

2020-22年度中期経営計画 「変革」

2020年5月18日

JCRファーマ株式会社

取締役 営業本部長 経営戦略担当

芦田 透

変革

REVOLUTION
into the Future

注意事項

本資料中の開発見通し等の将来に関する記述は、当社が現在得ている情報をもとになされた当社の判断に基づくものであり、既知あるいは未知のリスクや不確実な要素を含んでいます。実際の結果は、様々な要因によりこれら将来に関する記述内容とは大きく異なる可能性があることをご承知ください。そのような要因の例としては、経済情勢の悪化、法律・行政制度の変化、新製品上市の遅延、競合会社の価格・製品戦略による圧力、当社製品の販売力の低下、生産中断、当社の知的財産権に対する侵害、重大な訴訟における不利な判決等がありますが、これらに限定されるものではありません。

本資料は医薬品（開発中の物を含む）に関する情報が含まれておりますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。また、当社の会社説明・事業説明に関する情報の提供を目的としたものであり、当社が発行する有価証券の投資を勧誘することを目的としたものではありません。

本資料は、開発中の製品の効能・効果を保証・宣伝・広告するものではありません。

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の状況によっては今後、臨床試験の進捗に影響が与える可能性があることをご承知ください。

- **前中期経営計画「飛躍」の総括**

- **中長期経営ビジョン「Toward 2030」**
 - 企業理念
 - 中長期経営ビジョン
 - JCRのコアバリュー
 - JCRの成長の歴史・研究開発の特色
 - JCRの基盤技術のポテンシャル
 - JCRの研究開発の方向性
 - 中長期的研究開発の想定タイムライン

- **2020-22年度中期経営計画「変革」**
 - キーワード
 - 重要経営課題
 - ガイダンス
 - サステナビリティへの取り組み

前中期経営計画「飛躍」の総括

前中期経営計画「飛躍」における成果

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
- 「グロウジェクト®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
- 「ダルベポエチン アルファBS注JCR」臨床第3相試験開始
- 「グロウジェクト®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
- 株式会社メディパ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貸契約締結
- 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
- 「グロウジェクト®」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
- 「ダルベポエチン 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

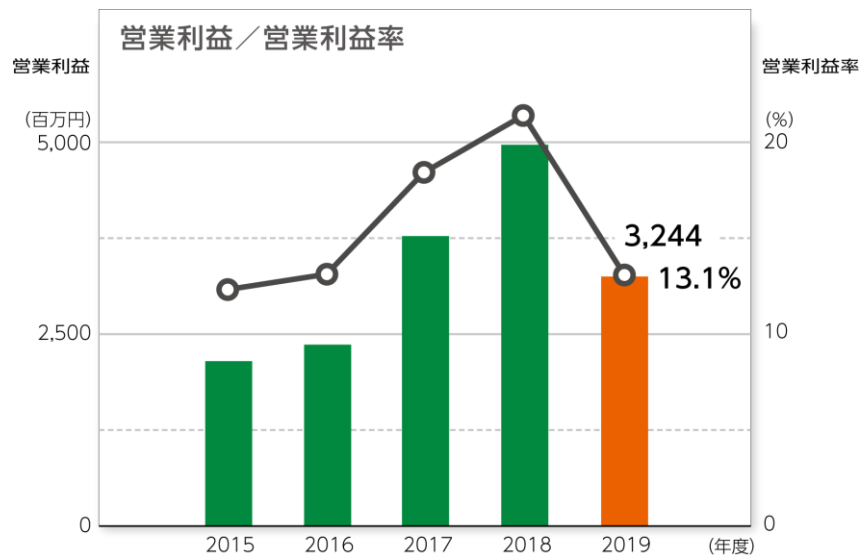
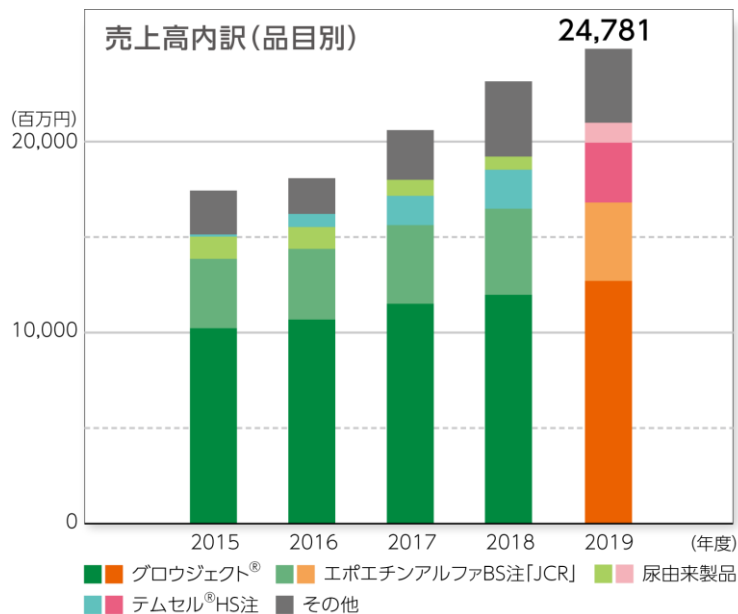
- 「JR-142」臨床第1相試験開始
- ペプチドリーム株式会社との特殊環状ペプチド創製
- 「テムセル®HS注」適応拡大（新生児低酸素性虚血性脳症）臨床第1/2相試験開始、「テムセル®HS注」適応拡大（表皮水泡症）製造販売承認申請取下げ
- 研究所関連施設新規取得
- 「ダルベポエチン アルファBS注JCR」製造販売承認取得、発売
- 米国ArmaGen, Inc.買収合意



前中期経営計画「飛躍」における成果

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%



前中期経営計画「飛躍」における成果

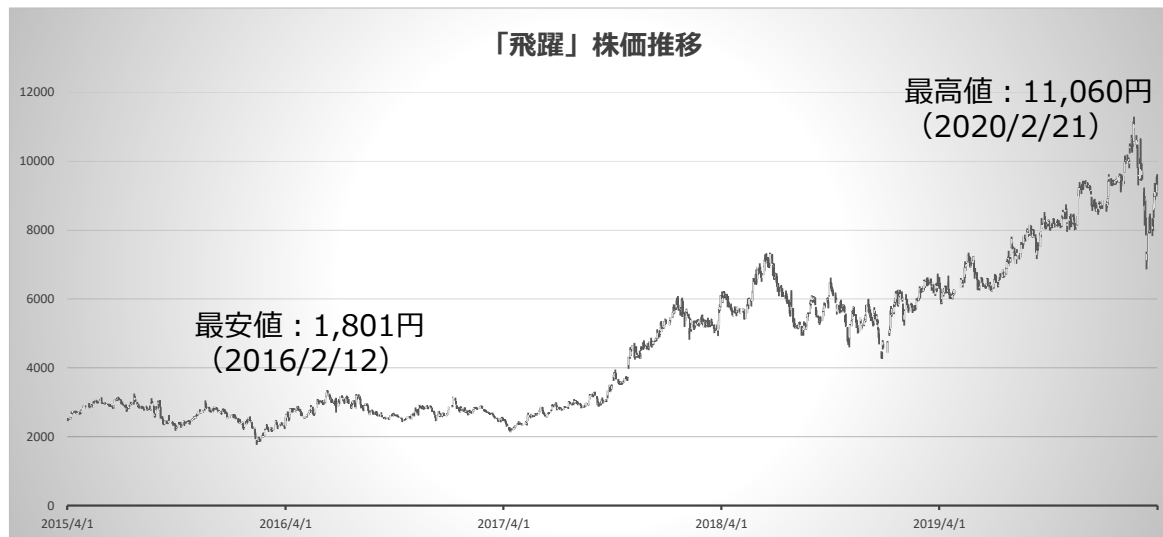
集計時点	従業員数 (単独)	平均年齢	勤続年数	平均年収
2020/3	654人	41.4歳	8.9年	830万円
2019/3	613人	41.4歳	8.8年	830万円
2018/3	540人	41.6歳	9.0年	821万円
2017/3	522人	41.4歳	8.6年	809万円
2016/3	487人	41.1歳	8.3年	809万円

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

▶▶ 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

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のできるごと。」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。



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。



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



もみじの家

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。



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

中長期経営ビジョン「Toward 2030」



グローバルで
存在感のある
研究開発型企业

変革

飛躍

価値の源泉
「チームJCR」

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。



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「一歩前に出る」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

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的成長を追求する。

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

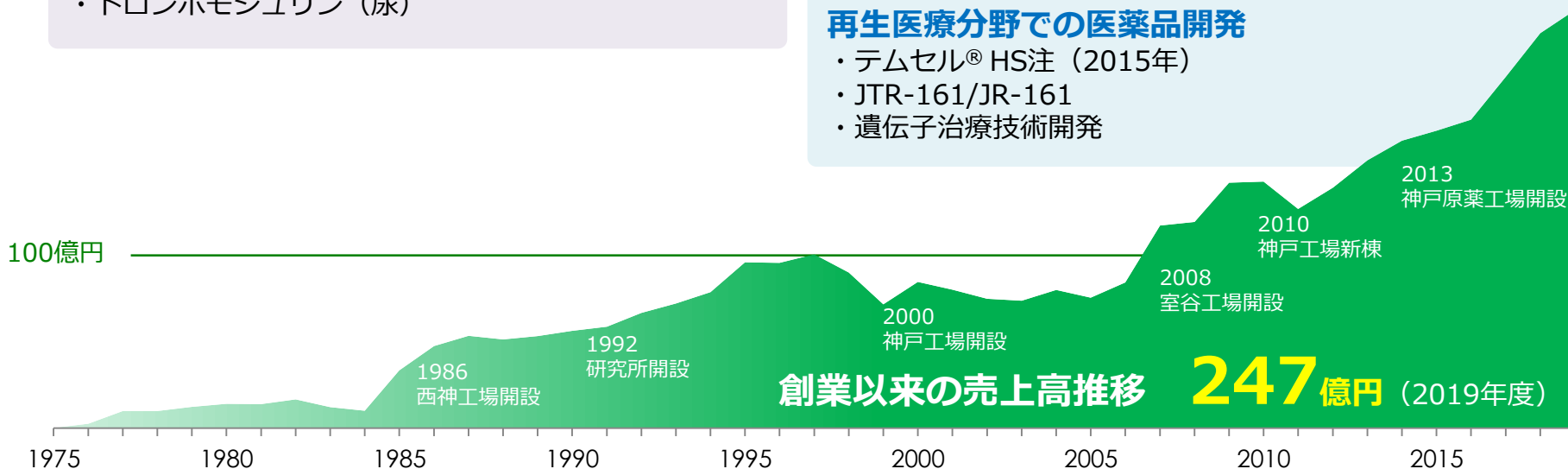
- ・ウロキナーゼ/ウリナスタチン（尿）
- ・上皮成長因子（尿）
- ・インターフェロン（血液）
- ・カリジノゲナーゼ（尿）
- ・フィブロネクチン（血液）
- ・トロンボモジュリン（尿）

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



精製技術の確立

細胞構築～培養技術の確立

再生医療分野への進出

- 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



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。

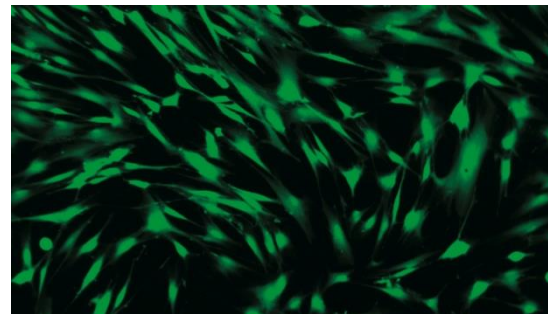
ライソゾーム病5疾患の患者数・市場規模

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

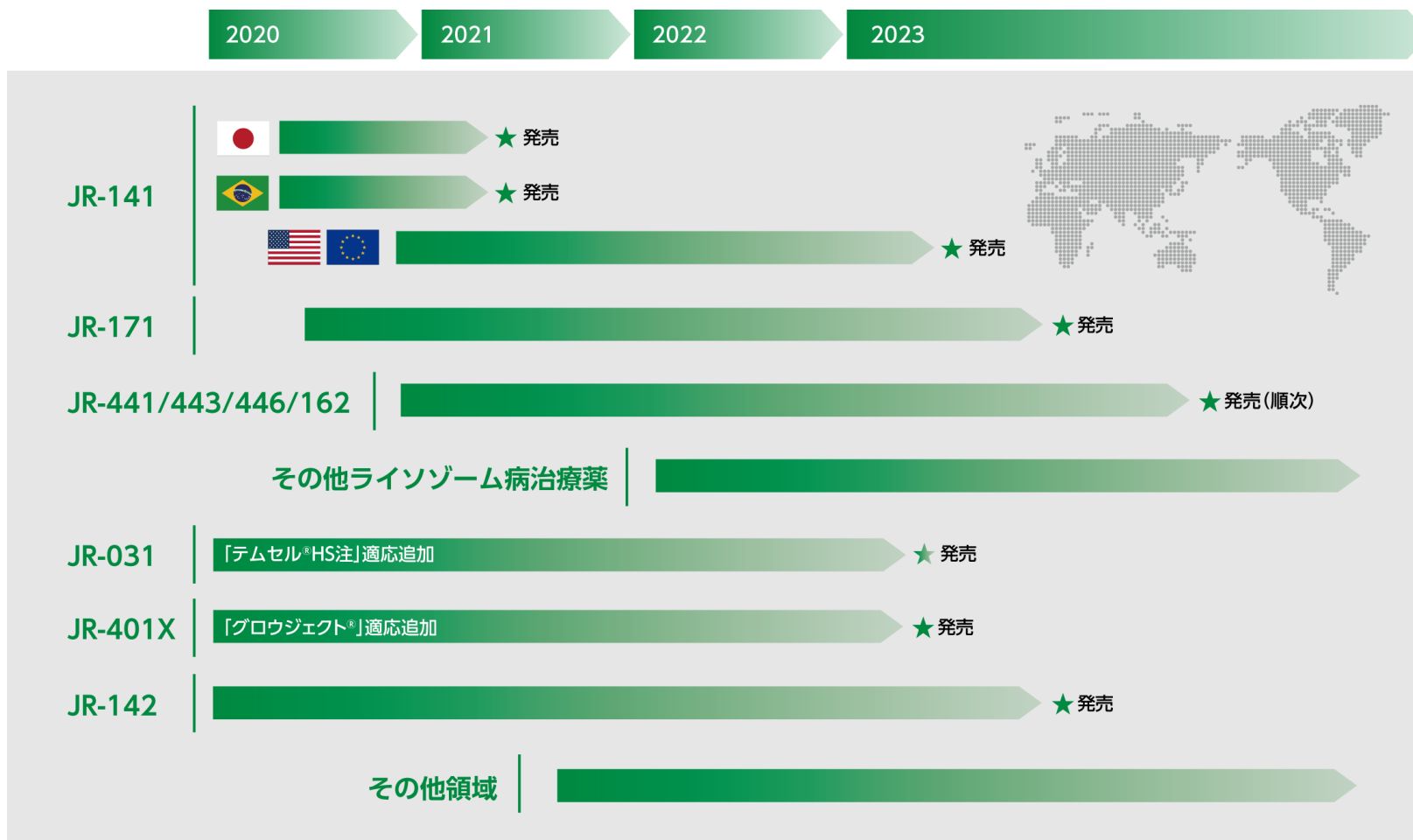
※2 市場規模：既存薬を扱っている会社の公開情報の他、Evaluate Pharma、IQVIAを引用

- 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を通過できるように、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いきます。



中長期的研究開発の想定タイムライン

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

2020-22年度中期経営計画 「変革」

Niemann-Pick disease

Metachromatic leukodystrophy

Batten disease

GM1 gangliosidosis

Rare Diseases

Gaucher disease

Hurler/Hurler-Scheie/Scheie syndrome

Fucosidosis

Hunter syndrome

Sly syndrome

Sanfilippo syndrome A/B

GM2 gangliosidosis

Alpha-Mannosidosis

Krabbe disease



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。

「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

「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。

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。

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



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

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



E

環境 (Environment)

- ・ 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



S

社会 (Society)

- ・ 「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



G

コーポレート・ガバナンス (Corporate Governance)

- ・ グローバル向けの製品の「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

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



Thank you for your attention.



希少疾病に、
JCRのできること。