



JCR ファーマ株式会社

2020年3月期決算説明会（プレゼンテーション）

2020年5月18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 月期決算説明会（プレゼンテーション）
[決算期]	2019 年度 通期
[日程]	2020 年 5 月 18 日
[ページ数]	57
[時間]	13:00 – 13:57 (合計：57 分、登壇：57 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 営業本部長 経営戦略担当 芦田 透（以下、芦田 透） 上席執行役員 管理本部長 葉口 明宏（以下、葉口） 執行役員 研究企画本部長 藺田 啓之（以下、藺田） 開発本部長 谷澤 和紀（以下、谷澤）

登壇

芦田 信：JCR ファーマ株式会社の芦田信でございます。本日は、JCR ファーマ 2020 年 3 月期の決算説明会の動画をご覧いただき、誠にありがとうございます。

投資家の皆様におかれまして、平素より当社への格別のご理解とご支援を賜り、誠にありがとうございます。本日の決算説明会は、2020 年 3 月期の決算概要、研究開発状況説明、新たに策定いたしました新中期経営計画「変革」について、後ほど各担当者からご説明をいたします。

私からは初めに、米国 ArmaGen 社の買収についてお話をさせていただきます。

ArmaGen 社は、血液脳関門通過技術を 50 年以上にわたり研究しておられる草分け的な存在の元 UCLA 教授の Dr.パルドリッチ氏が創業した会社です。抗インスリンレセプターや抗トランスフェリンレセプターを使った技術を有しており、世界において血液脳関門通過技術に関する特許を 50 以上出願しております。ArmaGen 社の買収によって、当社は知的財産権を含む技術的資産を取得し、豊富な知見を今後のグローバル展開に活用できることは当社にとって極めて意義のある買収であったと考えております。

ArmaGen 社の買収手続は 4 月 10 日に完了しており、ライソゾーム病治療薬に関する導出については、今後相手先との交渉が大きく加速していくものと考えております。JR-141 は、既に日本においては 52 週の治験が終了しており、ブラジルでも最後の患者の投与が終了しております。日本において、先駆け審査指定制度上の事前評価制度の書類は全て提出しており、9 月末までには製造販売承認の申請を行う予定であります。順調に推移すれば、本年度中の承認を取得するものと期待しています。また、JR-141、JR-171 のグローバルでの臨床試験についても、今年中に開始する計画で進んでおります。

2015 年に公表しました中期 5 カ年計画「飛躍」の成果については、売上高 250 億円、営業利益 50 億円という目標でしたが、ArmaGen 社の買収手続によって導出契約が遅れたことにより到達できませんでしたが、既存主力製品の販売は順調に推移しております。

今後、10 種類以上のライソゾーム病治療薬の開発を進めていく上で、JR-141 の日本とブラジルでの臨床試験結果により、人に対する効果、安全性がはっきりと見えてきました。将来の研究開発のわれわれの 10 種類以上のライソゾーム病に対する新薬の確信が持てるようになった 5 年間となりました。

また、帝人株式会社と共同開発をしている、歯髄由来幹細胞を用いた再生医療等製品も臨床開発が極めて順調に進んでおります。

また、研究・生産体制ですが、研究設備、人材の充実を図っております。また、治験薬製造設備、原薬製造設備の増強も進めております。

これらの成果を踏まえ、JCRの将来の成長に対する強い確信につながり、今回2020年より新たな中期経営計画「変革」を策定いたしました。

また、来月開催予定の株主総会では、新たな取締役候補として2名を選出いたします。1名はArmaGen社のCEOであるマティアス・シュミット氏で、シュミット氏のこれまでの大学での研究実績、大手製薬企業における研究とグローバルな臨床開発の経験が、当社の企業価値の向上に大きく役立つと考えております。また、藺田啓之氏は大変若い人材であります。将来の当社の研究開発の方向性を見極めて、J-Brain Cargo以降の新薬を創造できる人材だと考えております。これらの2名を含め、若い役員の活躍こそが、今後の当社の大きな成長を可能にしてくれるものと信じております。

今後とも、投資家の皆様のご理解とご支援を賜りたく、よろしくお願い申し上げます。

通期実績
 (2020年3月期)

**売上高は過去最高の数値を達成（8期連続）したものの、
 研究開発費の大幅増により減益（対前期）**

売上高	: 24,781百万円（前期比 +7.0%）
営業利益	: 3,244百万円（前期比 △34.7%）
経常利益	: 3,293百万円（前期比 △35.0%）
親会社株主に帰属する 当期純利益	: 2,678百万円（前期比 △27.9%）

- 主力製品：グロウジェクト[®]、テムセル[®]HS注および腎性貧血治療薬（エポエチンアルファBS、ダルベポエチン アルファBS 合計）はいずれも前期比増収。売上高は8期連続で過去最高の数値を達成した。
- 数量ベースでは、グロウジェクト[®]は8.6%増、テムセル[®]HS注は53.1%増。
- 研究開発費は前期比1,642百万円（37.7%）増加して5,997百万円（対売上高24.2%）となった。
- 当初見込んでいた契約が2021年3月期にずれこんだことから、契約金収入の減収により、年初予想比では減収減益となった。

葉口：管理本部の葉口でございます。まず、2020年3月期の決算概要をご覧いただきました後、2021年3月期の予算につきましてご覧いただきたいと思っております。

まず、資料の1ページをご覧ください。2020年3月期の決算ハイライトでございます。売上高はグロウジェクト、テムセル、腎性貧血治療薬のほか、製品群全てが増収となりました結果、前期比7%増の247億円となり、8年連続で過去最高を更新することができました。ただし、研究開発費が前期比16億円の増加と大幅に増加いたしましたため、営業利益、当期純利益ともに減益となりました。

なお、年初の予想に比べますと、当期に見込んでおりましたライセンス契約が新年度にずれ込みましたため、契約金収入が減少することとなり、その結果、年初予想比では減収減益となりました。



連結決算概要

(単位：百万円)

連結	2019年3月期 A	2020年3月期		参考 期初予想 (修正前)	
		B	前期比 (B-A)/A		
売上高	23,160	24,781	7.0%	26,400	
売上原価	6,567	7,901	20.3%	7,300	
売上総利益	16,592	16,880	1.7%	19,100	
販売・一般管理費	7,270	7,638	5.1%	7,630	
研究開発費	4,354	5,997	37.7%	6,330	
営業利益	4,967	3,244	△ 34.7%	5,140	
経常利益	5,068	3,293	△ 35.0%	5,150	
親会社株主に帰属する 当期純利益	3,715	2,678	△ 27.9%	4,080	
対売上高	売上原価率	28.4%	31.9%	+ 3.5%	27.7%
	研究開発费率	18.8%	24.2%	+ 5.4%	24.0%
	営業利益率	21.4%	13.1%	△ 8.3%	19.5%
【ご参考】					
共同開発先による負担控除前の 研究開発費	5,270	6,521	23.7%	6,921	

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

次に、損益の概要をご覧ください。2ページをお開きください。

今申し上げましたとおり、主力製品の増収により売上高は前期比7.0%の増収となりましたが、研究開発費が大幅に増加いたしましたため、営業利益以下は減益となっております。

対売上高では、売上原価率が3.5%上昇して31.9%となっておりますが、これは契約金収入の構成比が15%から8%に低下したことが主な要因でございます。

研究開発比率は5.4%上昇して24.2%、営業利益率は8.3%低下して13.1%となりました。

（単位：百万円）

品目	2019年3月期		2020年3月期		
	A	構成比	B	構成比	前期比 (B-A)/A
グロウジェクト®	11,978	51.7%	12,650	51.0%	5.6%
エポエチンアルファ BS注「JCR」	4,511	19.5%	4,097	16.5%	△ 9.2%
ダルベポエチン アルファ BS注「JCR」	—	—	1,412	5.7%	—
テムセル® HS注	2,041	8.8%	3,126	12.6%	53.2%
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	74	0.3%	317	1.3%	327.4%
尿由来製品	690	3.0%	1,041	4.2%	50.8%
契約金収入	3,560	15.4%	2,050	8.3%	△ 42.4%
その他	303	1.3%	84	0.3%	△ 72.0%
売上高合計	23,160	100.0%	24,781	100.0%	7.0%

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

続きまして、売上高の内訳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。

グロウジェクトは5.6%、ダルベポエチンアルファおよびエポエチンアルファBSを合わせた腎性貧血治療薬は約10億円、22%の増収。テムセルは53%増収、アガルシダーゼベータ、尿由来製品も増収となり、製品群全てが増収という結果でございます。

一方、契約金収入は減収となっておりますが、製品群が全て増収となりましたため、売上高合計では前期比7%の増収という結果となりました。

(単位：百万円)

	2019年 3月末	2020年 3月末	主な増減		2019年 3月末	2020年 3月末	主な増減
流動資産	27,368	28,342	現預金 +3,136 売掛金 △857 有価証券 △441	流動負債	8,684	10,434	短期借入金 +1,250 未払金 +356
				固定負債	2,957	4,761	長期借入金 +1,950
				負債合計	11,642	15,195	+3,553
固定資産	15,147	19,433	有形固定資産 +3,813	純資産 合計	30,874	32,579	純利益 +1,689
合計	42,516	47,775	+5,259	合計	42,516	47,775	+5,259
設備投資	1,517	5,296		自己資本 比	71.1%	66.6%	

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

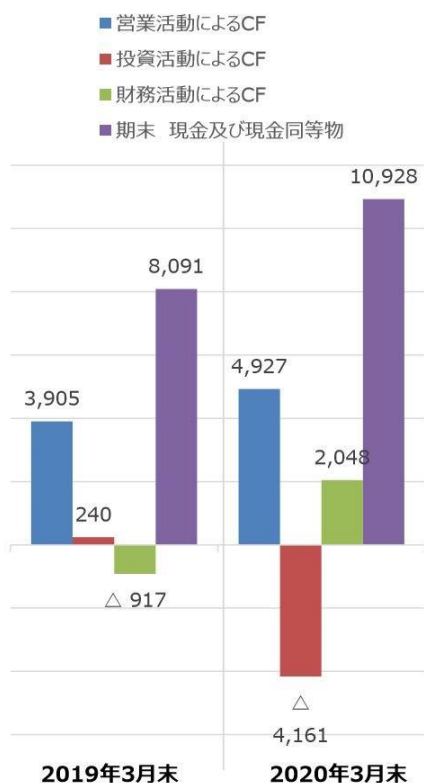
続きまして、貸借対照表をご覧ください。6 ページをご覧ください。

資産の部におきまして有形固定資産が 38 億円、負債の部におきまして長短借入金合計で 32 億円増加いたしております。これは、第二治験薬製造センターの建設および研究施設の増強を目的とした土地、建物の取得により有形固定資産が増加し、資金手当を借入金によりまかなったことによるものでございます。

左下に記載しております、当期の設備投資約 53 億円のうち、約 40 億円が今申し上げました第二治験薬製造センターの建設および研究施設の増強を目的とした土地、建物の取得によるものでございます。

JCR Pharmaceuticals キャッシュフロー（連結）

（単位：百万円）



	2019年3月末 A	2020年3月末 B	増減 B-A
税金等調整前純利益	4,928	3,422	△ 1,506
減価償却費	1,343	1,434	91
売上債権	△ 1,732	857	2,589
棚卸資産	△ 157	258	415
その他	△ 476	△ 1,045	△ 569
営業活動によるCF	3,905	4,927	1,022
有価証券	1,256	668	△ 648
設備投資	△ 898	△ 4,838	△ 3,943
その他	△ 117	8	125
投資活動によるCF	240	△ 4,161	△ 4,401
借入金	86	3,200	3,114
配当金・自己株式	△ 807	△ 973	△ 166
その他	△ 196	△ 177	△ 1
財務活動によるCF	△ 917	2,048	2,965
期末現金及び現金同等物	8,091	10,928	2,837

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

次に、キャッシュフローをご覧ください。8 ページをご覧ください。

営業活動によるキャッシュフローは 49 億円の収入、投資活動によるキャッシュフローは設備投資により 41 億の支出、財務活動によるキャッシュフローは借入の実施により 20 億円の収入となり、期末の現金同等物は 109 億円となりました。

以上、2020 年 3 月期の決算概要でございました。

**業績予想
(2021年3月期)**

売上高	: 27,200百万円 (前期比 + 9.8%)
営業利益	: 6,000百万円 (前期比 +84.9%)
経常利益	: 6,000百万円 (前期比 +82.2%)
親会社株主に帰属する 当期純利益	: 4,800百万円 (前期比 +79.2%)

- グロウジェクト®, 腎性貧血治療薬 (エポエチンアルファBS、ダルベポエチン アルファ BS 合計) およびアガルシダーゼ ベータBSは増収を予想。
- 契約金収入は前期未達となった分を含め、増収を見込む。
- 以上より、研究開発費の増加を吸収して、営業利益は84.9%の増益を予想。

続いて、2021年3月期の予想をご覧ください。資料12ページをご覧ください。

売上高につきましては、グロウジェクト、腎性貧血治療薬およびアガルシダーゼベータBSについて増収を見込み、契約金収入につきましても前期からの繰越分を含めて約42億円を予想いたしております。

これらの結果、売上高合計では当期比9.8%増収の272億円を見込んでおります。一方、研究開発費もさらなる増加が見込まれますが、その増加を吸収して営業利益、当期純利益ともに約80%の増益を予想いたしております。



2021年3月期 予想

(単位：百万円)

連結	2020年3月期 A	2021年3月期(予) B	増減 B-A	増減率 (B-A)/A
売上高	24,781	27,200	2,418	9.8%
売上原価	7,901	6,800	△ 1,101	△ 13.9%
売上総利益	16,880	20,400	3,519	20.9%
販売・一般管理費	7,638	8,000	361	4.7%
研究開発費	5,997	6,400	402	6.7%
営業利益	3,244	6,000	2,755	84.9%
経常利益	3,293	6,000	2,706	82.2%
親会社株主に帰属する 当期純利益	2,678	4,800	2,121	79.2%

対 売 上 高	売上原価率	31.9%	25.0%	△ 6.9%
	研究開発費率	24.2%	23.5%	△ 0.7%
	営業利益率	13.1%	22.1%	9.0%

(ご参考)

共同開発先による負担控除前の 研究開発費	6,521	7,600	1,078	16.5%
-------------------------	-------	-------	-------	-------

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

次に、2021年3月期の損益の予想でございますが、概要は今申し上げたとおりでございます。

売上高 9.8%増収、利益につきましては約 80%の増益を見込んでおります。このページにおきましては 1 点、増収にもかかわらず売上原価が減少している点についてご覧いただきたいと思っております。

この要因といたしましては、前期 10 億円程度計上いたしました尿由来製品の売上がなくなること、ならびにエポエチンアルファ BS が減収となる一方で、ほぼ同額アガルシダーゼベータ BS が増収となることがもう一つの要因でございます。エポエチンアルファ BS とアガルシダーゼベータ BS の利益率の違いがこの要因の一つとなっております。

（単位：百万円）

品目	2020年3月期		2021年3月期（予）		増減 (B-A)
	A	構成比	B	構成比	
グロウジェクト®	12,650	51.0%	13,270	48.8%	620
腎性貧血治療薬	5,509	22.2%	6,540	24.0%	1,031
エポエチンアルファ BS注「JCR」	4,097	16.5%	3,350	12.3%	△ 747
ダルベポエチンアルファ BS注「JCR」	1,412	5.7%	3,190	11.7%	1,778
テムセル® HS注	3,126	12.6%	2,110	7.8%	△ 1,016
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	317	1.3%	1,060	3.9%	743
契 約 金 収 入	2,050	8.3%	4,220	15.5%	2,170
そ の 他	1,125	4.6%	0	0.0%	△ 1,125
売 上 高 合 計	24,781	100.0%	27,200	100.0%	2,419

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

最後に、2021年3月期の売上高予想の内訳についてご覧いただきます。14ページをご覧ください。

グロウジェクト、腎性貧血治療薬、アガルシダーゼベータBSに加え、契約金収入も増収を見込んでおります。一方、テムセルにつきましては新年度においては減収を見込んでおります。また、その他の行におきまして11億円程度の減少となっておりますが、これは先ほど申し上げました尿由来製品の事業の終了に伴う減収でございます。

これらの結果、売上高合計では当期比9.8%の増収を予想いたしております。

以上、2020年3月期の決算概要と、2021年3月期の予想につきましてご覧いただきました。ご清聴どうもありがとうございました。




開発パイプライン

■ ライソゾーム病

■ その他バイオ医薬品

■ 細胞治療・再生医療等製品

開発番号	適応症	前臨床	臨床試験	申請	承認	備考
JR-141	ムコ多糖症II型 (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	ポンベ病	前臨床				酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-171	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)	前臨床				酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用 J-MIG System® 採用
JR-441	ムコ多糖症IIIA型 (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
JR-443 NEW	ムコ多糖症VII型 (スライ症候群)	前臨床				酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-446 NEW	ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリップ症候群B型)	前臨床				酵素補充療法 J-Brain Cargo® 採用
JR-401X	SHOX異常症における 低身長症		臨床第3相試験			グロウジェクト® 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

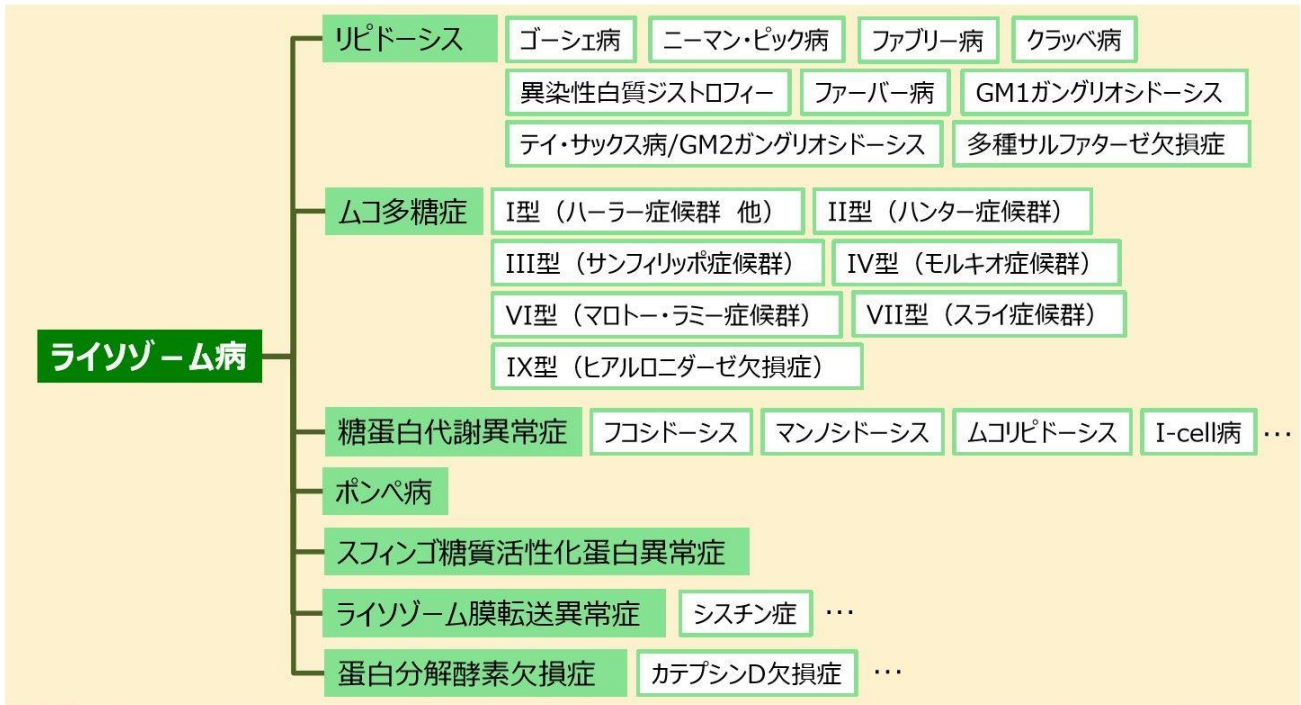
Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

谷澤：開発本部の谷澤でございます。私からは、開発品目の進捗についてご報告を申し上げます。

こちらにお示ししておりますのが、開発パイプラインになります。緑の部分がライソゾーム治療薬、今回2品目が追加されました。紫色の部分が成長ホルモンを含めましたタンパク質製剤、オレンジ色の部分が再生医療等製品となります。

本日、JR-141の国内の52週間のデータがまとまりましたので、そちらについてまずご報告を申し上げた後に、その他の開発品目についてもご説明を申し上げます。

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。



当社が注力をいたしておりますライソゾーム病は、先天代謝異常症の一種でございます。細胞内小器官であるライソゾームの中の加水分解酵素の働きが弱くなることによりまして、本来分解されるべき物質が体内に蓄積するといった疾患でございます。蓄積する物質によりまして、リポドーシスでありますとか、ムコ多糖症でありますとか、そういった分類がされております。

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

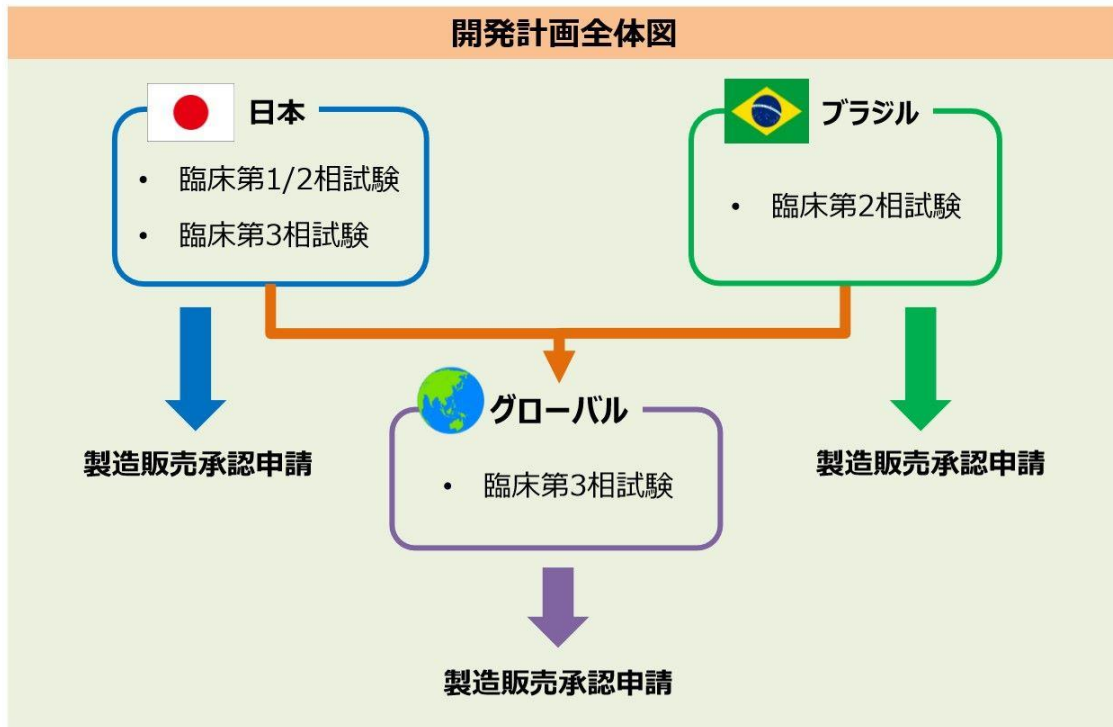
適応症	<p>ムコ多糖症II型 (ハンター症候群)</p>
患者数*1	約250人 (日本)、約7,800人 (WW)
市場規模*2	約76億円 (2019年/日本)、約870億円 (2019年/WW)
疾患概要	ムコ多糖を体内で分解する酵素 (Iduronate-2-sulfatase) の欠損により発症する X 染色体連鎖劣性遺伝性疾患。幅広い症状があるなか、 中枢神経障害 が問題とされている。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma, IQVIAを引用

**既存の治療は血液脳関門を通過せず、
中枢神経症状に効果がない**

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JR-141 は、その中でもムコ多糖症のハンター症候群を対象とした治療薬になっております。患者数は国内では 250 名、海外では 7,800 名といわれております。既存の酵素製剤がございましたけれども、血液脳関門を通過しないということで中枢神経症状への有効性というところが課題でございます。

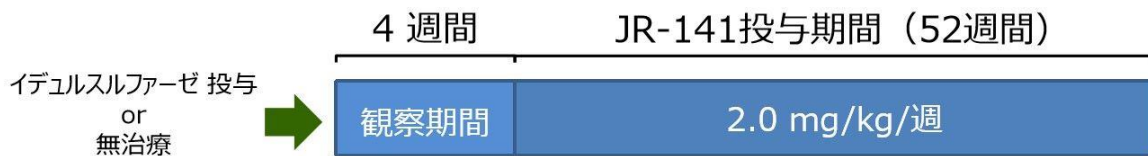


Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JR-141の開発は既に進捗をしております。今回、日本の第3相試験が完了いたしました。また、ブラジルにおいても、用法用量を検討する第2相試験が終了しております。これらのデータをもちまして、本年中に製造販売承認の申請を行います。並行しまして、グローバルでは米国、ヨーロッパ、ブラジルを対象とした臨床第3相試験を計画いたしております。



国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 試験概要



主要評価項目	脳脊髄液中ヘパラン硫酸濃度 (CSF中HS濃度)
副次評価項目	<ul style="list-style-type: none"> 発達評価 (認知機能、適応行動) 血中及び尿中HS/デルマタン硫酸 (DS) 肝臓容積、脾臓容積 6分間歩行試験 関節可動域
組み入れ被験者数	28人

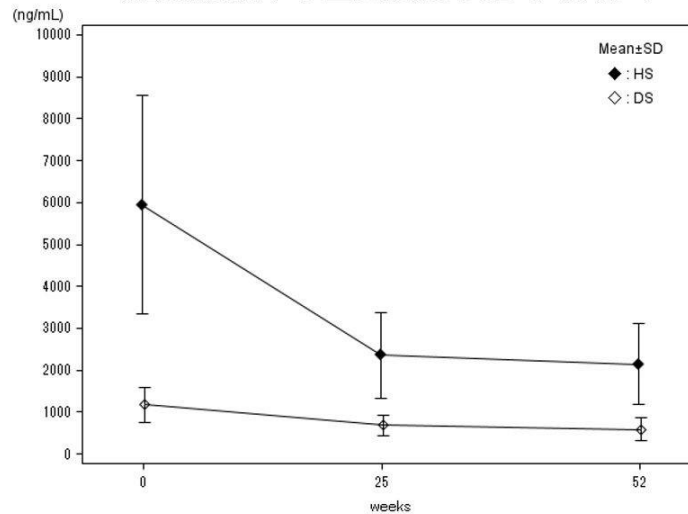
ここから、国内の JR-141 の臨床試験の結果についてご説明を申し上げます。

この試験に関しましては、イデュルスルファーゼの投与をされている方、また無治療の方がエントリーをされております。その後、JR-141 を 2.0 ミリグラム/キログラム/週の用量で 52 週間投与をいたしました。

主要評価項目は、脳脊髄液中のヘパラン硫酸濃度でございます。副次評価項目としましては、発達評価ならびに全身症状についても評価を行いました。この治験に関しましては、19 施設の病院から 28 名の患者の方々にご参加をいただいております。

● 国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 試験結果 (52週)

<脳脊髄液中の基質濃度の経時的減少>



全ての被験者で脳脊髄液中の蓄積基質濃度が減少
 →主要評価項目 (HS濃度) の有意な改善 (-61.3%±12.1%、 $p<0.001$)
 52週後の平均 : 2124±882.6 ng/mL

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

こちらに、脳脊髄液中の基質濃度の経時的減少を示しております。

結論から申しますと、主要評価項目は無事に達成することができました。上のグラフを見ていただきたいんですけども、ヘパランサルフェートの濃度は、投与開始時では6,000近くございましたが、25週、52週にかけまして減少しまして、全ての被験者で脳脊髄液中の基質濃度の減少が認められました。52週後の平均は、2,124となりました。ヘパラン硫酸はムコ多糖症におきまして、中枢神経症状との相関がよく知られているバイオマーカーでございます。実際にわれわれのデータでも、重症型の患者さんでは、ベースラインのヘパランサルフェートの濃度が軽症型に比べて高いということが知られております。

以上より、この脳脊髄液中の基質濃度の減少というのは、中枢神経症状への効果を示す重要なデータであると考えております。



国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 試験結果 (52週)

＜新版K式発達評価：52週治療後の発達年齢の変化＞

Classification of Disease phenotype		
	Number of subjects	Slope
Attenuated	8	0.9543
Severe: Initial phase	2	0.6705
Severe: Middle phase	11	-0.0802
Severe: Late phase	5	-0.0904

Attenuated : 軽症型患者
 Severe : 重症型患者
 Initial phase : 3歳未満かつ発達指数が80以上
 Middle phase : 8歳以下又は発達指数が20以上
 Late phase : 8歳超又は発達指数が20未満

データの解釈

- 軽症型患者 : ほぼ正常発達 (正常発達=傾き1)
- 重症型患者 (3歳未満) : 発達年齢が上昇・・・神経変性を抑制
- 重症型患者 (3歳以上) : 発達年齢維持・・・神経変性の悪化を抑制

考察：治療上の意義

- 早期治療によって、脳組織中の基質濃度を低値に維持し、発達を維持できる可能性
- 重症型患者でも、神経変性の悪化を抑制して、発達年齢を維持できる可能性

続きまして、52 週治療後の発達年齢の変化を示しております。このスライドにつきましては、少し説明を加えさせていただきます。

Attenuated といいますのは、軽症型患者でございます。Severe は重症型の患者の方々です。Severe の中でも 3 歳未満の方を Initial phase、3 歳以上の方を Middle、Late とカテゴライズいたしました。それぞれの患者さんでの 52 週後の発達年齢の変化を Slope という形、傾きという形でお示しております。

データの解釈になりますけれども、Attenuated の患者さんでは Slope は 0.95 となっています。この Slope といいますのは、12 カ月治療した際に、発達年齢が 12 カ月上昇した場合に 1 ということになりますので、0.95 というのはほぼ正常発達であるということがお分かりいただけるかと思えます。重症型の患者さんで 3 歳未満の方なんですけれども、この方々では 0.67 という傾きが認められております。これは、発達年齢が上昇したということを示しております。

3 歳以上の患者さんでは、傾きは 0.08、0.09 ということになりまして、発達年齢はほぼ維持ということでございます。これらのデータの解釈、意義になりますけれども、早期治療によって脳組織中の基質濃度を低値に維持することで、発達を維持できる可能性が示されたと考えています。また、

重症型の患者でも神経変性の悪化を抑制して、発達年齢を維持できる可能性が示されました。今後、より長期的な評価を行っていくとともに、自然歴との比較なども行っていきたいと考えております。



国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 試験結果 (52週)

<重症型患者における行動学的改善 (52週時点) *>

- 少しずつ語彙は増えてきている
- 伝えようとする意欲が見られる
- 保護者の言うことを理解できるようになってきた
- 短い文章の発言が増えた
- 機嫌が良いことが多くなった
- 発語が増えた
- 話を理解して言う通りに動かしてくれることが増えた
- 少し表情が豊かになった
- 同じ遺伝子型の兄の同年齢時と比べ、明らかな遅れや症状がない

*医師の主観による調査票記入内容に基づく

続きまして、重症型患者における行動学的改善をこちらのスライドでお示ししております。

これらのデータは、症例調査票という形で責任医師の先生方からいただいた内容になります。少しずつ語彙が増えてきている、伝えようとする意欲が見られる、文章の発言が増えた、機嫌が良い、発語が増えた等々、言語でありますとか、活気、表情でありますとか、認知でありますとか、そういったところの改善が数多く報告されております。これらの報告は、重症型患者さんでも認められているということは重要な点かと思えます。また、最後に記載がございますけれども、同じ遺伝子型の兄の同年齢時と比べ、明らかな遅れや症状がないというような報告もあることは非常に重要なことかと思えます。

ここまで、バイオマーカーの減少、発達スコアの維持または改善、そして行動学的改善という三つの側面からご報告を申し上げましたけれども、こういったことを併せまして、患者様あるいはご家族へのベネフィットというところを主張してまいりたいと思えます。



国内臨床第3相試験 (JR-141-301) : 試験結果 (52週) まとめ

- **全例が最終観察を終了 → 継続投与試験へ参加**
- **中枢神経症状に対する有効性が示された**
 - 全例で髄液中の基質濃度が減少 → 治験の主要目的を達成
 - 重症型患者の発達年齢: 若年例で治療後上昇傾向
年齢が高い被験者は維持傾向
- **全身症状に対する有効性は既存酵素製剤と同程度**
 - 血中及び尿中の基質濃度: 切り替え被験者で維持、新規治療例で減少
 - 肝臓及び脾臓容積: 切り替え被験者で維持、新規治療例で減少
 - 6分間歩行、その他: 切り替え被験者で維持
- **安全性の確認**
 - JR-141の投与に関連する重篤な有害事象は認められなかった
 - 体重1kgあたり2.0mgのJR-141を週1回計52回点滴静脈内投与した時の忍容性は良好

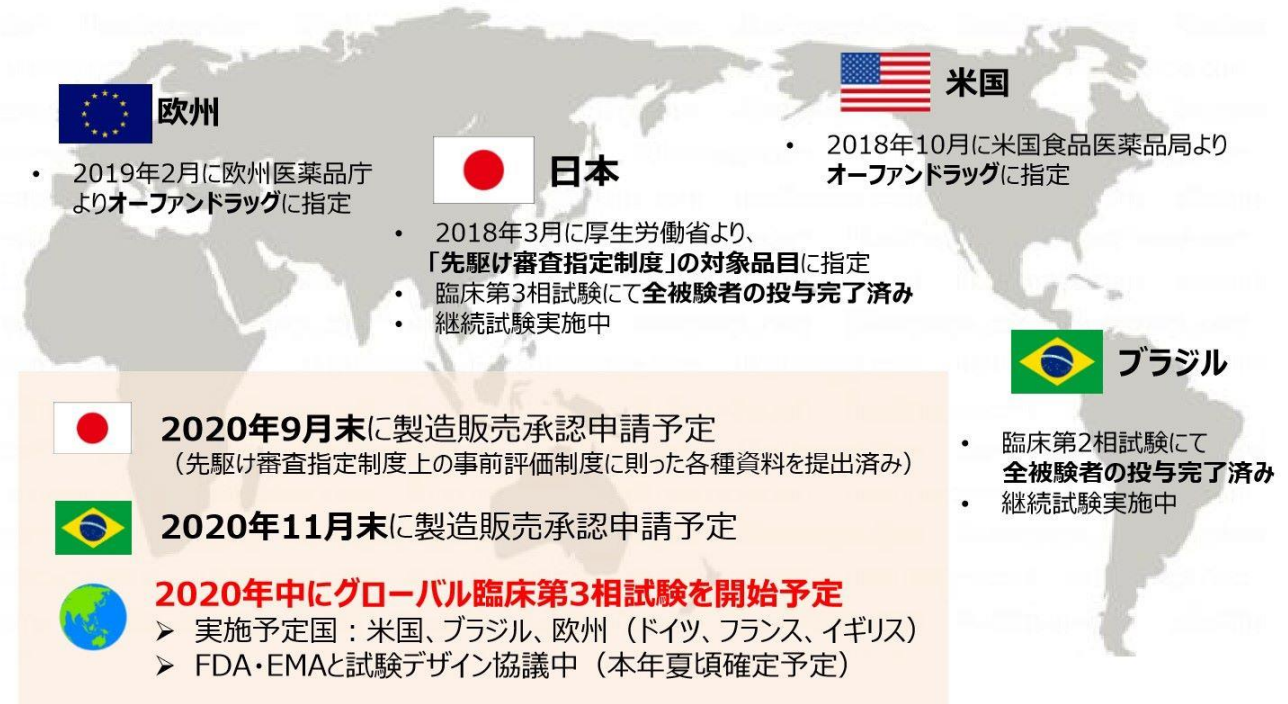
Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

こちらのスライドでは、試験結果のまとめを示しております。

国内第3相試験に関しましては、全例が最終観察を終了しております。中枢神経症状に対しましては、治験の主要目的を達成しております。また、発達年齢に関しては、若年例では治療後上昇傾向、年齢が高い被験者は維持傾向でした。今回お示しはしなかったんですけども、全身症状に対する有効性に関しましては、バイオマーカーの変化でありますとか、肝脾腫、あるいは6分間歩行という観点で既存の酵素製剤と同程度でございました。

また、JR-141の投与に関連する重篤な有害事象は認められませんでした。結論としまして、2.0ミリグラムのJR-141の投与というのは非常に忍容性は良好であったと判断いたしております。

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



Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

これらの有効性、安全性の結果をもちまして、2020年の9月末には日本での製造販売承認申請を予定しております。既に、先駆け審査指定制度上の事前評価資料というものは、各パートとも提出を完了しております。ブラジルにおきましては、2020年の11月末に製造販売承認申請を予定しております。並行しまして、2020年中に米国、ブラジル、欧州を対象としたグローバル試験を準備しております。現在、各国の規制当局とのディスカッションを進めているところでございます。

ここまでがJR-141の現在の状況のご報告でございました。このように、JR-141で非常に良い結果が得られているという認識もございますので、その他のムコ多糖症の開発に関しましても積極的に行ってまいりたいと思います。

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）
患者数*1	約60人（日本）、約3,600人（WW）
市場規模*2	約16億円（2019年/日本）、約280億円（2019年/WW）
疾患概要	ムコ多糖を体内で分解する酵素（ α -L-iduronidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。幅広い症状があるなか、 中枢神経障害 が問題とされている。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

● **臨床第1/2相試験：試験概要（予定）**

- 組み入れ被験者数： 19人
- 試験実施国： 日本、米国、ブラジル
- 投与期間： 12週間
- 主要評価項目： 安全性
- 副次評価項目： 中枢神経症状および全身症状に対する有効性
血漿中薬物動態

▶ **2020年中の臨床第1/2相試験開始を目指す**

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JR-171 は、ムコ多糖症I型を対象とした治療薬でございます。こちらに関しましては、2020年中の第1/2相試験の開始を目指して、現在各国の規制当局とのディスカッションを行っておりまして、その議論も今最終段階にきておりますので、予定通りの開始を期待しております。

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（サンフィリッポ症候群A型）
患者数*1	約60人（日本）、約6,900人（WW） ※A型、B型総数
市場規模*2	既存薬なし
疾患概要	ムコ多糖を体内で分解する酵素（Heparan-N-sulfatase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。症状として、特に 中枢神経障害 が急速に進行し、発達年齢は2、3歳をピークとしてその後退行する。A型は比較的重症であると言われている。 治療法として、造血幹細胞移植が考慮されるが効果は明らかではない。

*1 患者数：厚生労働省研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

▶ 本年2月に、米国FDAよりムコ多糖症III型の

治験薬開発に関する新たなガイダンスが発行



JR-441開発計画全体の再検討を予定

▶ **2022年中の臨床第1/2相試験開始を目指す**

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

JR-441 は、ムコ多糖症 IIIA 型でございます。この IIIA 型に関しましては、酵素製剤も今現在ございませんので、治療薬の開発というのは非常に期待されている疾患でございます。本年の2月に、米国のFDAからこの疾患に対する新たなガイダンスが発行されております。そういったガイダンスも参考にしながら、なるべく早く治験を開始できるように準備を進めてまいっております。



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
技術特徴	独自の改変型アルブミンを融合させることにより、 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（特許出願済）

- 臨床第1相試験：健康成人男性における薬物動態および薬理作用を確認。
本剤に関連した重篤な安全性情報は認められていない。

▶ **2021年中の臨床第2相試験開始を想定**

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
年間発症者数*	約450-500人（日本） *当社調べ

- 臨床第3相試験：被験者への投与継続中

▶ **2022年中の製造販売承認申請を目指す**

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

成長ホルモン領域の開発品目でございます。

われわれの持続型技術を適用しました JR-142 に関しましては、前回の決算説明会におきましてもご説明のとおり、第1相試験を無事に終了してございまして、期待通りの結果が得られております。その結果を基に、用法用量の探索、あるいは有効性の探索ということを目的とした第2相試験を来年中にスタートできる見込みでございます。

SHOX 異常症です。低身長を呈する遺伝性疾患でございますけれども、こちらに対するグロウジェクトの適応拡大については、現在もリクルートを続けてございまして、予定通りであれば2022年中の製造販売承認申請が期待できます。





その他の開発進捗（細胞治療・再生医療等製品）

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	
発症率*	正期産出生数1000人に対し2.5人（WW） （治療対象：標準治療である低体温療法適応となる中等度～重度の患者 150-200人/年）	*当社調べ

- 臨床第1/2相試験：被験者への投与開始、経過観察中
▶ **2023年中の製造販売承認申請を目指す**

JTR-161/JR-161 ヒト歯髄由来幹細胞

適応症	急性期脳梗塞	
年間発症者数*	約30万人（日本）	*当社調べ
特徴	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	 

- 臨床第1/2相試験：実施中
▶ **2021年7月に臨床第1/2相試験終了予定**

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

最後のスライドになります。再生医療等製品です。

テムセルの適応拡大につきましては、新生児低酸素性虚血性脳症を対象に開発を進めております。こちらは、新生児、生まれたときの仮死状態からつながる非常に重篤な疾患でございますけれども、現在のところ臨床第1/2相試験を開始いたしまして経過を観察いたしております。2023年中の製造販売承認申請を目指しております。

JR-161 に関しましては、帝人株式会社との共同開発を行っておりまして、2021年7月に臨床第1/2相試験を終了予定でございます。

以上、ご報告を申し上げます。

JR-443 血液脳関門通過型 遺伝子組換えβ-グルクロニダーゼ

適応症	<p>ムコ多糖症VII型 (スライ症候群)</p>
患者数*1	数名程度 (日本)、約200人 (WW)
市場規模*2	約14億円 (2019年/WW)
疾患概要	ムコ多糖を体内で分解する酵素 (β-glucuronidase) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸、デルマタン硫酸が蓄積する。症状として骨変形、関節拘縮のほか、重症患者には 中枢神経障害 が認められる。治療法として、造血幹細胞移植および酵素補充療法があるが、中枢神経障害を含む病態への明確な効果は認められていない。

*1 患者数：厚生労働省研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

- マウスおよびサルにおいて脳移行性を確認
- 疾患モデルマウスにおいて脳に蓄積したムコ多糖の減少効果を確認

▶ **3年以内の臨床試験開始を目指す**

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

菌田：研究企画本部の菌田でございます。私からは、研究ステージにおける進捗状況についてお話しいたします。

今回は、いくつか研究ステージにおける進捗がございました。まず、一つ目が JR-443、血液脳関門通過型遺伝子組換えβ-グルクロニダーゼになります。このパイプラインは、ムコ多糖症 VII 型 (スライ症候群) が対象疾患になります。JR-141 や JR-171 も同じくムコ多糖症ですが、その中の VII 型 (スライ症候群) が本薬の対象疾患になります。

このムコ多糖症は、いろいろやっていますけれども、これは全てレアディーズ、希少疾患という括りに入りますが。このスライ症候群は、それよりもさらに患者さんが少ない、ウルトラオーファン、ウルトラレアと呼ばれるような疾患に分類されます。ですので、われわれがやっているものの中でも一番患者さんが少ない疾患に入るかと思えます。また、この疾患に関しては、既に欧米で酵素製剤が発売されています。

ただ、その酵素製剤に関しては頭に行かない、BBB を通らない薬剤となっていますので、一部の患者さんには、この重症型の患者さんには中枢神経障害が出るんですが、その患者様方には中枢神

経障害への薬効が認められないような薬剤となっています。われわれの薬剤 JR-443 は、その部分にアクセスできる薬剤ということで開発を進めていきたいと考えています。

この薬剤においては、マウスおよびサルにおいて脳移行性を既に確認しております。また、疾患モデルマウスにおいて脳に蓄積したムコ多糖の減少というのを確認しております。現在、研究所で製法開発、また非臨床試験の準備を進めておりまして、3年以内の臨床試験の開始を目指してまいります。

JCR Pharmaceuticals 研究ステージにおける進捗状況

JR-446 血液脳関門通過型 遺伝子組換え α -N-アセチルグルコサミニダーゼ

適応症	<p>ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリップ症候群B型)</p>
患者数*1	約60人 (日本)、約6,900人 (WW) ※A型、B型総数
市場規模*2	既存薬なし
疾患概要	ムコ多糖を体内で分解する酵素 (α -N-acetylglucosaminidase) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸が蓄積する。症状として、特に 中枢神経障害 が急速に進行し、発達年齢は2、3歳をピークとしてその後退行する。治療法として、造血幹細胞移植が考慮されるが、効果は明らかではない。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

- マウスおよびサルにおいて脳移行性を確認
- 疾患モデルマウスにおいて脳に蓄積したムコ多糖の減少効果を確認

▶ **3年以内の臨床試験開始を目指す**

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

二つ目、JR-446、こちらも血液脳関門通過技術を用いた遺伝子組換え α -N-アセチルグルコサミニダーゼになります。対象疾患は、こちらも同じくムコ多糖症でIIIB型 (サンフィリップ症候群B型) というものが対象疾患になります。こちらには現在既存薬がなく、患者さんはここに示されていますようにそれなりの数がおられますので、非常に新しい薬剤が待望されている、熱望されている疾患になっています。

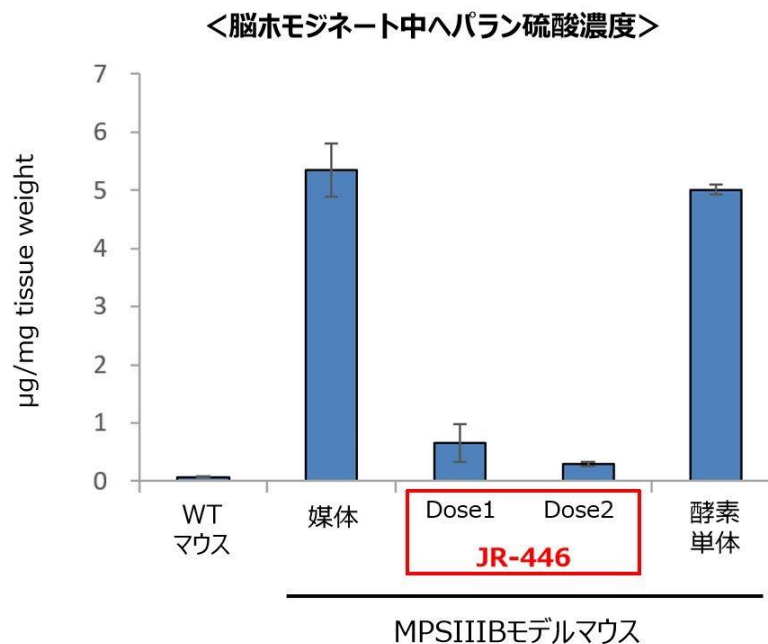
また、この疾患、特徴的なのが、特に中枢神経障害が強く出る、ムコ多糖症の中でも中枢神経障害が強く出る疾患になっていますので、BBB 通過技術、そういった頭に薬剤が届けられる技術というのがないとなかなか開発できない疾患になっています。

この JR-446 は、既に JR-141 等で、ヒトで BBB 通過が証明された技術を用いておりますので、サンフィリップ症候群 B 型におきましても良い結果が出るのではなかろうかということで開発を進めています。この疾患においても、マウスおよびサルにおいて脳移行性を確認済み。そして、疾患モデルマウスにおいても脳に蓄積したムコ多糖の減少を確認しています。本薬においても、3 年以内に臨床試験を開始できるよう研究所で検討を進めています。

JCR Pharmaceuticals 研究ステージにおける進捗状況

JR-446 血液脳関門通過型 遺伝子組換え α -N-アセチルグルコサミナーゼ

■ MPSIIIBモデルマウスの脳における薬効試験結果



Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

この疾患においては、少しモデルマウスでの結果をお示ししたいと思います。ここに示してますのは、モデルマウスの脳ですね。脳のホモジネート中におけるヘパランサルフェート、ヘパランサルフェートというのは、この疾患で蓄積してしまう物質になるんですが、その量というのを示しています。この縦の棒グラフというのが、そのヘパランサルフェートの量になります。

一番左側が正常マウスで、ほとんど蓄積していません。その右隣、媒体と書いてありますが、ここがモデルマウスになります。大体目盛りで5から6の間を示していますが、このぐらいまでヘパラン硫酸が溜まります。

一番右側の棒グラフに移りますが、そこが酵素単体、これは BBB 通過能を持たせていない酵素単体になりますが、それを静脈内投与した時には、見ていただきますとおり、ほとんど脳の中のヘパラン硫酸の量は変わりません。

そこに JR-446、これ Dose1、Dose2 とありますが、異なる Dose、2 種類の Dose で静脈内投与した結果、大きく脳中のヘパラン硫酸濃度を減らすことができました。

もう 1 点、この JR-446 に関しては面白い部分があります。この N-アセチルグルコサミニダーゼという酵素は、非常にモノづくりが難しい酵素として知られています。一般的にバイオ医薬品、タンパク質性の医薬品というのは CHO 細胞を用いて作りますが、CHO 細胞でこの N-アセチルグルコサミニダーゼというのは、とても発現がしにくくて、なかなかモノづくりが難しいというのが共通認識です。

われわれはそれを打開するためにいろいろな検討をしてまいりました。その中で、まだこれはパテントを出しておりませんので、詳細は開示できないんですけども、あるブレークスルーをすることで、非常にその発現量というのを大幅に上げることに成功しまして、この JR-446 の開発に至っております。

血液脳関門通過技術と、そういった別の技術が組み合わさったことで、JR-446、新たな開発品目を一つ生み出すことができたというふうに考えています。

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
患者数*1	約80人 (日本)、約10,600人 (WW)
市場規模*2	約30億円 (2019年/日本)、約1,100億円 (2019年/WW)
疾患概要	グリコーゲンの分解に必要な酵素 (acid α-glucosidase) の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。筋細胞や神経細胞内にグリコーゲンが蓄積することにより症状が現れる。乳児型は生後2か月で哺乳力低下、筋力低下が出現し、自然歴では18か月までに心機能障害、呼吸障害により死亡する。遅発型は筋力低下や呼吸筋の筋力低下をきたす。また、症状の一つに、 中枢神経障害 がある。

*1 患者数：厚生労働省研究等の公開情報を元にJCRで算出 *2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

- 非臨床試験結果 (WORLDSymposium2020 ポスター発表より) :
 - JR-162 が筋原性のみならず神経原性ミオパチーによる筋力低下および呼吸機能障害に対する治療効果を発揮する可能性を有することを示唆

2023年中の臨床第1/2試験開始を目指す

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

次は、JR-162、J-Brain Cargo 適用遺伝子組換え酸性 α-グルコシダーゼになります。適応症はポンペ病になります。ポンペ病も同じくライソゾーム病になります。

ポンペ病に関しましては、すでに第1世代、第2世代と呼ばれる酵素製剤があります。われわれのJR-162は、われわれはその次、第3世代だというふうに捉えて開発を進めています。

JR-162には、ほかの製剤にはない特徴があります。それは筋組織のみならず、神経組織、脳に対しての薬剤デリバリーが可能だという点になります。

筋肉というのは、筋そのもののダメージに加えて、神経原性の障害というのも併せて出てくることになりますので、その両方にアクセスをして初めて本当の薬効が得られるとわれわれは考えています。

それができるのが唯一 JR-162 だと考えていますので、JR-162 を使うことで、ポンペ病の患者さんにおきましては、筋原性、そして神経原性、両方に対しての効果が発揮できるだろうと、それが一番いい処方だろうと考えています。

この JR-162 においても、2023 年中に臨床試験が開始できるよう準備を進めているところでございます。



JCRが取り組むライソゾーム病治療薬の開発ステージ



Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

こちらが JCR が取り組むライソゾーム病の一覧、それを開発ステージごとに示したものになります。今回は、中央の列に JR-446、そして JR-443 の付番が追加されています。

その他、ほかにもたくさんライソゾーム病の候補品がございますが、すべての品目において、研究所で力を入れて研究開発をしております。1 日でも早く、一つでも先のステージに進めるよう、鋭意努力をしているところでございます。

	2020年	2021年	2022年	2023年
JR-141	製造販売承認申請 製造販売承認申請 グローバル臨床試験開始			
JR-171	臨床第1/2相試験開始			
JR-142	臨床第1相試験	臨床第2相試験開始		
JTR-161 /JR-161	臨床第1/2相試験	臨床第1/2相試験 終了		
JR-441	非臨床試験		臨床第1/2相試験 開始	
JR-401X	臨床第3相試験		製造販売承認申請	
JR-031HIE	臨床第1/2相試験			製造販売承認申請
JR-162	非臨床試験			臨床第1/2相試験 開始
JR-443	非臨床試験			臨床第1/2相試験 開始
JR-446	非臨床試験			臨床第1/2相試験 開始

今後の研究開発の想定タイムラインになります。

本年 2020 年から 2023 年までの間に、新たに 5 品目が臨床試験入りすることになっております。

変革

REVOLUTION
into the Future

「チームJCR」の総力を結集し

希少疾病領域における

グローバルスペシャリティファーマへ

3つのプラットフォームで
「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」を推進

遺伝子組換え
医薬品

細胞治療
再生医療等
製品

遺伝子治療用
製品

最後に、このスライドになります。

われわれは遺伝子組換えのタンパク質性医薬品、そして細胞医薬・再生医療等製品、遺伝子治療の製品、この三つのプラットフォームで、希少疾患領域における新薬を一つでも多く作っていきたいというふうに思っています。

今回は、遺伝子治療に関して新しい報告というのはありませんでしたが、遺伝子治療の研究開発も非常に順調に進んでおります。そして近い将来に、遺伝子治療用の治験用設備というものも視野に入れて、現在準備を進めているところでございます。

また、細胞医療等製品おきまして、テムセル、その後の歯髓由来幹細胞というものの開発を進めていますが、こちらにおきまして、また新たな細胞医薬品というものも視野に入れた研究開発をスタートしております。

この三つのプラットフォームをベースに、「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」を推進して進んでまいりたいと思います。以上です。

芦田 透：JCR ファーマ株式会社、取締役経営戦略担当の芦田透でございます。それでは、2020年度から3年間の中期経営計画「変革」についてご説明いたします。

当社では、2015年度から2019年度における前中期経営計画「飛躍」において、多くの成果を達成いたしました。これらの成果を礎として、2020年度からの10年間に於いて、大きな成長を視野に入れております。

本日説明いたします中期経営計画の作成にあたり、創業からの歩み、当社の置かれた状況、今後の成長の可能性、解決すべき課題を見直しました。社内全本部との対話、経営層での複数回のビジネスミーティングを経て、このたび「変革」をキーワードとして、新たな中期経営計画を作成いたしました。

背景の帯は、将来の成長をイメージしており、緑はコーポレートカラー、黄色は明るい未来、知性、幸福といった意味を示しております。

本スライドの構成をこちらに示しました。まず前中期経営計画「飛躍」を総括した後、今後10年間を当社がどのように見据えているのかを、「Toward 2030」として、こちらに示しました内容でご説明いたします。最後に、2020年度を初年度とする3年間の中期経営計画「変革」についてご説明いたします。

2015年度

- ・大日本住友製薬株式会社、エーザイ株式会社と「J-Brain Cargo®」に関するフィージビリティスタディ契約締結
- ・「クロウゼクト®皮下注」液状製剤製造販売承認申請
- ・事業所内保育所「JCRキッズランド」開設
- ・「テムセル®HS注」製造販売承認取得、発売
- ・ペプチドリーム株式会社と共同研究契約締結



2016年度

- ・治験薬製造センター/セルプロセッシングセンター竣工
- ・「ダルベオエチン アルファBS注JCR」臨床第3相試験開始
- ・「クロウゼクト®皮下注」製造販売承認取得
- ・「JR-141」臨床第1相試験開始



2017年度

- ・「JTR-161/JR-161」帝人株式会社と共同開発契約締結
- ・株式会社メディバルホールディングスと業務資本提携契約締結
- ・「アガルシダーゼ ベータBS点滴静注JCR」製造販売承認申請
- ・ナノキャリア株式会社と共同研究契約締結
- ・ルクセンブルク大公国における土地賃借契約締結
- ・大日本住友製薬株式会社と「J-Brain Cargo®」に関するライセンス契約締結
- ・JCR USA, Inc.開設
- ・「JR-141」先駆け審査指定

2018年度

- ・第二治験薬製造センター建設開始
- ・「クロウゼクト®」適応拡大（SHOX異常症における低身長症）臨床第3相試験開始
- ・「JR-141」国内臨床第3相試験、ブラジル臨床第2相試験開始、欧州・米国オーファンドラッグに指定
- ・「くるみん」「えるぼし」取得
- ・「ダルベオエチン アルファBS注JCR」製造販売承認申請、「アガルシダーゼ ベータBS点滴静注JCR」製造販売承認取得、発売
- ・「テムセル®HS注」適応拡大（表皮水泡症）製造販売承認申請



2019年度

- ・「JR-142」臨床第1相試験開始
- ・ペプチドリーム株式会社との特殊環状ペプチド創製
- ・「テムセル®HS注」適応拡大（新生児低酸素性虚血性脳症）臨床第1/2相試験開始、「テムセル®HS注」適応拡大（表皮水泡症）製造販売承認申請取下げ
- ・研究所関連施設新規取得
- ・「ダルベオエチン アルファBS注JCR」製造販売承認取得、発売
- ・米国ArmaGen, Inc.買収合意



Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

まず、前中期経営計画「飛躍」の総括に関してご説明いたします。

ご覧いただきましたとおり、2015年度からの5年間、当社では将来の成長の基盤となる多くの成果を達成いたしました。

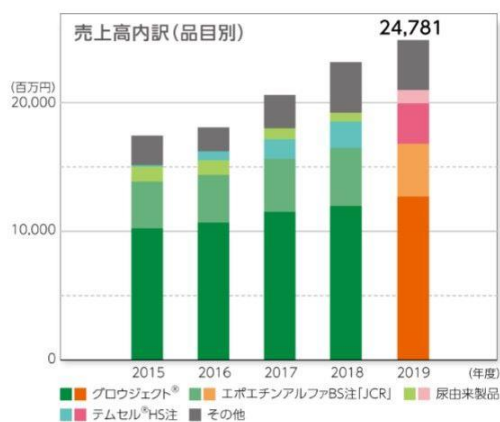
2015年度のテムセルを含む4品目についての製造販売承認取得、上市、2016年度の治験薬製造センター/セルプロセッシングセンターの竣工をはじめとして、生産、研究への積極的な設備投資を進めてまいりました。

また、当社で働く社員一人ひとりが生き生きと活躍できるよう、事業所内保育所の設置をはじめとして、様々な取り組みを行ってまいりました。

研究開発においては、2016年度からのJR-141の臨床試験開始をはじめとして、希少疾病領域において積極的に活動してまいりました。

2015年度-2019年度

売上高 : 174億円→247億円
 営業利益 : 21.5億円→32.4億円
 営業利益率 : 12.3%→13.1%



Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

これらの取り組みの結果、「飛躍」の5年間で、当社売上高は174億円から247億円に、営業利益は21億円から32億円に拡大いたしました。



前中期経営計画「飛躍」における成果

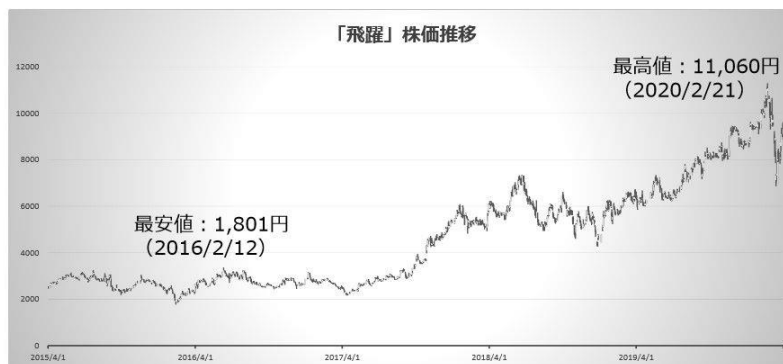
集計時点	従業員数 (単独)	平均年齢	勤続年数	平均年収
2020/3	654人	41.4歳	8.9年	830万円
2019/3	613人	41.4歳	8.8年	830万円
2018/3	540人	41.6歳	9.0年	821万円
2017/3	522人	41.4歳	8.6年	809万円
2016/3	487人	41.1歳	8.3年	809万円

2020/3/31時点

従業員数：654人
平均年齢：41.4歳
平均年収：830万円

2016/3/31時点

従業員数：487人
平均年齢：41.1歳
平均年収：809万円



2019年度期末 (2020/3/31)

終値：9,420円
時価総額：3,054億円

2015年度期初 (2015/4/1)

終値：2,480円
時価総額：804億円

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

また、社員数については、487人から654人に増加し、平均年収は809万円から830万円に増加いたしました。このように当社では、人財への積極的な投資も進めてまいりました。

次に、株価については、当社の成長へのご期待を背景として、2015年度期初の2,480円から、2019年度末には9,420円となりました。また、2020年2月21日には、上場来最高値の1万1,060円をつけております。

▶▶ 前中期経営計画「飛躍」の5年間は、 「スピード第一」で次代への基盤となる成果を達成

- 「テムセル®HS注」、「グロウジェクト®皮下注」、「アガルシダーゼ ベータBS点滴静注JCR」、「ダルベポエチン アルファBS注JCR」の承認取得、発売
- 「JR-141」の国内臨床第1/2相試験、第3相試験の計画通りの実施
- グローバル未経験の中、患者会と専門医師との連携によりブラジル臨床第2相試験を実施
- ライソゾーム病治療薬の事業基盤を確固たるものとするため、米国ArmaGen, Inc.の買収を決定
- 一連のライソゾーム病治療薬の開発に対応するため、治験薬製造センターを準備
- JTR-161/JR-161に対応するためセルプロセッシングセンターを設置

▶▶ ライソゾーム病領域における希少疾病事業の 事業価値最大化に向け、ライセンス活動を強化

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

こちらのスライドでは、「飛躍」の総括と今後に向けた課題をお示しいたします。

これまでご説明しましたとおり、「飛躍」の期間中、多くの成果を達成いたしました。これらの中で、特にグローバル開発未経験ながら、迅速にブラジルでの治験を開始できたことは、特筆すべき成果と考えております。

また、米国 ArmaGen 社の買収は、当社のライソゾーム病治療薬開発において、極めて重要な意味を持っており、この買収により、潜在的な知財上のリスクを完全に解決いたしました。

これら「飛躍」における成果を踏まえ、今後の課題である事業価値最大化に向けたライセンス活動を強化してまいります。



サステナビリティ：これまでの取り組み

小児希少疾病領域を中心とした事業活動を通じて「アンメット・メディカルニーズ※への貢献」に努めるとともに「Rare Disease: RD, ESG」に関する活動を充実。

※未だ満たされていない医療ニーズ

これまでの主な取り組み



レアディジーズ (RD)

希少疾病用医薬品の研究開発を進めている企業として啓発活動を実施。



RARE DISEASEプロジェクトを立ち上げ、「希少疾病に、JCRのできること。」をモットーとして、社内外の啓発活動や、Rare Disease Dayへの協賛、募金活動などに取り組む。



社会 (S)

働きやすい環境づくりの整備および社会に向けた活動を実施。



写真提供：公益財団法人母子衛生研究会

世界と日本の患者の皆さんの「アンメット・メディカルニーズ」への貢献に向けて、スイス非営利財団「GLOBAL FOUNDATION FOR LIFE SCIENCE」への支援、「母子保健奨励賞」への協賛、医療型短期入所施設「もみじの家」への支援などを実施。



環境 (E)

事業活動における環境負荷軽減に向けた取り組みを実施。



コーポレート・ガバナンス (G)

経営の適法性、透明性、客観性を維持するための体制を構築し運営。

医薬事業を通じた貢献

「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」の推進

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

次に、当社におけるサステナビリティについてご説明いたします。

当社では、「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」こそが当社の果たすべき責務との認識から、希少疾病治療薬の研究開発、保険医療への支援など、様々な取り組みを行ってまいりました。

また、一人ひとりの社員こそが価値の源泉であるとの考えから、働く環境の整備を進めてまいりました。このほか、環境への取り組み、コーポレートガバナンスの強化も行ってまいりました。

中長期経営ビジョン「Toward 2030」



ここからは、当社が今後10年間でどのように見据えているかについてご説明いたします。

独自の「研究開発力」と「モノづくり力」を結集し、
世界中の患者の皆さん、子どもたちのため、希少疾病にチャレンジしていくことが、
当社の責務と考えています。

医薬品を通して人々の健康に貢献する

信頼

私たちは、法令遵守はもとより、高い倫理観をもって行動することにより、全てのステークホルダーから信頼される会社を築きます。

自信

私たちは、世界へ通用する医薬品提供を目標に、独自の視点で研究・開発を進め、自信をもって品質の高い製品と情報を提供します。

信念

私たちは、企業理念のもと、“自ら考え、自ら行動する”を信念として、更なる企業成長を目指します。



当社は「医薬品を通して人々の健康に貢献する」を企業理念として、その理念こそが当社の存在意義であります。独自の研究開発力とモノづくり力を結集し、世界中の患者の皆さん、子どもたちのため、希少疾病にチャレンジしていくことが、当社が果たすべき責務と認識しております。

JCRが目指す姿

グローバルで存在感のある研究開発型企业

具体的な企業像

- ◎ 希少疾病領域におけるグローバルスペシャリティファーマ
- ◎ 「J-Brain Cargo®」をはじめとする独自の基盤技術を礎として、常に他社より「一歩前が出る」技術の創出に挑戦し続ける企業
- ◎ 「研究開発」と「モノづくり」で新たな価値の創出に挑戦し続ける企業
- ◎ 希少疾病領域に貢献する強い決意のもと妥協せず挑戦し続ける企業

基本戦略

- ◎ 創業以来の企業文化を共有し発展させる「チームJCR」を価値の源泉として、少数精鋭での「研究開発」と「モノづくり」に注力
- ◎ 「チームJCR」一人ひとりがそれぞれの場所で輝くことができるよう人財を育成
- ◎ 成長ホルモンなどの国内製品、ライソゾーム病治療薬のグローバルでの収益、基盤技術の導出によるライセンス収入という3本の大きな収益の柱を確保

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

当社が目指す姿は、引き続きグローバルで存在感のある研究開発型企业であります。実現すべき企業像は、希少疾病領域におけるグローバルスペシャリティファーマであること、J-Brain Cargoをはじめとする独自の基盤技術を礎として、常に他社より一歩前が出る技術の創出に挑戦し続ける企業であること。研究開発とモノづくりで新たな価値の創出に挑戦し続ける企業であること、そして、希少疾病領域に貢献する強い決意のもと妥協せず挑戦し続ける企業であること、と考えております。

これを達成するための基本戦略として、創業以来の企業文化を共有し発展させるチーム JCR を価値の源泉として、少数精鋭での研究開発とモノづくりに注力いたします。

また、チーム JCR 一人ひとりがそれぞれの場所で輝くことができるよう人財を育成いたします。

成長ホルモンなどの国内製品、ライソゾーム病治療薬のグローバルでの収益、基盤技術の導出によるライセンス収入という3本の大きな収益の柱を確保いたします。

当社の価値の源泉は「チームJCR」である。

「研究開発」と「モノづくり」によって成長してきた当社の企業文化に共感する一人ひとりが、希少疾病領域に貢献したいとの理念のもと、安定した経営基盤を確立し、血液脳関門（BBB）通過技術「J-Brain Cargo®」技術をはじめとする各種独自技術を生み出し、世界への飛躍の礎となった。

当社は、自社の価値の源泉は「チームJCR」であるとの確信のもと、「チームJCR」の企業文化をグローバル時代においてさらに発展させ、創業以来の「研究開発」と「モノづくり」にさらに注力しイノベーションを加速し、新たな価値創出により希少疾病領域に貢献する。

「チームJCR」の企業文化の発展のために、原則として海外自社販売拠点を展開せず、経営資源を「研究開発」「モノづくり」に集中させる。

また、中長期的な安定成長が「チームJCR」の大前提との確信に基づき、企業文化の合致する他社との協業を重視する。

近い将来の本格的なグローバル化を見据え、多様性に富む「チームJCR」の企業文化を発展させ、大胆かつ適切な意思決定を迅速に行いうる強固な経営基盤を確立し、不確実性を増す製薬業界において持続的な安定成長を追求する。

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

この目標を達成する上で、当社のコアバリューは何かを問い直しました。当社の価値の源泉は、チーム JCR であります。当社では、モノづくりと研究開発によって成長してきた当社の企業文化に共感する社員一人ひとりが、安定した経営基盤を確立し、各種独自技術を生み出し、世界への飛躍の礎となりました。価値の源泉はチーム JCR との確信のもと、その企業文化をグローバル時代においてさらに発展させ、新たな価値創出により、希少疾病領域に貢献いたします。

チーム JCR の企業文化の発展のために、原則として、海外での自社販売拠点の展開はいたしません。また、他社との協業においては、中長期的な安定成長のため、企業文化が合致するのかどうかという点を重視いたします。

近い将来の本格的なグローバル化を見据え、チーム JCR の企業文化を発展させ、強固な経営基盤を確立し、不確実性を増す製薬業界において持続的な安定成長を目指してまいります。



研究開発における成長の歴史

当社は、創業以来培ってきた単離精製技術、1985年以降の成長ホルモン事業、2000年代以降の遺伝子組換え・再生医療技術により、着実に成長を続けてきました。

生体由来原料からの医薬品開発

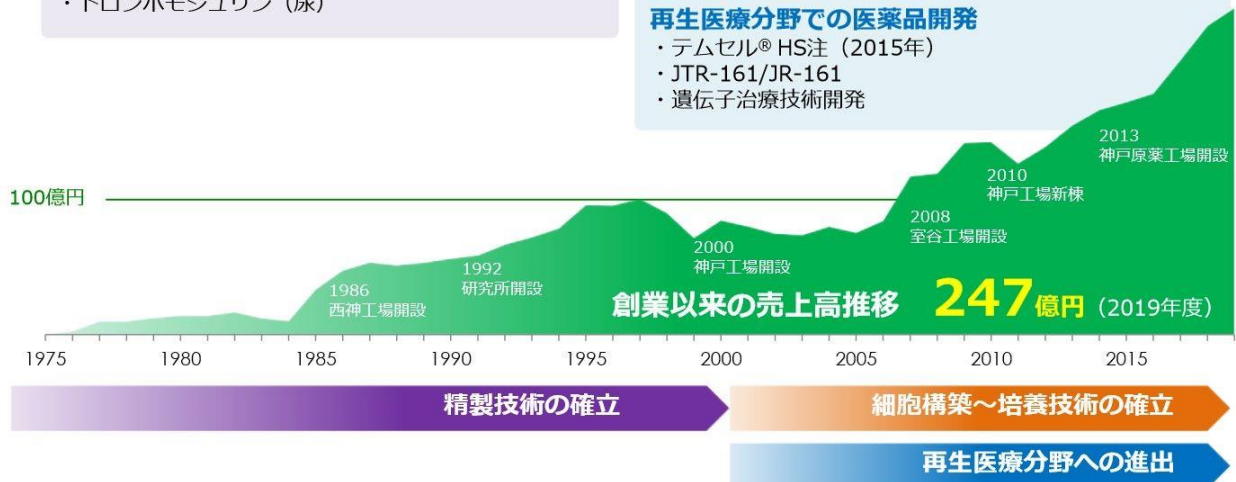
- ・ウロキナーゼ/ウリナスタチン（尿）
- ・上皮成長因子（尿）
- ・インターフェロン（血液）
- ・カリジノゲナーゼ（尿）
- ・フィブロネクチン（血液）
- ・トロンボモジュリン（尿）

遺伝子組換えによる医薬品開発

- ・エポエチンアルファBS注「JCR」（2010年）
- ・アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」（2018年）
- ・ダルベポエチン アルファBS注「JCR」（2019年）
- ・JR-141等「J-Brain Cargo®」適用医薬品

再生医療分野での医薬品開発

- ・テムセル® HS注（2015年）
- ・JTR-161/JR-161
- ・遺伝子治療技術開発



Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

ここで簡単に当社の歩みを振り返ります。

当社は 1975 年の創業以来、約 25 年間、尿・血液といった生体由来物質からの研究開発により、精製技術を確立いたしました。

1990 年代からの生体由来物質に対する懸念を背景として、2000 年代初頭より、研究開発の軸足をバイオテクノロジー、再生医療に移しました。その成果として、エポエチンアルファをはじめとする医薬品、テムセルといった再生医療等製品の上市に結実いたしました。

- ▶▶ 成長ホルモン事業（1985年発売）による事業基盤の確立、安定的な研究開発活動
- ▶▶ ウロキナーゼ原体を創業事業とし、尿、血液といった生体由来原料を用いた20年以上にわたる研究活動により、**基盤技術として精製技術を獲得**
- ▶▶ 2000年代初頭より**遺伝子組換えによる医薬品開発に方針を転換**、最初の品目としてエリスロポエチンを選択、2010年に国産初のバイオ後続品として発売
- ▶▶ **2000年代初頭よりライソゾーム病治療薬開発を志向**
- ▶▶ 2003年から**間葉系幹細胞の研究開発を開始**、2016年に日本発の他家由来再生医療等製品として発売、本開発の経験を活かし歯髄由来幹細胞の研究開発を展開
- ▶▶ **仮説検証の徹底的な繰り返し**により、BBB通過技術「J-Brain Cargo®」、改変型アルブミンを用いた持続型技術、高発現技術「J-Mig System®」、糖鎖修飾技術「J-Glyco S/M®」といった種々の基盤技術を創製



Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

一方、当社の研究開発活動を振り返り、何が特色なのかも問い直しました。まずは、成長ホルモン事業による安定した事業基盤のもとでの研究開発活動が可能であったことが挙げられます。

次に、生体由来物質の研究開発により培った基盤技術としての精製技術、2000年代初頭から20年間にわたる遺伝子組換え技術の蓄積、希少疾患領域での研究、再生医療領域での取り組みなど、他社より一歩先を見据えた研究開発活動が特色として挙げられます。

そして最も重要な点として、仮説検証の徹底的な繰り返し、サイエンスに対して真摯に向き合う姿勢が特色であると考えております。これにより、J-Brain Cargoをはじめとする各種基盤技術の創製が可能となりました。

ライソゾーム病は患者数が少ないものの、有効な治療薬が必要とされる疾患です。当社のグローバルでの成長が期待できる市場でもあり、独自のBBB通過技術によってさらなる市場拡大も見込まれます。

ライソゾーム病5疾患の患者数・市場規模

適応症	患者数 ^{※1}		市場規模 ^{※2}	
	日本	世界	日本（2019年）	世界（2019年）
ハンター症候群	約250名	約7,800名	約76億円	約870億円
ポンペ病	約80名	約10,600名	約30億円	約1,100億円
ハーラー症候群 (ハーラーシャイエ・シャイエ含む)	約60名	約3,600名	約16億円	約280億円
サンフィリッポ症候群A型	約60名 (AB総数)	約6,890名 (AB総数)	—	—
サンフィリッポ症候群B型				

※1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報を元にJCRで算出

※2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

ここで、当社の基盤技術のポテンシャルについて、J-Brain Cargo を用いたライソゾーム病治療薬を一例としてお示しいたします。

一般的に希少疾病は患者数が少ないため、市場規模は小さいものと考えられております。特にライソゾーム病は、その中でも極めて患者数の少ない疾患群ですが、治療薬がない、または中枢神経症状が臨床的な重要な課題とされており、有効な治療薬が必要とされる疾病です。

当社独自のBBB通過技術により、ライソゾーム病領域において有効な治療薬を提供できれば、これらの疾患に携わる方々にとって大きな助けになるだけでなく、当社にとっても非常に大きな成長が期待できます。

このように基盤技術の創製は大きな成長をもたらすものであり、当社では引き続き独自の基盤技術の開発に重きを置き、研究開発の方向性を探ってまいります。

- 現在の「J-Brain Cargo®」は抗体ベースのため目的とするたんぱく質と組み合わせやすく、低分子、核酸といったものでは工夫が必要です。
- 当社では、このような物質でもBBBを通過できるよう、トランスフェリン受容体を介した薬物送達機構である「J-Brain Cargo®」の技術的可能性を発展させる取り組みを続けており、特殊環状ペプチド、ナノミセルといった他社との共同研究の他、次世代「J-Brain Cargo®」となりうる自社技術開発を含め複数の可能性を探っています。
- このような研究の他、遺伝子治療の研究開発にも着手しています。これらにより、例えば中枢神経系組織において必要な物質の欠乏に起因する疾患や、何らかの遺伝子変異に起因する疾患に対する治療薬の開発につなげていきたいと考えています。
- また、再生医療分野では、当社が培ってきた幹細胞・遺伝子組換え技術を応用し、従来の治療法ではアプローチの難しい疾患領域における、新たな治療方法の開発にチャレンジしてまいります。



Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

当社の今後の研究開発の方向性をお示しいたします。

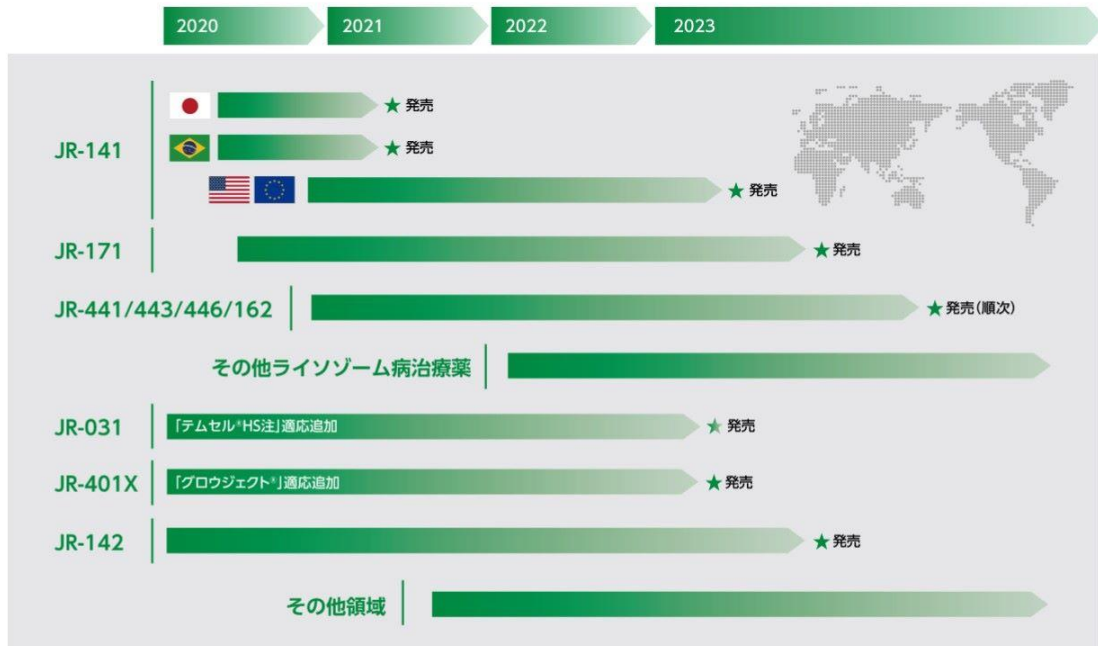
現在の J-Brain Cargo は抗体ベースのため、目的とするタンパク質と組み合わせやすく、低分子、核酸といったものでは工夫が必要です。

当社では、このような物質でも BBB を通過できるよう、トランスフェリン受容体を介した薬物送達機構である J-Brain Cargo の技術的可能性を発展させる取り組みを続けており、特殊環状ペプチド、ナノミセルといった他社との共同研究のほか、次世代 J-Brain Cargo となり得る自社技術開発を含め、複数の可能性を探っています。

このような研究のほか、遺伝子治療の研究開発にも着手しております。これらにより、例えば中枢神経系組織において必要な物質の欠乏に起因する疾患や、何らかの遺伝子変異に起因する疾患に対する治療薬の開発につなげていきたいと考えおります。

また、再生医療分野では、当社が培ってきた幹細胞・遺伝子組換え技術を応用し、従来の治療法ではアプローチが難しい疾患領域における、新たな治療方法の開発にチャレンジしてまいります。

JCR独自の技術を駆使して
日本発・世界初の画期的な医薬品をお届けしていきます。



* 自社が実施する研究開発品目に限り掲載

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

中長期的な研究開発の想定タイムラインをお示しいたします。

現在最も注力している JR-141 をはじめとするライソゾーム病治療薬は、今後 10 年間、特に 2023 年以降に本格的にグローバルでの開発ステージに入ることを見込んでおります。

また、一連のライソゾーム病治療薬については、同じく 2020 年代に順次グローバルで上市することを見込んでおります。そのほか、JR-031 での適応追加、成長ホルモン領域での開発についても鋭意注力してまいります。

また、その他の疾患についても基礎研究を進めており、詳細については適切なタイミングで皆様にご説明できるかと思っております。

これら研究開発の活動により、当社では、2020 年代後半から本格的にグローバル化を果たすものと考えております。

2020-22年度中期経営計画 「変革」



このスライド以降、本年度を初年度とする3年間の中期経営計画「変革」についてご説明いたします。

このイメージは、各種ライソゾーム病をはじめとする希少疾病に貢献するという社員一人ひとりの強い思いという意味のほか、その実現のために社員一人ひとりが変わらなければならないという強い思いを示しております。

変革

REVOLUTION *into the Future*

「チームJCR」の総力を結集して、
事業活動の質的・量的な変革（REVOLUTION）に
取り組み、中長期ビジョンの
実現に向けて邁進します。

まずは、キーワードである「変革」についてご説明いたします。

当社では、2025年に創業50周年を迎えます。また、同時に、2020年代後半以降、本格的なグローバル化を果たすと考えております。その実現のためには、過去の成功体験にとらわれず、事業活動のすべての側面において、また社員一人ひとりが変わらなければなりません。その意味を込めて、キーワードを「変革」といたしました。

併せて、将来に対する「変革」という意味から、「REVOLUTION into the Future」をスローガンといたしました。

「変革」：重要経営課題

希少疾病領域での本格的なグローバル展開を見据え、重要経営課題を以下の通り設定します。

最重要経営課題

希少疾病領域におけるJCRの重要性がさらに高まることを踏まえた

[1] 品質保証体制の質・量的拡充

さらに、2020年代後半からの業容の急拡大期を見据えて、以下の項目を重要経営課題として取り組みを加速する。

[2] 今後数年間の収益基盤強化に向けた 既存製品の持続的成長のための取り組み

[3] ライソゾーム病領域の次を見据えた 基礎研究・応用研究の拡充

[4] 本格的なグローバル化を見据えた 生産・研究への積極的な設備投資の検討・着手

[5] 将来におけるライソゾーム病治療薬の事業価値最大化のための エビデンス構築を含む製品戦略の立案

[6] 本格的なグローバル化以降の業容拡大を見据えた 業務および組織構造改革・人材育成

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

まず、「変革」における重要経営課題をお示しいたします。

高品質な医薬品を安定的に供給することが、特に希少疾病領域においては、製薬企業にとって最大の責務と考えております。

希少疾病領域における当社の重要性がさらに高まることを踏まえ、品質保証体制の質・量的拡充を図ることを最重要経営課題として設定いたします。

続いて、2020年代後半からの業容の急拡大を見据え、以下五つの項目を重要経営課題として取り組みを加速してまいります。

まず1点目、少なくともライソゾーム病治療薬が本格的に業績に寄与するまでの期間、既存製品の持続的成長が重要と認識しております。

2点目として、医薬品開発には10年を越える年月が必要であることを踏まえ、ライソゾーム病治療薬の次を見据えた基礎研究の拡充に取り組んでまいります。

3点目として、研究開発の加速、今後の成長のための設備投資を、事業環境を踏まえ、積極的に投資してまいります。

4 点目として、中長期的なエビデンスこそが臨床現場に求められる希少疾病領域の特性を踏まえ、エビデンス構築を含む製品戦略の立案に取り組んでまいります。

最後に、迅速な経営判断、顔の見える経営がチーム JCR にとって重要であることから、今後の業容拡大期においても、一定規模での経営を可能とする業務および組織構造改革、ならびに人財育成を進めてまいります。



「変革」：ガイダンス

売上高・営業利益

対前年比増により、最終年度（2022年度）において、

売上高**320～360**億円、営業利益**70～100**億円を
目標とする。

研究開発費

対売上高比率**20%**を目安に投資を行う。

ただし、必要であれば対売上高比20%を超えることも許容する。

配当性向

安定配当を基本方針とし、期待に応える株主還元と財務の健全性のバランスを重視し、配当性向は**30%**を目安とする。

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

続いて、「変革」におけるガイダンスをお示しいたします。

当社は、これからさらなる成長を迎えることを踏まえ、KPIについては、売上高、営業利益、研究開発費、配当性向のみを設定いたします。売上高、営業利益については、対前年比増という安定的成長のもと、最終年度において、売上高 320 から 360 億円、営業利益 70 から 100 億円を目標といたします。

研究開発費については、対売上高比率 20%を目安といたします。ただし、必要であれば、これを超えることを許容いたします。

最後に、配当性向については、安定配当を基本方針とし、期待に応える株主還元と財務の健全性のバランスを重視し、30%を目安といたします。



サステナビリティ：「変革」における基本方針

「医薬品を通して人々の健康に貢献する」という企業理念に基づく事業活動を通じて、持続可能な社会の発展に貢献します。

JCRの価値創造の基本

希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現

JCRのサステナビリティ基本方針

「レアディジーズ」「環境」「社会」「コーポレート・ガバナンス」を重点領域とし、事業活動を通じてそれらの課題を解決し、その成果を社内外の幅広いステークホルダーに還元・共有しながら「誰一人取り残さない（No one will be left behind）」という持続可能な開発目標（Sustainable Development Goals: SDGs）の精神に沿ったサステナビリティの実現を目指します。

最後に、今後の当社におけるサステナビリティの取り組みについてご説明いたします。

当社では、「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」こそが、価値創造の基本であるとの認識のもと、レアディジーズ、環境、社会、コーポレートガバナンスを重点領域とし、事業活動を通じてそれらの課題を解決し、その成果を社内外の幅広いステークホルダーに還元・共有しながら、「誰一人取り残さない」という持続可能な開発目標の精神に沿ったサステナビリティの実現を目指してまいります。



サステナビリティ：「変革」における取り組み

「希少疾病領域」におけるグローバルスペシャリティファーマを目指して、サステナビリティにおいても、質的・量的な「変革」を図ります。

目指すべき姿

RD・E・S・Gを基盤とする事業活動を通じたサステナビリティの実現

取り組みの方向性



RD

レアディジーズ (Rare Disease)

- ・ 希少疾病治療薬の開発につながる基礎研究の拡充
- ・ 希少疾病の認知度向上に向けた新たな取り組みの実施
- ・ 社内啓発および全社的な取り組みの継続実施

医薬事業を通じた貢献

「チームJCR」の総力を結集した事業活動の質的・量的な「変革」による「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」の加速

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

レアディジーズ領域での新しい取り組みとして、ライソゾーム病治療薬開発のさらなる加速のほか、その他の希少疾病治療薬の開発につながる基礎研究の拡充を進めてまいります。

「希少疾病領域」におけるグローバルスペシャリティファーマを目指して、サステナビリティにおいても、質的・量的な「変革」を図ります。

目指すべき姿	RD・E・S・Gを基盤とする事業活動を通じたサステナビリティの実現
<p>取り組みの方向性</p> <div style="display: flex; justify-content: space-between;"> <div style="width: 20%;">  <p style="font-size: 2em; font-weight: bold; color: #e91e63;">E</p> </div> <div style="width: 80%;"> <p style="font-weight: bold; color: #e91e63;">環境 (Environment)</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 事業活動を通じた環境負荷の削減に向けた地域に根差した新たな対策の検討・実施 </div> </div> <div style="display: flex; justify-content: space-between; margin-top: 10px;"> <div style="width: 20%;">  <p style="font-size: 2em; font-weight: bold; color: #e91e63;">S</p> </div> <div style="width: 80%;"> <p style="font-weight: bold; color: #e91e63;">社会 (Society)</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 「チームJCR」一人ひとりが輝ける職場環境、人財育成の促進 ・ 小児希少疾病や保健医療分野における支援強化および新たな取り組みの実施 </div> </div> <div style="display: flex; justify-content: space-between; margin-top: 10px;"> <div style="width: 20%;">  <p style="font-size: 2em; font-weight: bold; color: #e91e63;">G</p> </div> <div style="width: 80%;"> <p style="font-weight: bold; color: #e91e63;">コーポレート・ガバナンス (Corporate Governance)</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ グローバルに向けた製品の「安定供給」体制の強化 ・ 大胆かつ適切な意思決定を迅速に行いうる強固な経営基盤の確立 ・ 自社リスクに対するリスクマネジメントの更なる推進 </div> </div>	
医薬事業を通じた貢献	「チームJCR」の総力を結集した事業活動の質的・量的な「変革」による「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」の加速

Copyright © 2020 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

また、環境、社会、コーポレートガバナンスの領域での新しい取り組みとして、地域に根差した環境負荷軽減活動、チーム JCR、一人ひとりが輝ける職場環境づくり、人財育成の推進、グローバル展開に向けた製品の安定供給体制の強化、大胆かつ適切な意思決定を迅速に行い得る強固な経営基盤の確立を進めてまいります。

以上により、チーム JCR の総力を結集した事業活動の質的・量的な変革による「希少疾病とともに生きるあなたに寄り添う医療の実現」を加速してまいりたいと考えております。

ご清聴ありがとうございました。

[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

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をしてはなりません。

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。