合計で 32 億円増加しております。この借入で設備投資に対応したという結果です。

次のページ、資産・純負債についてグラフ化しておりますので、またご参照いただければと思います。



キャッシュ・フローにつきまして、ご覧いただきます。当上期における主な、大きな支出としましては、一つは棚卸資産の増加。これはダルベポエチンアルファの発売を見越した製造に伴う増加です。そして、先ほど申し上げた研究施設の増強、23 億円を含む設備投資に伴う支出が 38 億円、そして配当金支払いが 5 億円強と。これらの支払いに対して、営業活動によるキャッシュ、29 億円と借入金の 32 億円で対応したという結果です。前 3 月末の現金および現金同等物が約 80 億円ですので、上期におきまして約 20 億円、現金同等物等が増加している状況です。



以上、このあとのページはキャッシュ・フローの推移あるいは売上総利益率の推移、原価・経費構成比の推移等をグラフにしておりますので、またご参照いただければ幸いです。

以上、第2四半期の決算概要についてご覧いただきました。私からは以上です。どうもありがとうございました。

司会：続きまして、研究開発について谷澤からご説明させていただきます。

谷澤：皆さん、おはようございます。開発本部の谷澤です。私から、研究開発の進捗についてご説明申し上げます。

本日の内容ですけれども、まずニュースリリースのハイライトのご説明の後に、ライソゾーム病治療薬の研究開発の現状についてご説明申し上げます。最後に、その他の研究開発のパイプラインについてもご説明申し上げます。

開発パイプライン		■ ライソゾーム病	■ その他バイオ医薬品	■ 再生医療等製品	★ 2019年5月の決算説明会より進捗あり	
開発番号	適応症	前臨床	臨床試験	申請	承認	備考
JR-141	ハンター症候群	 	臨床第3相試験 臨床第2相試験			酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-162	ボンバ病	前臨床				酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-171	ハーラー症候群 ハーラー・シャイ症候群 シャイ症候群	前臨床				酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-441	サンフィリップ症候群A型	前臨床				酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
ダルベポエチン アルファ BS注「JCR」 (JR-131)	腎性貧血		製造販売承認取得		★	キッセイ薬品工業(株)と共同開発 バイオ後続品
JR-401X	SHOX異常症における低身長症		臨床第3相試験			グロウジェク® 適応拡大
JR-041	不妊治療		臨床第1/2相試験			あすか製薬(株)に導出
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症		臨床第1相試験			J-MIG System® 採用
JR-031EB	表皮水疱症		製造販売承認申請取り下げ			テムセル®HS注 適応拡大
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症		臨床第1/2相試験		★	テムセル®HS注 適応拡大
JTR-161/ JR-161	急性期脳梗塞		臨床第1/2相試験			帝人(株)と共同開発

こちらはパイプラインになっておりまして、現在、11のプロジェクトが並行で進んでいる状況です。大きく分けると、この緑色になっておりますライソゾーム病の治療薬、これは全てJ-Brain Cargoを適用した構想になります。こちらが、その他のバイオ医薬品の進捗、再生医療等製品という大きな三本柱で開発を進めている現状です。星印が付いておりますのが、今回、進捗が認められたものになります。

JR-142

遺伝子組換え持続型成長ホルモン

適応症

小児成長ホルモン分泌不全性低身長症

独自の改変型アルブミンを融合させることにより

特許出願済

バイオ医薬品の血中半減期を大幅に延長させる技術を開発

● 2019年5月：臨床第1相試験開始

臨床試験概要

- 被験者： 健康な成人男性31人
- 評価項目： 安全性、薬物動態

▶ 全ての被験者での投与が完了し、経過観察中

最初に、JR-142のハイライトについてご説明申し上げます。こちらは遺伝子組換えの持続型成長ホルモン製剤でして、当社独自の改変型アルブミンを用いたものになります。これによりまして、血中半減期を大幅に延長させるという技術です。こちらは、今年の5月に臨床第1相試験を開始しまして、現在のところ、健康成人の男性31名に関して、全て投与が終わっております。経過観察を行っているところですので、この結果をもちまして、次の試験の計画を今、進めている状況です。

JR-031HIE ヒト間葉系幹細胞（テムセル®HS注 適応拡大）**適応症** 新生児低酸素性虚血性脳症

- 原因： 妊娠中または出産時の脳血流の減少による胎児脳への酸素供給不足
- 症状： 運動・精神発達障害および脳性麻痺等の脳神経障害
- 発生率*： 1,000人に2.5人 *当社調べ
- 既存治療： 低体温療法（約半数の患児に効果が認められない）

➡ より有効な治療法が待ち望まれている

● 2019年7月：臨床第1/2相試験開始**▶ 被験者への投与開始、経過観察中**

続きまして、こちらがテムセルの適応拡大になります。新生児低酸素性虚血性脳症、HIE と呼んでおりますけれども、こちらの開発の状況です。この疾患は新生児の仮死というところで、最終的には脳性麻痺につながってしまう非常に重篤な疾患です。有効な治療法は、今現在、待ち望まれている状況でして、テムセルの適応拡大としてこの疾患を選択しまして、現在、7月から試験をスタートしております。既に患者さんへの投与は開始しておりますけれども、まだリクルートが続いておりますので、今後、経過を観察していく状況です。

JR-031EB

ヒト間葉系幹細胞（テムセル®HS注 適応拡大）

適応症 ▶ **表皮水疱症**

- 原因：皮膚基底膜領域における接着構造制御蛋白の遺伝子異常
- 症状：日常生活の軽微な外力で表皮が基底膜レベルで剥離して
全身熱傷様の水疱、潰瘍を形成

▶ リリース文より（一部抜粋）

当社は、同適応症について、本年3月に厚生労働省へ承認申請を行い、当局と協議を重ねてまいりましたが、同適応症に対する有効性をより明確に示す必要性があると当社で判断し、本承認申請を取り下げることいたしました。

表皮水疱症に対する「テムセル®HS 注」の開発については、今後も当局と協議を行い、引き続き検討してまいります。

こちらは9月にニュースリリースを出させていただいた件について、表皮水泡症に対して、テムセルの適応拡大を今、行っているところです。リリースにも記載いたしましたとおり、3月に承認申請を行いましたが、その後、当局との折衝を進める中で、有効性をより明確に示していくことが重要と考えましたので、ここで承認申請を取り下げることとしたということです。

現在、この内容につきまして、PMDAと協議を行っておりまして、今後、どのような形で有効性を明確に示していくのかという議論を進めておりますので、その方針が固まりましたら、またお話ができるかと存じます。



9/20

JR-131：製造販売承認取得のお知らせ

JR-131

遺伝子組換えダルベポエチン アルファ後続1

ダルベポエチン アルファBS注「JCR」

適応症

腎性貧血

- 疾患概要：腎臓においてヘモグロビンの低下に見合った十分量のエリスロポエチンが産生されないことによって引き起こされる貧血

- **2013年9月：キッセイ薬品工業株式会社と共同研究開発契約を締結**

臨床第3相試験：有効性の同等性および同質性が検証/安全性の類似性確認

▶ **2019年9月20日：製造販売承認取得**

販売 **KISSEI**

製造

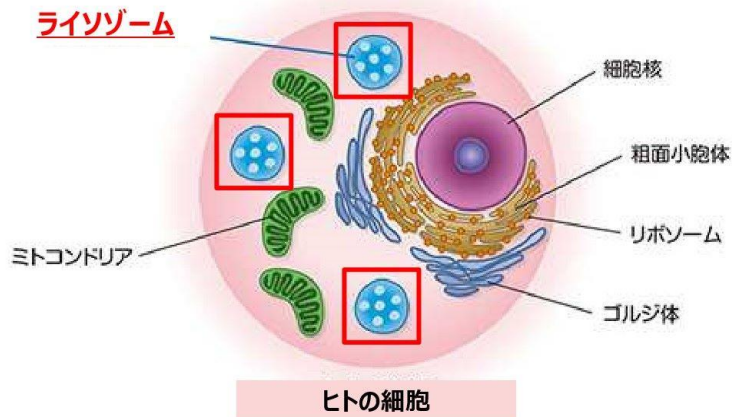


9

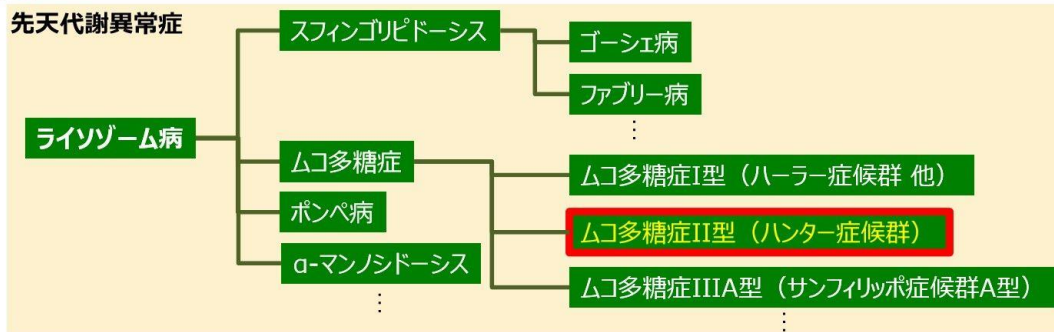
9月20日にダルベポエチンアルファBS注に関しましては、予定どおりの製造販売承認を取得することができました。製造はJCR、販売はキッセイ薬品工業株式会社という形で、今後も継続をしてまいりたいと考えております。

ライソゾーム病

指定難病および小児慢性特定疾病に指定されている**先天代謝異常症**の一種。
ライソゾーム内の分解酵素の働きが弱い、または酵素がないため、本来分解されるべき物質が体内に蓄積してしまう希少疾病。働きの低下した酵素の種類によって蓄積する物質や症状が異なる。



ここから、ライソゾーム病治療薬の研究開発の状況についてご説明申し上げます。皆様、よくご存じのところかと存じますけれども、ライソゾーム病は先天代謝異常症の中の一つの疾患群です。細胞内小器官でありますライソゾームの中には、多くの酵素が含まれておりまして、その酵素が分解する物質が、酵素の機能低下によって蓄積し、それによって全身の細胞に障害が出てくると、そういった疾患です。



JR-141 血液脳関門通過型 遺伝子組換えイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症 ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)

- 患者数* : 約250人 (日本)、約7,800人 (WW) *当社調べ
- 市場規模* : 約84億円 (2018年/日本)、約1,000億円 (2018年/WW)
- 疾患概要 : 厚生労働省指定難病。ムコ多糖を体内で分解する酵素 (イズロン酸-2-スルファターゼ) の働きが弱い、または酵素がないために、ムコ多糖が分解できずに体に蓄積することによって、全身にさまざまな症状がみられる疾患。症状の一つに、**中枢神経障害**がある。

現在の治療は血液脳関門 (BBB) を通過せず、**中枢神経症状に効果がない**

先天代謝異常症も、ライソゾーム病以外にも、アミノ酸代謝異常ですとか、有機酸代謝異常、金属代謝異常とか、いろいろなものがございます。その中で、ライソゾーム病という群がございまして、その分類は主に蓄積物質の種類によって行われております。

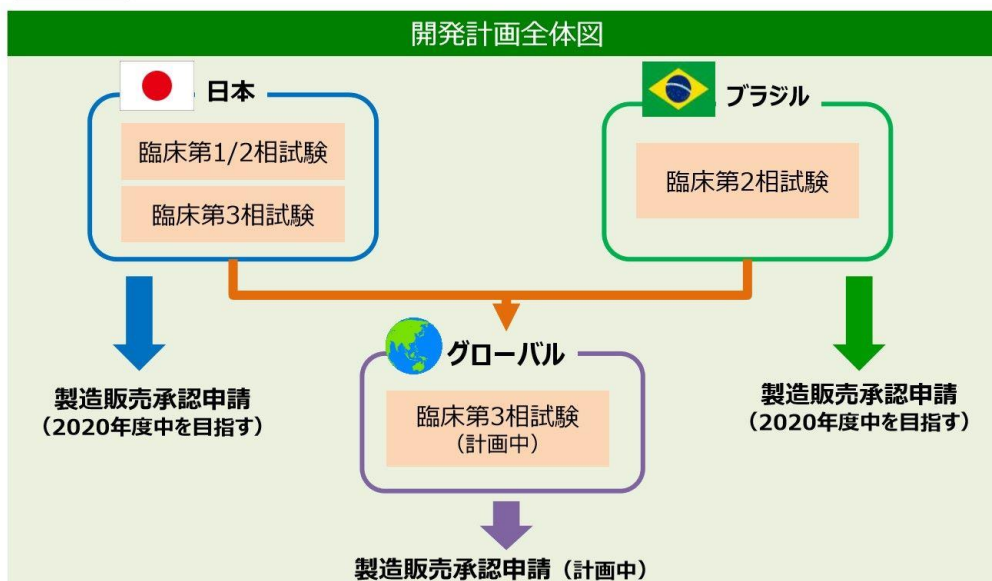
例えば脂質がたまってくるものに関しましては、リポドーシスという形で、ゴーシェ病、ファブリー病がございますし、結合組織に多く含まれますムコ多糖が蓄積するものは、ムコ多糖症と言われております。その他、ポンペ病、マンノシドーシス等がございます。

われわれが今、注力をして開発しております JR-141 は、このムコ多糖症の中の II 型、ハンター症候群を対象としております。患者数は日本では 250 人、世界では 7,800 人と考えております。

治療の課題としましては、中枢神経症状に対して、現状の酵素製剤では効果がないということが課題です。

JR-141 血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症 ▶ **ムコ多糖症II型（ハンター症候群）**



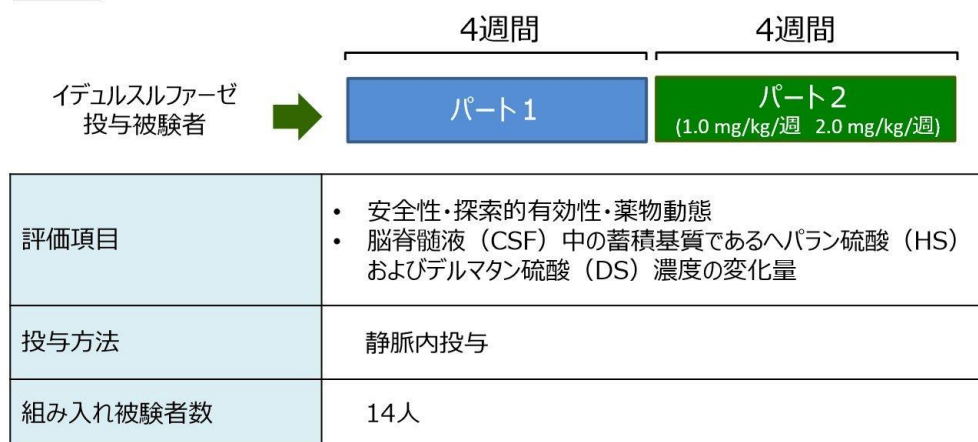
こちらが JR-141 の開発計画の全体図になります。既に日本での第 1/2 相試験は終了しております。それに引き続いて、今、第 3 相試験を実施しております。並行しまして、ブラジルでは、複数の用法・用量を設定しました第 2 相試験を実施しております。この試験が終わりましたら、それぞれ製造販売承認申請を行っていきたいと考えております。

今、FDA とも協議を進めておりますが、この日本の試験、ブラジルの試験の結果を踏まえまして、今後、米国・欧州を含めましたグローバルの第 3 相試験を計画しているところです。

JR-141 血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症 **ムコ多糖症II型（ハンター症候群）**

国内臨床第1/2相試験（JR-141-101）：試験概要



出典：Mol. Ther. 27(2), 456-454, 2019. 14

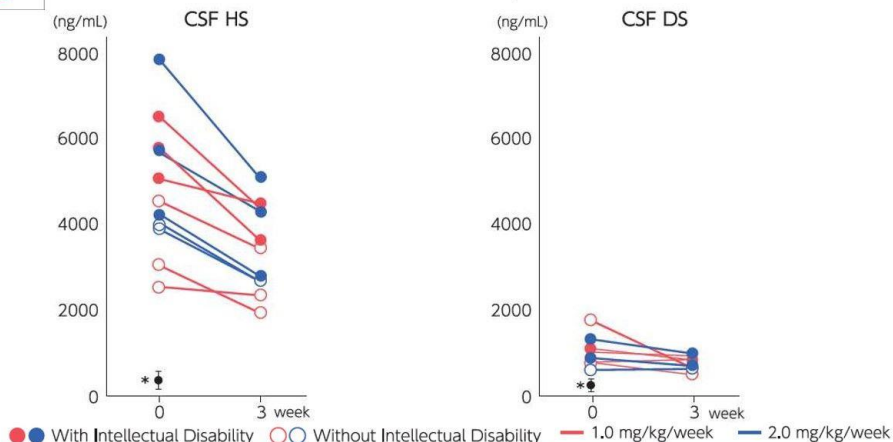
こちらが1/2相試験のデザインになります。まず、その内容をお話しさせていただきたいと思えます。もともと、先行品でありますイデュルスルファターゼを投与された被験者の方に、この試験にはエントリーいただきます。1/2相試験は患者さんに対する初めての治験になりますので、パート1で用法・用量を順次上げていくような確認をした後に、4週間のパート2という形で実施いたしました。パート2は1ミリグラムと2ミリグラムの二つの群を設定して、結果を確認したということです。

主な評価項目は安全性になりますが、この試験の中で、ハンター症候群で蓄積するヘパラン硫酸（HS）、これは中枢神経症状に影響するという蓄積物質ですが、この濃度を脳脊髄液（CSF）中で測定したということになります。

JR-141 血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症 **ムコ多糖症II型（ハンター症候群）**

● **国内臨床第1/2相試験（JR-141-101）：試験結果**



**脳脊髄液（CSF）中のHS濃度の減少が確認されたことにより、
「J-Brain Cargo®」を適応したJR-141がBBBを通過したことを示唆
(1.0mg/kg/w→25.1±12.9% 2.0mg/kg/w→31.5±3.9%)**

出典：Mol. Ther. 27(2), 456-454, 2019.

1/2 相試験の結果は既に論文になっておりますので、ご覧になった方もいらっしゃるかと思います。3回の投与が終了した時点で、全ての被験者でCSF中のHSの濃度が減少したと。これは非常に重要なデータでして、J-Brain Cargoを適応したJR-141がBBBを通過するのが示された最初の結果になります。

1点、ご注目いただきたいのが、この白い丸と黒い丸と、二つございます。白い丸が、Without Intellectual Disabilityということで、中枢神経症状のない方のベースラインのデータになります。ですので、われわれも、このデータを見て分かってきたことですが、やはり蓄積が多い方は中枢神経症状が出ているという状況が分かりましたので、このHSというバイオマーカーが、中枢神経症状を見ていく上で、非常に重要であることがお分かりいただけるかと思います。

JR-141 血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症 **ムコ多糖症II型（ハンター症候群）**

国内臨床第3相試験（JR-141-301）：試験概要



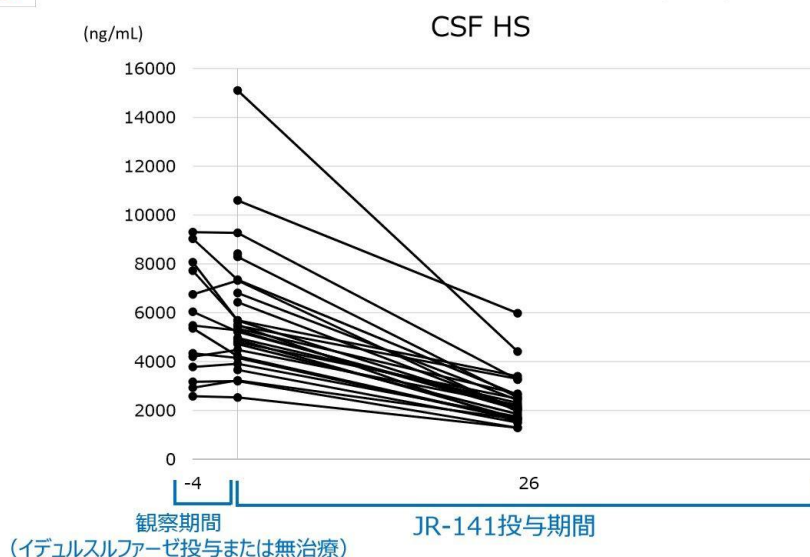
26週投与完了後に中間集計を実施

それに引き続きまして、今、第3相試験を実施しております。試験デザインは非常に似ていますが、先発品を使われている方、あるいは無治療の方という形でエントリーを行っております。試験期間は52週間で、2ミリグラムの投与を行っております。主要評価項目は、先ほどもお示ししましたCSF中のHS濃度の変化量。これは52週の段階で評価することになっています。

その他、重要な点であります発達評価も行っておりますし、バイオマーカーの血中・尿中も行っております。あと、全身に対する効果をどのように示していくかというの也有りますので、肝臓・脾臓容積とか6分間歩行、関節可動域なども評価しております。目標症例数は20名ですけれども、28名の患者さんに参加いただきました。現在、26週投与が終わりましたので、中間集計を実施いたしました。



国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 脳脊髄液 (CSF) 中のHS濃度



**26週投与を完了した全ての被験者において、
脳脊髄液 (CSF) 中のHS濃度が減少 (Mean 58.4±9.5 %)**

こちらが最も重要ということになります。速報の図になります。ご覧いただいで分かりますように、26週投与を完了した全ての被験者において、脳脊髄液中のHS濃度が減少しております。この減少を、平均でいきますと58.4%の減少が認められました。患者さんごとに、もちろん異なるところはございまして、大体40%から70%の減少が、26週投与の後に認められております。

これが意味するものとしましては、先ほどの1/2相試験では、大体25~30%、3回投与した後に下がっていますが、さらに長い期間投与することによって、よりHS濃度が下がってきたことが確認されました。

先ほど申しましたように、主要評価項目は、この52週の時点での減少ということになりますので、中間の段階でこういったデータが得られたことは、非常に重要な点だとわれわれは考えております。

JR-141 血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症 **ムコ多糖症II型（ハンター症候群）**

国内臨床第3相試験（JR-141-301）：26週投与完了後時点の中間集計まとめ

被験者情報

- 19施設から28人の被験者がエントリー

中枢神経症状に対する有効性

- 26週投与を完了した全被験者で脳脊髄液中のHS濃度減少を認めた (Mean 58.4±9.5%)
- 発達検査及び症例調査票で、発達年齢の維持または改善が示唆された

全身症状に対する有効性

- 新規治療例（3例）における血中HS/DS濃度の減少
- 切り替え例（25例）における血中HS/DS濃度の維持

安全性

- 治験薬に関連する重篤な有害事象は認められていない
- 治験中止につながる投与関連反応は認められていない

18

こちらが中間集計のまとめ、ほかの部分も幾つか箇条書きでお示ししているところです。全国 19 施設の多くの先生方から、この治験には賛同いただきまして、協力いただいております。20 名のエントリーのところ、28 名の患者さんが、この試験にエントリーされました。うち 3 名が、治療を受けていない、未治療の患者さんということになります。先ほど、お話しいたしましたように、26 週投与時点で、全例で脳脊髄液の HS の濃度減少が認められました。

もう一点、非常に重要な点として、この試験では発達検査を行っております。発達検査は、新版 K 式という最も一般的に用いられている発達の質問票を用いて評価を行っております。これを実施いたしますと、患者さんの発達年齢が数字で出てまいります。ここの部分を見まして、発達年齢の維持または改善が確認されておりますので、バイオマーカーの減少と、そのスコアの維持・改善、そういうところが併せて述べられると考えております。

また、この症例調査票といいますのは、1/2 相試験の論文にも記載がありますが、例えばスキップをするようになったとか、周りに対する反応がよくなったとか、そういった行動学的な改善がございます。その内容を今回の試験では、責任医師から調査票として回収するという形で調査を行っておりますので、このデータも併せて改善というところは、今、検討されているということです。

この際、静脈内投与を行いますので、全身症状に対する有効性が非常に重要なポイントです。ここにお示ししているのは、ごく一部ではございますけれども、バイオマーカーの変化という点で、HSとDS、これが非常に体のほうには重要なポイントになってくるんですが、新規例ではちゃんと減少しておりますし、切り替え例では維持されていたという結果が、25週の時点で認められております。これは2ミリグラムでの結果になります。

安全性に関しましては、治験薬に関連する重篤な有害事象は認められておりません。投与関連反応というのは酵素製剤ですので、どうしても予想されておりました。ただ、治験中止につながるものはございませんし、先生方もコントロール可能だと考えて、言われております。

以上、まとめますと、われわれの26週時点の結果になりますけれども、期待された中枢神経症状に対する有効性というところと、全身症状に対する有効性というところで、ここはわれわれの期待どおりの結果が得られたことを強調申し上げたいと思います。

JCR JR-141 開発進捗速報

JR-141 血液脳関門通過型 遺伝子組換えエイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症 **ムコ多糖症II型（ハンター症候群）**



今後の展開ですが、日本では先駆け審査指定制度の対象品目になっております。今のデータも踏まえて、早期の申請に向けて、今、当局とディスカッションを進めているところです。ブラジルも第2相試験が今、行われておりますので、その結果が得られ次第、日本とブラジルでの製造販売承認申請を予定どおり進めてまいりたいと考えております。米国・欧州に関しては、オーファンドラッグ

グの指定に加えて、FDA とのミーティング等も進めておりますので、これをもちまして、次の試験の計画を進めております。

JR-171 血液脳関門通過型 遺伝子組換え α -L-イズロニダーゼ

適応症 ▶ **ムコ多糖症I型 (ハーラー症候群、ハーラー・シャイエ症候群、シャイエ症候群)**

- 疾患概要： 厚生労働省指定難病。ムコ多糖を体内で分解する酵素 (α -L-イズロニダーゼ) の働きが弱い、または酵素がないために、ムコ多糖が分解できずに体に蓄積することによって、全身にさまざまな症状がみられる疾患。症状の一つに、**中枢神経障害**がある。
- 患者数*： 約60人 (日本)、約3,600人 (WW) *当社調べ
- 市場規模*： 約15億円 (2018年/日本)、約240億円 (2018年/WW)

- 臨床第1/2相試験 (JR-171-101試験) デザインに関して、FDAよりアドバイスを受領

▶ **2020年中の臨床試験開始に向けて準備中**

その他の疾患です。JR-171 の適応症はムコ多糖症のI型で、ムコ多糖症のII型と非常に症状が近い疾患です。こちらに関しても、FDA とのミーティングを行いまして、まず、第1/2相試験を開始する予定にしていますが、FDAからは具体的なアドバイスを多くいただいております。その内容を今、プロトコルに反映させる作業を行っておりますので、2020年中の臨床開始に向けて準備が着々と進んでいる状況です。

JR-441 血液脳関門通過型 遺伝子組換えヘパランN-スルファターゼ

適応症 ▶ **ムコ多糖症IIIA型（サンフィリップ症候群A型）**

- 疾患概要： 厚生労働省指定難病。ムコ多糖を体内で分解する酵素（ヘパランN-スルファターゼ）の働きが弱い、または酵素がないために、ムコ多糖が分解できずに体に蓄積することによって、主に**中枢神経障害**が起こる疾患。
- 患者数*： **約60人**（日本）、**約6,900人**（WW） * A型B型患者総数（当社調べ）

▶ **2020年度中の臨床試験開始を目指す**

JR-162 J-Brain Cargo®適用 遺伝子組換え酸性α-グルコシダーゼ

適応症 ▶ **ポンペ病**

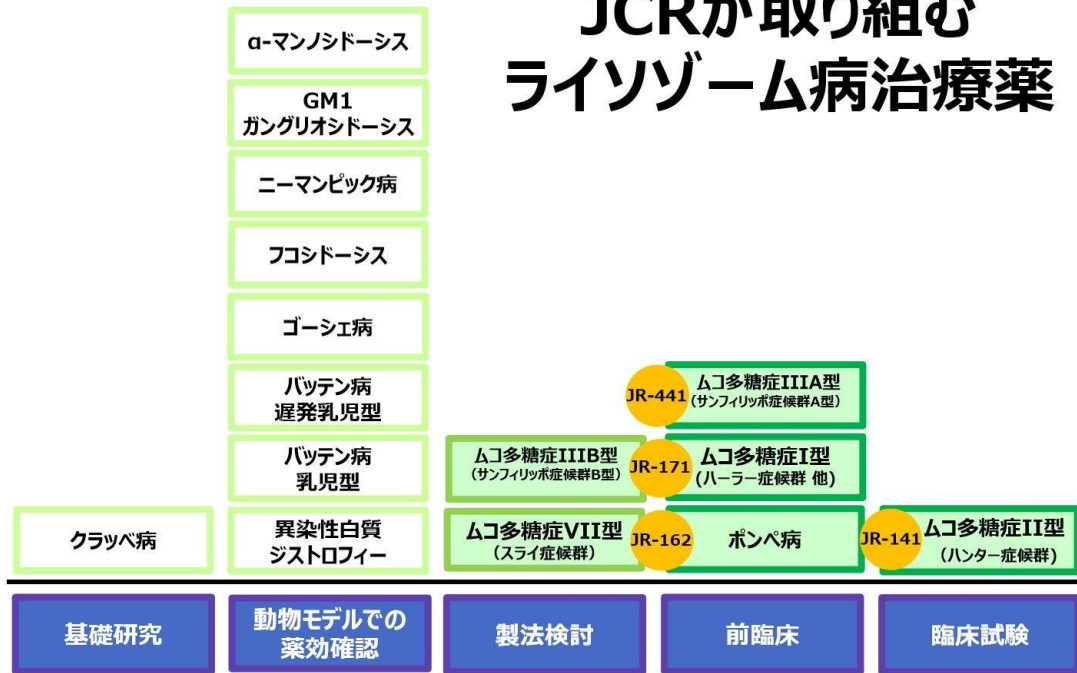
- 疾患概要： 厚生労働省指定難病。グリコーゲンを体内で分解する酵素（酸性α-グルコシダーゼ）の働きが弱い、または酵素がないために、全身の細胞（特に筋肉の細胞）にグリコーゲンが蓄積し、**筋組織**が侵され、呼吸、運動および心臓の機能障害が起こる疾患
- 患者数*： **約80人**（日本）、**約10,600人**（WW） *当社調べ
- 市場規模*： **約30億円**（2018年/日本）、**約990億円**（2018年/WW）

▶ **筋組織のみならず、筋肉の制御器官である中枢神経系組織においても良好な薬効を確認**

JR-441、こちらはムコ多糖症 IIIA のサンフィリップ症候群ですが、現在、治療法がございません。ですので、新しい治療法が非常に望まれている疾患です。こちらに関しましても、JR-171 の後、速やかに治験が開始できるように、準備を進めているところです。

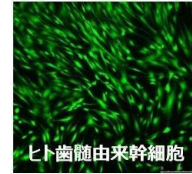
JR-162、ポンペ病に関しましては、J-Brain Cargo を適用しておりますので、全身への効率的な分布とともに、中枢に対してもアプローチができるという非常にユニークな剤であるという認識です。こちらのユニークなプロファイルを最大化するために、現在、国内外の先生方とディスカッションしながら、開発の計画を進めているところです。

JCRが取り組む ライソゾーム病治療薬



続いて、こちらがライソゾーム病です。J-Brain Cargo を適応する品目の一覧になりますが、今お話しいたしましたように、JR-141 で非常に重要なデータが得られたこと、また当局からもバイオマーカーあるいは評価項目に関して、いろいろなアドバイスをいただいているということがございますので、そのノウハウを生かしつつ、ムコ多糖症に関しては、速やかに計画を進めていきたいと考えておりますし、非常に今の結果が後押しになって、ほかの品目の加速につながっていくと考えております。

JTR-161/JR-161 ヒト歯髄由来幹細胞



適応症 ▶ 急性期脳梗塞

- 原因 : 高血圧、高脂血症、糖尿病、肥満など生活習慣病や心臓病など
(生活習慣病や喫煙は、脳梗塞の下地となる動脈硬化を促進)
- 年間発症者数* : 約30万人 (日本) *当社調べ
- 治療法 : 発症数時間以内に「血栓溶解療法」、「血管内治療」が行われ、
続いて、「脳保護療法」、「抗血小板療法」、「抗凝固療法」が行われる

TEIJIN

2017年7月：
帝人株式会社と急性期脳梗塞を適応症とした
共同開発契約・実施許諾契約を締結

▶ 2019年1月：臨床第1/2相試験にて患者投与開始

最後に、その他の研究開発パイプラインをご紹介します。歯髄由来幹細胞に関しましては、帝人株式会社との共同ということで、試験が既に始まっておりますので、こちらは順調に経過を観察していく段階でございます。

JR-401X 遺伝子組換えソマトロピン（グロウジェクト® 適応拡大）

適応症 SHOX異常症における低身長症

- 疾患概要： 性染色体上に存在する成長遺伝子SHOX（Short stature homeobox containing gene）の機能喪失を招く微細欠失・重複や変異等により生じる先天性疾患。
- 年間発症者数*：約450-500人（日本） *当社調べ

● 2018年7月：臨床第3相試験開始

臨床試験概要

- 被験者： SHOX異常症における低身長症患者
- 評価項目：グロウジェクト®を12か月間および24か月間投与した際の有効性、安全性

▶ 被験者への投与開始、経過観測中

26

グロウジェクトも主力製品になっておりますので、適応拡大を含めて、いろいろな開発を行っております。SHOX 異常症における低身長に対して、今、試験が開始されて、もう1年以上経過しておりますが、被験者への投与が開始されておまして、順調に経過を観察しております。まだリクルート期間がありますので、引き続き、患者さんのエントリーに向けて進めている状況です。

以上、全体でございますが、5品目についてご説明を申し上げました。今後も遺伝子組換え細胞医療、遺伝子治療ということで三本柱を含めて、世界初の新薬の開発を着実に進めてまいりたいと考えております。

私からのご説明は以上になります。ありがとうございました。

司会：では、最後に芦田よりご挨拶をさせていただきます。

芦田 信：おはようございます。本日は、本当にありがとうございました。

今、葉口、それから谷澤からお話を聞いていただきましたが、われわれ、バイオ医薬品、それと細胞の医薬品に力を注いでおります。今の谷澤の話から、141の結果が、非常に良い結果が得られたことから、これに続くライソゾーム病の酵素について、将来、非常に自信を持って進められることになっていくと思っております。

2019年の前4-9月期と比較して、今4-9月期の研究開発費が、前年よりも14億円増加しております。この増加は、何をどういうふうな意味で増加しているかということ、われわれがグローバル化していくこと、それと将来、JCRが利益を最大化する意味において、先行投資をしていこうということで、研究開発に重点的に投資をしていった結果が、このような数字になっております。

今後、われわれのものが当然グローバルに出ていったときに、われわれ単独で販売することは無理と分かっておるわけですが、これから、われわれの利益をどのように最大化させていくかということについて、今、いろいろと進めておまして、今後、皆様にご報告できる時期が来るのではないかと考えております。今後とも、本当によろしくお願いいたします。

質疑応答

司会：それでは、これより質疑応答に移ります。

Q1-1：ライソゾーム病関連の事業について、今後の戦略を何らかの形で公表するということがあったが、現状まだ公表されていない。パッケージなのか、単独で導出するのか。さらには、自社である程度進めた後に出ていくのか。現状の考えを教えてください。

A：単独でのグローバル展開は考えられない。我々の会社の規模、実力はそういうポジションではない。当然、グローバルが可能な相手と話をしている。今年度中には決まるだろう。

Q1-2：導出はパッケージなのか、プロジェクトごとの単独なのか。

A：いまのところ両方で話をしている。ただし、臨床開発と販売というところで分けるなど、いろいろな考え方について話をしている。そのうちわかる。

Q1-3：いまのはノーコメントということですね。

次に、JR-141 の国内臨床試験データについて、現時点のデータで申請する可能性はあるか。

ブラジルの臨床試験はスケジュール的にそろそろデータが出てくるころと思われるが、いつ開示されるか。

A：国内は PIII 相試験の中間集計で当局と議論中。早く承認申請するために、先駆け審査指定制度の枠組みで議論をしている。制度上、承認申請から 6 か月というタイムラインが示されており、また、事前評価制度というものがある。この流れにのって審査を進めていく予定。

ブラジルの PII 相試験では、投与は全例で終了している。データ固定の関係上、今回の説明会では示さなかった。2020 年 2 月の WORLDSymposium で開示する予定。

Q2-1：研究開発資料 P17 の CSF 中 HS 濃度の変化について、中枢神経症状を有する患者から得られた CSF 中 HS 濃度の幅から中枢神経症状を有しない患者から得られた CSF 中 HS 濃度の幅に推移した患者は国内 PI/II 相試験ではいなかったが、国内 PIII 相試験では何人かいるように見える。国内 PIII 相試験で HS 濃度の変化と発達年齢の維持・改善に相関は見られたか？

A：CSF 中の HS 濃度が下がったほうがよいというのはそのとおりだが、CSF 中 HS 濃度と発達年齢の変化の相関についてはこれからの議論。ただ、その議論が重要であることはそのとおり。

Q2-2：FDA とは評価項目について協議しているとのことだが、相関についてはこれからということか。とではグローバル PIII 相試験の評価項目は未定ということか。

A：おおよそは決まってきたが、相関についてはこれからの議論である。具体的な主要評価項目は開示できない。

Q2-3：PIII 相試験では行動学的評価に変化は見られたのか。

A：2月の WORLDSymposium で開示予定。

Q2-4：国内 PIII 相試験において、中和抗体の発現による効果減弱は認められているか？

A：主要評価項目であるバイオマーカー（CSF 中 HS 濃度）の変化に影響は見られていない。

Q3-1：（上期の営業利益が当初予想を 3.5 億円上回ったが、通期の営業利益予想を修正しない背景として）研究開発費について、今期 63 億円の予算に対して超過の可能性ありとのこと。上期の進捗率が高いが、J-Brain Cargo®関連の進捗が想定よりも進んでいることが理由か。リリースに記載されていた「予期しないもの」というのは遺伝子治療関連なのか、J-Brain Cargo®関連でのその他の品目の進捗か。

A：研究開発費について、特に上半期の進捗率が高いとの認識は持っていない。進捗している領域については遺伝子治療、ライソゾーム病領域のどれかに限定ということではなく、テムセル®HS 注の効能追加、歯髄由来幹細胞の研究開発なども進んでいる。複数のプロジェクトについて、全てできる限りにおいてスピードアップを図っている。これが前期比での増加につながっている。

Q3-2：JR-141 ブラジルでの PII 相試験について、データは手元にあるけれども、現段階では公表できないということか。

A：データは固定されつつある。

Q3-3：テムセル®HS 注の表皮水泡症について一旦承認申請取り下げとのこと。PMDA との議論において、医師主導治験のデータで申請できるという議論から変わったのか、再生医療全体に対して PMDA の見方が厳しくなっている、ということか。

A：当局の見方についてはわからない。

Q4-1：研究開発資料 P17 の CSF 中 HS 濃度について、最初の 4 週間の観察期間で下がっている患者がいるように見える。

A：この期間は先発品を使っている患者のデータも含まれる。個人差があるため、下がったり上がったというデータもある。投与後は全例で下がっており、投与後にきっちり下がったということが重要なポイントと考えている。

Q4-2：6分間歩行等の副次評価項目の結果はどうか。

A：こちらでも2月のWORLDSymposiumで示す。

Q4-3：ハンター症候群では、CSF中HS濃度が下がれば臨床症状の維持・改善が見られたということかと思う。他のJ-Brain Cargo[®]関連の開発品目での相関は同様と考えるか？

A：希少疾病であり中枢神経症状に対する薬剤もなかったことから、これまで今回のようなデータは示されていない。我々が開発しつつ、データを解析・解釈しつつ当局と議論を進める中で、どの程度下がればどのような臨床症状の改善が認められるか、という議論が今後行われることになるだろう。1例1例どのような変化が認められたのか、総監について丁寧にみていくということ。

他社はCSF中に直接薬剤を投与しているためデータの意味合いが全く違う。CSF中に投与すればCSF内のHS濃度が下がるのは当然である一方、我々のものはBBBを通過して脳内に入り、脳組織中のHSを分解し、その結果がCSF中のHS濃度に反映される。

そのため、CSF中のHS濃度と発達年齢に関する相関は他社の治験から得られるものとは解釈が異なることに注意が必要である。

Q4-4：JR-141 グローバルPIII相試験について、FDAと議論中とのことだが、バイオマーカー（CSF中のHS濃度）を主要評価項目に設定するという議論でよいか。また、治験開始時期はいつ頃か。

A：治験デザインについては、バイオマーカーを主要評価項目にすることが議論のポイントということでもよい。治験開始時期については、まずは日本、ブラジルでの申請。これらの試験結果を踏まえてグローバルPIII相試験を実施する。

Q4-5：グローバルPIII相試験の期間は？日本・ブラジルの試験結果を踏まえるとなると、2-3年というような長期間が必要になるとは考えにくい。

A：試験デザインの骨格にかかわることであり、現時点で開示できない。

Q5-1：ライソゾーム病において、既存薬では血液脳関門を超えられないことにより、どのようなアンメットメディカルニーズがあるのか。

A：ムコ多糖症については、心臓の弁、骨といった酵素が届かないところにアンメットメディカルニーズがある。

マウスモデルではそれらに届いてしまう。大きな動物であるサルでは疾患モデルの作製は難しい。ヒトで効果を実証するのは時間がかかる。我々の製剤がどの程度そこにアプローチできるかは、多くの方に投与されて、ある程度の時間がたったところでわかる。

Q5-2：中枢神経に薬剤が入らないことでどのような症状に苦しんでいるか。

A：最初は正常に発達するが、例えば、話せていた子供が話せなくなる、といった症状が認められる。

Q5-3：薬価制度について、多くの製薬会社が苦しみ中で JCR は方向性を出しており順調にきている。この先の展開について、ニッチな領域から広いところに出ていく、あるいはグローバルにでるといった方針を教えてください。

A：当面、ニッチな領域以外への進出は考えていない。我々の J-Brain Cargo®を利用して非常に大きな疾患を開発する場合はライセンスアウトする。そういうところで生きていきたい。将来もできる限り、希少疾病のなかで生きていたほうが安全と思っている。

Q6-1：遺伝子治療薬に関する情報が今回なかった。2021 年度臨床入りということだったが、事業戦略上、力の入れ方が変わったのか？

A：スピードを緩めているということではなく、計画通りに進捗している。ただ、日本では遺伝子治療の臨床試験に関する規制のハードルが高い。それを乗り越えるのに苦労しそうとは考えている。モノづくりの点には問題ない。規制は我々にはコントロールできないので、そこで遅れが出る可能性はあり。

Q7-1：JR-141 国内 PIII 相試験において、発達検査、症例調査票といったもので情報を収集しているとのことだが、これらは審査に使える評価としてすでに認められているものか？JR-171 でも使えるのか？

A：今回の試験で用いている新版 K 式は広く使用されている一般的な評価スケール。日本で一番使われており、審査に適していると考えます。

Q7-2：JR-141 の国内 PIII 試験に登録された 28 名の被験者の年齢分布は？

A：1 歳から 10 歳、20 歳を超える方など、幅広い年齢に分布している。

Q7-3：発達評価、症例調査に基づく評価というのは、平均値で評価するようなものではない？

A：そのとおり。重症度も異なる為、個別に検討することとなる。

Q7-4：競合品について、遺伝子治療についても脳に届く技術についても、アカデミアやベンチャーで多く取り組みが行われている。この 1 年でどのような変化が起こっているとみているか？

A：ハンター症候群で見ると、Denali 社。PI 相試験を米国で開始するとのリリースあり。非臨床のデータを学会で発表していて、脳内の基質減少とのデータを出している。

ハンター症候群における遺伝子治療については、REGENXBIO 社。非臨床のデータはあまり出ていない。臨床に入っているが髄腔内投与と特殊であり、これをどう見るかというところ。人数はそれほどリクルートされていない。

臨床試験の進み具合については、アメリカという地域だけくりぬくと当社はトップランナーではないが、その他の地域でのデータを踏まえてアメリカでは PIII 相試験から行うことになるので、その意味では我々がトップランナーとなる。

Q7-5：アガルシダーゼベータ BS 注「JCR」について、期初予想が下方修正されているが、発売からこの 1 年間で得た経験について教えてほしい。また、1Q に比べて 2Q は浸透が進んでいるが今後の見通しは？

A：当初から急激な売上の伸びは予想していなかったが、2Q で 1.2 億というところで期初予想数字の達成は厳しいと考えた。バイオシミラーだがライソゾーム病領域での初めての薬剤であり、当社にとって今後のライソゾーム病領域での下地作りになる。営業体制も MR70 名全員で地道に取り組んでいる。

Q8-1：決算説明資料 P3 個別品目別予想の修正について。売上高合計での通期予想数値の修正はなく、品目別に一部修正をしているが足元の状況を含めて確認したい。

テムセル®HS 注の上方修正については採用施設の増加状況をアップデートいただきたい。

「その他」の項の今回の下方修正はネスプの影響か？

A：テムセル®HS 注については採用施設が増えている。移植実施数の 90%以上をカバーする医療機関でのテムセル受け入れ態勢が整備された。ダルベポエチンアルファ BS 注「JCR」は、キッセイ薬品工業株式会社が販売を担当する。AG の影響等、販売に関する内容についてはキッセイ薬品工業株式会社にお問合せいただきたい。

Q8-2：「その他」の修正にはダルベポエチンアルファ BS 注「JCR」は影響していない？

A：影響している。年初 20 億円の計画に対して今回 14 億円と下方修正している。全てがダルベポエチンアルファ BS 注「JCR」ではないが、かなりの部分を占める。（エポエチンアルファ BS 注「JCR」は年初予想 34 億円を今回 39 億円に上方修正しており、ESA 製剤合計では年初予想と今回予想は概ね同水準である。）

Q8-3：アニュアルレポートではパイプラインは充実しており、研究開発も充実している。

今後、成長を目指していくうえで利益目標を示す予定はないか？

次の中計で利益に対する明確なベンチマークを示していただくことは可能か？

A：ベンチマークの明示は難しいが、JR-141、JR-171 を上市すると利益構造が大きく変わる。ある意味、利益的に大きくなる。というのは、全て我々自身で製造することが利益に一番貢献する。また、そのためにどこまで設備を大きくするか、というところはいろいろ思考しながら将来を考えていきたい。

Q8-4：ルクセンブルグでの製造設備の状況は？

A：計画を進めている。土地の改良が必要ということで少し遅れているが進めている。

Q9-1：研究開発資料 P17 グラフについて、国内 PIII 相試験での 26 週までの下がり方と国内 PI/II 相試験の下がり方が似ているように見える。つまり CSF 中 HS 濃度は 3 週投与まで大きく減少し、あとはゆっくり下がるという読み方をしてよいか。また、国内 PIII 相試験において、52 週時点の結果がどのようなことを期待しているか。

A：国内 PIII 相試験での 52 週時点の結果については、現時点ではコメントを控える。

次に、国内 PI/II 相試験（3 回投与）と国内 PIII 相試験（26 週投与）の比較について、資料に掲載したグラフはスケールが違うので単純に比較することは難しい。ただ、バイオマーカーというところでは、反応は早いという印象は持っている。

Q9-2：国内 PIII 相試験で 52 週時点でも現水準を維持していればいい、ということか。

A：主要評価項目は 52 週時点での変化なので、仮に今回得られたレベルであったとしても問題ないだろう。

Q9-3：CSF 中 HS について、減少の程度が緩やかなケース、一方で急なケースが見受けられる。被験者背景にどのようなプロファイルの違いがあるか。

A：個別評価中であり、2 月の WORLDSymposium には解釈含め説明できる。

司会：ありがとうございました。

それでは、以上をもちまして、JCR ファーマ株式会社、2020 年 3 月期第 2 四半期決算説明会を終了させていただきます。本日はまことにありがとうございました。

[了]

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、当社は一切の瑕疵担保責任及び保証責任を負いません。さらに、利用者が当社から直接又は間接に本サービスに関する情報を得た場合であっても、当社は利用者に対し本規約において規定されている内容を超えて如何なる保証も行うものではありません。

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、すべて会員自身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、利用者自身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本規約に基づく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会員が被った損害、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。